

Universidade Federal de São Carlos – UFSCar
Centro de Educação e Ciências Humanas
Programa de Pós-Graduação em Ciência, Tecnologia e Sociedade

**Bioética, Vulnerabilidades e Participação Social na
Avaliação de Tecnologias em Saúde: uma Leitura das
Decisões da CONITEC em Doenças Raras**

Viviane Hanshkov

São Carlos-SP

2026

VIVIANE HANSHKOV

**Bioética, Vulnerabilidades e Participação Social na
Avaliação de Tecnologias em Saúde: uma Leitura das
Decisões da CONITEC em Doenças Raras**

Tese apresentada ao Programa de Pós-
Graduação em Ciência, Tecnologia e
Sociedade como requisito parcial à
obtenção do título de Doutor em Ciência,
Tecnologia e Sociedade

Orientador: Prof. Dr. Geovani Gurgel
Acirole da Silva

São Carlos-SP

2026

VIVIANE HANSHKOV

**Bioética, Vulnerabilidades e Participação Social na
Avaliação de Tecnologias em Saúde: uma Leitura das
Decisões da CONITEC em Doenças Raras**

Banca Examinadora:

Presidente e Orientador: Prof. Dr. Geovani Gurgel Aciole da Silva
PPGCTS/UFSCar – São Carlos

Membro Titular: Prof. Dr. Washington Abreu de Jesus
PPGSCol-UEFS/BA

Membro Titular: Profa. Dra. Márjorie de Assis Golim
PPG Pesquisa e Desenvolvimento: Biotecnologia Médica UNESP - Botucatu

Membro Titular: Profa. Dra. Maria Lúcia Teixeira Machado
PPGCTS/UFSCar – São Carlos

Membro Titular: Profa. Dra. Márcia Niituma Ogata
PPGCTS/UFSCar – São Carlos

Folha de Aprovação

Defesa de Tese de Doutorado da discente VIVIANE HANSHKOV, realizada em 10/03/2026.

Comissão Julgadora:

Prof. Dr. Prof. Dr. Geovani Gurgel Aciole da Silva - UFSCar

Prof. Dr. Prof. Dr. Washington Abreu de Jesus - UFBA

Profa. Dra. Márjorie de Assis Golim – UNESP-Botucatu

Profa. Dra. Maria Lúcia Teixeira Machado - UFSCar

Profa. Dra. Márcia Niituma Ogata - UFSCar

Hanshkov, Viviane

Bioética, vulnerabilidades e participação social na avaliação de tecnologias em saúde: uma leitura das decisões da CONITEC em doenças raras / Viviane Hanshkov -- 2026.
140f.

Tese (Doutorado) - Universidade Federal de São Carlos, campus São Carlos, São Carlos
Orientador (a): Geovani Gurgel Aciole da Silva
Banca Examinadora: Márcia Niituma Ogata, Maria Lúcia Teixeira Machado, Márjorie de Assis Golim, Washington Abreu de Jesus
Bibliografia

1. Ciência, Tecnologia e Sociedade. 2. Bioética. 3. Avaliação de Tecnologias em Saúde. I. Hanshkov, Viviane. II. Título.

Ficha catalográfica desenvolvida pela Secretaria Geral de Informática
(SIn)

DADOS FORNECIDOS PELO AUTOR

Bibliotecário responsável: Arildo Martins - CRB/8 7180

APRESENTAÇÃO

Esta tese resulta de um percurso acadêmico e profissional desenvolvido na área da saúde, no qual questões relacionadas à equidade, ao acesso e à organização dos sistemas de saúde sempre estiveram presentes.

Atuo como assessora jurídica na área da saúde há mais de 20 anos, experiência que me permitiu acompanhar, de forma próxima, os desafios envolvidos na tomada de decisões em contextos de escassez de recursos, judicialização e demandas por acesso a tecnologias em saúde.

O interesse pela bioética teve início ainda na graduação em Direito, em 1999, quando da definição do tema da monografia. Desde então, esse campo passou a integrar de forma contínua minha trajetória acadêmica, tendo sido aprofundado posteriormente no Mestrado em Bioética e, agora, no Doutorado.

Ao longo desse percurso, tornou-se cada vez mais evidente a complexidade envolvida nas decisões sobre incorporação de tecnologias, especialmente quando essas decisões dizem respeito a populações em situação de maior vulnerabilidade.

Ao longo dessa trajetória, tornou-se cada vez mais evidente a complexidade envolvida nas decisões sobre incorporação de tecnologias, especialmente quando essas decisões dizem respeito a populações em situação de maior vulnerabilidade.

O interesse pelo tema das doenças raras emerge, nesse contexto, não apenas pela especificidade clínica dessas condições, mas, sobretudo, pelos desafios éticos, sociais e institucionais que elas colocam aos sistemas de saúde. A baixa prevalência, a incerteza clínica, os elevados custos das tecnologias e a intensa mobilização de pacientes e familiares configuram um cenário singular, no qual as decisões públicas assumem contornos particularmente sensíveis.

Ao aproximar-se do campo da Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS), este trabalho buscou compreender como esses elementos se articulam no processo decisório brasileiro, especialmente no âmbito da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Nesse percurso, tornou-se central a necessidade de ir além de uma análise estritamente técnica ou econômica, incorporando também dimensões sociais e éticas frequentemente menos visíveis nos modelos tradicionais de avaliação.

É nesse ponto que a bioética, especialmente em sua vertente voltada à proteção e à equidade, se apresenta como um referencial importante. A partir dela, as vulnerabilidades deixam de ser compreendidas apenas como características clínicas ou individuais, passando a ser interpretadas como expressões de desigualdades estruturais que demandam atenção no processo de tomada de decisão.

Assim, esta tese propõe uma análise das decisões da CONITEC em doenças raras, buscando compreender em que medida as contribuições oriundas da participação social e as vulnerabilidades dos pacientes influenciam — ou não — as decisões finais. Mais do que oferecer respostas definitivas, o trabalho pretende contribuir para o debate sobre os limites e as possibilidades da incorporação da equidade nos processos de avaliação de tecnologias em saúde no contexto do SUS.

AGRADECIMENTOS

Ao meu orientador Prof. Dr. Geovani Gurgel Aciole da Silva pela sua competência, paciência e simplicidade, virtudes que fizeram estes anos de doutorado ficarem mais leves e suaves, sem perder de vista o comprometimento e a responsabilidade.

À Universidade Federal de São Carlos pela oportunidade de estudo, pelos conhecimentos adquiridos e experiências vividas com colegas e professores, que formam esta Instituição de Excelência.

RESUMO

Este trabalho investiga as vulnerabilidades e a participação social nos processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) conduzidos pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), com foco nas doenças raras. Foram analisados 83 relatórios técnicos produzidos entre 2015 e 2024, por meio de uma pesquisa qualitativa baseada em análise documental, organização sistemática de dados e análise de conteúdo das contribuições recebidas em consultas públicas, interpretadas à luz da perspectiva Ciência, Tecnologia e Sociedade (CTS) e da bