



SAÚDE

Portaria n.º 391/2019

de 30 de outubro

Sumário: Aprova os princípios e a caracterização das Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde.

O Sistema Nacional de Avaliação de Tecnologias de Saúde (SiNATS), criado através do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, surgiu com o objetivo de dotar o Serviço Nacional de Saúde (SNS) de um instrumento único que melhorasse o seu desempenho, introduzindo neste âmbito a experiência já existente em Portugal e as melhores práticas ao nível europeu, no que se refere à avaliação e reavaliação de tecnologias de saúde.

Nos termos do referido diploma, o financiamento pelo SNS de medicamentos e dispositivos médicos depende da demonstração do seu valor terapêutico acrescentado ou equivalência terapêutica e da sua vantagem económica.

O requisito de avaliação económica tem uma longa tradição em Portugal, tendo sido tornado obrigatório para os medicamentos comercializados em ambulatório em 1999, e para os medicamentos hospitalares em 2006. A sua implementação, para efeitos de comparticipação, foi antecedida pelas orientações metodológicas a observar nos estudos, publicadas em 1998 e mais tarde aprovadas por Despacho do Secretário de Estado da Saúde, com o n.º 19064/99, de 9 de setembro, publicado no *Diário da República*, 2.ª série, com o n.º 233, de 6 de outubro de 1999. Estas orientações metodológicas têm vindo, ao longo dos anos, a ser largamente utilizadas como base para a elaboração, análise e apreciação dos estudos de avaliação económica.

No entanto, a experiência adquirida e a evolução na teoria e na prática de avaliação económica justificam a sua revisão. Embora alguns dos desafios e questões sejam semelhantes aos existentes aquando da elaboração das orientações metodológicas em 1998, desde então têm sido desenvolvidas e validadas novas abordagens, tais como o desenvolvimento de 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.

Acresce que também se verificaram alterações no contexto português, com impacto na avaliação económica das tecnologias de saúde, nomeadamente nas políticas regulamentares de comercialização, visando a aprovação das tecnologias numa fase mais precoce do seu desenvolvimento e nas fontes de dados.

Neste sentido, tendo por base o trabalho desenvolvido por um grupo de peritos constituído no âmbito da Comissão de Avaliação das Tecnologias de Saúde (CATS) do INFARMED — Autoridade Nacional do Medicamento e de Produtos de Saúde, I. P. (INFARMED, I. P.), foram elaboradas novas Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde, objeto de alargada consulta pública, que atualizam as metodologias que apoiam a elaboração e análise dos estudos de avaliação económica, de forma a fornecer a melhor evidência de apoio à decisão.

Assim:

Manda o Governo, pelo Secretário de Estado Adjunto e da Saúde, no uso de competência que lhe foi delegada através do Despacho n.º 11011/2018, de 14 de novembro, da Ministra da Saúde, publicado no *Diário da República*, 2.ª série, n.º 227, de 26 de novembro, e ao abrigo do disposto no artigo 5.º do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na redação dada pelo Decreto-Lei n.º 115/2017, de 7 de setembro, o seguinte:

Artigo 1.º

Objeto

A presente portaria aprova os princípios e a caracterização das Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde, os quais constam em anexo à presente portaria, e que dela fazem parte integrante.



Artigo 2.º

Âmbito

1 — As Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde estabelecem os princípios e os métodos utilizados para gerar a melhor evidência de valor económico, de forma a apoiar a tomada de decisão no âmbito dos procedimentos e dos processos de avaliação económica de tecnologias de saúde.

2 — As referidas Orientações constam de documento aprovado pelo Conselho Diretivo do INFARMED — Autoridade Nacional do Medicamento e de Produtos de Saúde, I. P. (INFARMED, I. P.), a publicar, na sua página eletrónica, no prazo máximo de 30 dias a contar do primeiro dia útil seguinte ao da publicação da presente portaria.

Artigo 3.º

Entrada em vigor e produção de efeitos

1 — A presente portaria entra em vigor no primeiro dia útil seguinte ao da sua publicação e produz efeitos seis meses após a data da sua entrada em vigor.

2 — É revogado o Despacho n.º 19064/99, de 9 de setembro, publicado no *Diário da República*, 2.ª série, n.º 233, de 6 de outubro de 1999, sem prejuízo da sua aplicabilidade aos pedidos de processos de participação, avaliação prévia e reavaliação de tecnologias de saúde que sejam submetidos em data anterior à produção de efeitos da presente portaria.

O Secretário de Estado Adjunto e da Saúde, *Francisco Ventura Ramos*, em 24 de outubro de 2019.

ANEXO

Princípios e caracterização das Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde

As Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde especificam os princípios e os métodos utilizados para produzir a melhor evidência relativa à vantagem económica de tecnologias de saúde, de forma a apoiar a tomada de decisão nos processos de financiamento pelo SNS, designadamente nos processos de participação, avaliação e reavaliação de tecnologias de saúde.

As referidas Orientações deverão ser seguidas na preparação da evidência a submeter ao INFARMED, pelos serviços do INFARMED e pela Comissão de Avaliação de Tecnologias de Saúde (CATS) na apreciação da evidência submetida.

As mencionadas Orientações, que estão pormenorizadas em documento aprovado pelo Conselho Diretivo do INFARMED, I. P., de acordo com a proposta da Comissão de Avaliação das Tecnologias de saúde (CATS), enquadram-se nos seguintes princípios:

1 — Princípios de avaliação:

As orientações têm como objetivo guiar a elaboração de estudos de avaliação económica, e avaliar a evidência económica submetida quanto à sua adequação, abrangência, e qualidade, com o objetivo de identificar os resultados relativos à vantagem económica das tecnologias de saúde mais relevantes e válidos, para apoiar a tomada de decisão. Para determinar a vantagem económica, é essencial comparar os ganhos em saúde decorrentes da tecnologia, com os custos adicionais que a mesma pode acarretar para o SNS.

Dado que circunstâncias com influência na vantagem económica (por exemplo, reduções de preços) podem alterar-se ao longo do tempo, é necessário implementar um processo de avaliação dinâmico. Consequentemente estas orientações informam não só a primeira avaliação, mas também eventuais reavaliações. Um processo dinâmico é também utilizado para promover atividades de desenvolvimento de nova evidência, com o objetivo de reduzir a incerteza nos resultados. Tal implica que a incerteza seja considerada explicitamente no processo de avaliação. Assim sendo, no

processo de avaliação, toda a evidência deve ser apreciada em termos da incerteza remanescente (incidindo não só na eficácia clínica, mas também no custo-efetividade e no impacto orçamental), com o intuito de identificar uma lista de incertezas significativas.

2 — Comparadores:

A avaliação económica deve comparar a tecnologia em análise com todas as outras opções de cuidados de saúde relevantes para a doença ou situação clínica em foco, definidas no âmbito da avaliação farmacoterapêutica e constantes da recomendação farmacoterapêutica da CATS.

Os comparadores relevantes referem-se a todas as alternativas terapêuticas disponíveis em Portugal, podendo incluir sequências terapêuticas, opções terapêuticas inativas, opções de tratamento ativo não-terapêuticas, e regras de iniciar-parar a nova tecnologia.

Quando estiver bem estabelecida qual a alternativa mais eficiente, a comparação pode ser realizada apenas com esta.

3 — População e subgrupos:

A avaliação económica deve analisar a utilização da nova tecnologia em toda a população-alvo e em subgrupos relevantes, definidos no âmbito da avaliação farmacoterapêutica e constantes da recomendação farmacoterapêutica da CATS.

Devem efetuar-se análises de subgrupos sempre que exista evidência de heterogeneidade na população-alvo com consequências potenciais na avaliação económica, pelo que poderão ser considerados subgrupos adicionais neste âmbito, desde que devidamente justificados. A heterogeneidade pode referir-se a diferenças na efetividade da nova tecnologia, diferenças nos respetivos custos, no risco basal de episódios ou progressão e em outros parâmetros do modelo que afetem os custos ou os benefícios em saúde da nova tecnologia em relação aos seus comparadores.

4 — Avaliação do efeito terapêutico:

A avaliação económica deve basear-se na apreciação de toda a evidência de efetividade constante da recomendação farmacoterapêutica da CATS. Contudo, poderão existir métodos e requisitos adicionais necessários para a avaliação da vantagem económica da tecnologia.

Diferenças entre a evidência usada, analisada e revista pela CATS para definir o valor terapêutico acrescentado e a evidência usada na avaliação económica, têm que ser devidamente justificadas.

Sempre que disponível, deve utilizar-se evidência de ensaios clínicos aleatorizados para avaliar e quantificar a efetividade das intervenções relevantes. Evidência de estudos não aleatorizados poderá ser utilizada para: *i)* informar análises de cenário quando os estudos não aleatorizados forem conduzidos no contexto português, mesmo na presença de ensaios clínicos aleatorizados; *ii)* informar o caso de referência quando não existe evidência produzida em ensaios clínicos aleatorizados, acompanhada de análise de sensibilidade em que o valor do efeito é variado até ao valor correspondente à hipótese de ausência de efeito da nova tecnologia; *iii)* com base para a extrapolação temporal do efeito do tratamento para além do período de seguimento dos ensaios clínicos aleatorizados, complementada por uma análise de sensibilidade aos pressupostos alternativos sobre a duração do efeito terapêutico; *iv)* e para informar redes de evidência desconectadas. Nestas situações, é dada preferência a estudos não aleatorizados efetuados em Portugal.

Devem ser utilizadas metodologias adequadas, como meta-análise ou meta-análise em rede, para sintetizar quantitativamente a evidência de efetividade. O uso de métodos de síntese de evidência requer uma avaliação adequada da qualidade dos estudos e da heterogeneidade dos resultados entre estudos.

5 — Horizonte temporal:

O horizonte temporal deve ser suficientemente longo para incluir todas as diferenças importantes das tecnologias em comparação, em termos de custos e consequências. O horizonte temporal deve ser idêntico para os custos e consequências. Podem ser considerados horizontes temporais mais pequenos se as consequências e os custos ocorrerem num período mais curto, embora esta opção necessite de ser claramente justificada.

6 — Técnicas de análise:

Recomenda-se a realização de estudos de custo-efetividade com as consequências expressas em termos de anos de vida ajustados pela qualidade (*quality-adjusted life years*, QALY). Os QALY

são preferidos porque: *i*) incorporam a qualidade de vida relacionada com a saúde; *ii*) consideram a perspetiva dos doentes e as preferências da sociedade; *iii*) permitem a comparação de diferentes terapêuticas para diferentes doenças; e *iv*) têm sido amplamente utilizados por agências nacionais de avaliação de tecnologias da saúde em vários países. As consequências para a saúde não devem ser expressas em termos monetários.

7 — Perspetiva:

A perspetiva dos custos para o caso de referência deve ser a do SNS. A perspetiva das consequências deve considerar todos os efeitos em saúde para os doentes atuais. O rácio de custo-efetividade incremental (RCEI) deve ser calculado segundo esta perspetiva, que constitui a base de apoio à tomada de decisão.

Os custos e/ou poupanças que recaem noutros setores públicos e/ou privados podem ser quantificados e apresentados numa análise de cenário, mas não deverão ser incluídos no RCEI. Nesta situação, os custos e/ou poupanças não imputáveis ao orçamento do SNS devem ser apresentados de forma pormenorizada e com o seguinte detalhe: custos e/ou poupanças para outros setores do Estado, não imputáveis ao orçamento do SNS; custos e/ou poupanças para o doente, cuidadores e familiares. Podem ainda ser apresentados o impacto, medido em termos de dias, na capacidade de trabalhar do doente, cuidadores e familiares, assim como as consequências na saúde e qualidade de vida para cuidadores e familiares.

8 — Identificação, medição e valoração dos custos:

Todos os recursos de saúde relevantes para a análise têm de ser identificados. Sendo a perspetiva de referência a do SNS, todos os custos com impacto no seu orçamento e relevantes no âmbito da tecnologia em avaliação devem ser apresentados. Deve ser facultada informação separada e pormenorizada sobre os recursos de saúde utilizados (medidos em unidades físicas) e a forma como os mesmos são valorados (preços ou custos unitários). A informação sobre o uso destes recursos deve basear-se na prática clínica nacional. Se tal não for possível, e as análises se basearem em dados internacionais, os recursos devem ser validados por peritos nacionais, à luz da prática clínica nacional.

Na valoração dos recursos é dada preferência às fontes nacionais publicadas (como os preços praticados pelo SNS). O recurso a outras fontes tem de ser justificado. Para efeitos da avaliação considera-se que os custos unitários devem incluir o IVA e ser ajustados pela inflação, quando tal se justifique.

9 — Medição e valoração dos efeitos em saúde:

O EQ-5D-5L é o instrumento preferido para avaliar a qualidade de vida relacionada com saúde, com tarifas portuguesas. Caso a informação não esteja disponível com base no EQ-5D-5L, e enquanto não existir um algoritmo de mapeamento, pode ser utilizado o EQ-5D-3L com a tarifa portuguesa para cálculo dos QALY. Podem igualmente ser utilizados outros instrumentos genéricos baseados em preferências, devendo, contudo, justificar-se a sua escolha. Caso se opte por outros instrumentos, se existirem tarifas portuguesas para os mesmos, estas devem ser utilizadas.

Se a qualidade de vida relacionada com a saúde não tiver sido obtida durante os estudos clínicos usados para avaliar a efetividade do tratamento, o EQ-5D ou resultados de outros instrumentos genéricos baseados em preferências podem ser obtidos: *i*) com base na literatura; *ii*) através de estudos observacionais; *iii*) através de inquéritos desenhados para o efeito. Na ausência de dados relevantes sobre utilidade recolhida a partir dos instrumentos genéricos acima referidos, podem utilizar-se alternativamente dados de mapeamento para o EQ-5D obtidos de outros instrumentos específicos da doença ou genéricos. A apresentação das utilidades mapeadas deve incluir uma descrição detalhada do algoritmo de mapeamento e dos estudos em que se baseou a função de mapeamento. É dada preferência aos algoritmos publicados em revistas de circulação internacional com arbitragem científica.

10 — Desenho de estudos e modelação:

A avaliação económica requer geralmente a aplicação de um modelo de decisão, o qual permite a combinação de várias fontes de dados e facilita a extrapolação temporal, que é frequentemente necessária. A conceptualização do modelo é uma etapa importante da avaliação, pelo que o estudo deve incluir uma descrição completa do modo como o modelo reflete a evolução natural da doença e o impacto do(s) tratamento(s) na doença, nos resultados em saúde e nos custos com a saúde;

uma descrição completa das fontes de informação consideradas e dos pressupostos assumidos (acompanhados de respetiva justificação) e uma lista completa dos parâmetros.

Podem ser utilizadas abordagens diferentes para a implementação de modelos de custo-efetividade, desde árvores de decisão avaliadas em coorte até modelos de simulação individual. Estas abordagens têm diferentes vantagens e desvantagens assim como diferentes graus de complexidade e de transparência. A abordagem escolhida para a modelação deve ser sempre justificada, utilizando a evidência disponível para apoiar a adequação de pressupostos alternativos e as suas implicações (para extrapolação, por exemplo). Caso seja possível, e razoável, aplicar diferentes abordagens, é preferível implementar a mais simples (princípio da parcimónia).

11 — Evidência e pressupostos relacionados com outros aspetos do modelo:

O modelo integra, frequentemente, pressupostos e várias fontes de evidência relacionados com outros parâmetros (além da efetividade relativa), nomeadamente as probabilidades e outros parâmetros que governam as transições entre estados de saúde, os ponderadores da qualidade de vida relacionada com a saúde, os custos unitários para valorização dos recursos, a incidência e prevalência da doença. A evidência subjacente a estes parâmetros e pressupostos deve ser identificada mediante um processo sistemático e explícito, tendo em conta a qualidade de cada fonte e a sua adequação ao contexto dos cuidados de saúde em Portugal. A evidência utilizada no modelo deve ser claramente descrita, sendo que a omissão de fontes de evidência identificadas na revisão sistemática deve ser justificada.

12 — Informação com base em opinião de peritos:

Quando não existir evidência empírica sobre um parâmetro de interesse, ou a sua representatividade no contexto da população alvo for questionável, deve recorrer-se à opinião de peritos. A recolha de opinião de peritos deve assentar num processo estruturado e explícito, baseado num conjunto de métodos definidos nestas orientações (métodos de referência).

O relatório final do estudo deve identificar todos os peritos consultados, identificando os potenciais conflitos de interesses.

13 — Análise quantitativa dos dados primários de apoio à modelação:

A parametrização do modelo de avaliação económica requer frequentemente a análise estatística de dados individuais ao nível do doente. É fundamental uma prática metodológica adequada para garantir que a evidência adotada para parametrizar os modelos é de qualidade e que a incerteza subjacente aos parâmetros é corretamente refletida. As análises estatísticas realizadas para fundamentar os parâmetros do modelo que não se encontrem integralmente publicadas na literatura com arbitragem científica devem ser documentadas num anexo estatístico. As fontes de dados, de cada parâmetro, devem ser enumeradas e todos os pressupostos justificados.

14 — Incerteza na decisão e identificação da necessidade de evidência adicional:

As incertezas parametrizadas e não parametrizadas devem ser sistematicamente avaliadas e explicitamente caracterizadas. Isto deve ser executado através de análises de sensibilidade e análises de cenários. A incerteza nos parâmetros deve ser sujeita a uma análise de sensibilidade probabilística (*probabilistic sensitivity analyses*, PSA). O valor esperado de informação perfeita (*expected value of perfect information* ou EVPI) deve igualmente ser avaliado, para corretamente quantificar as consequências da incerteza e o valor de futura evidência adicional.

15 — Validação:

A validação do modelo é essencial para demonstrar que os seus resultados são fiáveis, credíveis, e transponíveis para o contexto português. A validação deve incidir sobre todos os elementos de desenvolvimento do modelo, incluindo a conceptualização, seleção dos dados de entrada, implementação eletrónica do modelo e resultados. Deve igualmente elucidar o método de transposição e generalização das previsões do modelo para o contexto português, podendo para tal recorrer ao contributo de peritos. A validação pode ser restrita apenas aos parâmetros específicos do contexto português, desde que o modelo tenha sido validado como parte do processo de avaliação por outras entidades reguladoras.

16 — Taxa de atualização:

Não existindo um valor oficial em Portugal para suporte a decisões de investimento com financiamento público, opta-se por seguir a prática de vários países europeus, reduzindo a taxa em utilização.

Assim, todos os custos e consequências devem ser atualizados a uma taxa anual de 4 %.

17 — Apresentação e resultados de custo-efetividade:

As intervenções devem ser avaliadas por meio de uma análise incremental completa. Os resultados a apresentar são os das estimativas probabilísticas para análises de casos de referência, cenários e subgrupos. Em relação às análises de referência, devem ser apresentados resultados desagregados por estado de saúde e categoria de custos (por exemplo, custos de aquisição e administração da tecnologia, monitorização de eventos adversos, etc.). Caso existam mais de duas intervenções em comparação, os respetivos custos e resultados esperados e quaisquer rácios incrementais relevantes devem ser calculados sequencialmente. Esta abordagem exige a identificação quer das intervenções situadas na fronteira do custo-efetividade, quer das outras que não o estão (ou seja, as dominadas ou sujeitas a dominância alargada).

Com vista a apoiar a tomada de decisão, a avaliação económica deve proceder a uma análise de cenários sobre o preço da nova tecnologia para toda a população-alvo e subgrupos relevantes, abrangidos pelos pressupostos do caso de referência, e para cada análise de cenários, incluindo os cenários sugeridos pelos peritos da CATS.

18 — Incerteza e recolha de evidência adicional de apoio à tomada de decisão em aspetos para reavaliação:

Os resultados das análises de incerteza devem servir de base a uma lista de prioridades de necessidades de evidência adicional, a qual terá por objetivo fundamentar pedidos formais de recolha de tal evidência, a apresentar na fase de reavaliação. Tal evidência poderá incluir análises de bases de dados existentes, a apresentação de resultados de estudos em curso (por exemplo, extensões de RCT) ou a recolha de novos dados.

19 — Análise do impacto orçamental:

A análise de impacto orçamental (AIO) incide sobre as consequências financeiras da adoção de uma intervenção. A AIO tem de adotar a perspetiva do SNS e considerar os custos relacionados com o(s) comparador(es) selecionado(s) na avaliação económica. Se a nova intervenção substituir, ou complementar, a existente devem ser apresentados cenários sobre o processo de substituição da prática em vigor. A AIO tem de considerar a população atual a tratar, com base na prevalência, e os novos casos a tratar no futuro, com base na incidência, de acordo com a avaliação farmacoterapêutica. A AIO deve ter, em regra, um horizonte temporal de dois anos ou superior em função da tecnologia de saúde. Os custos da nova terapêutica devem também ser apresentados separadamente.

20 — Aspetos éticos e processuais:

Deve ser mencionada a lista completa dos autores e a respetiva afiliação institucional, juntamente com a lista da(s) entidade(s) financiadora(s) e uma declaração do contributo de cada entidade e de cada autor para o estudo. Deve ser incluída uma declaração de eventuais conflitos de interesse resultantes da fonte de financiamento, colaboração ou outros interesses.

112703038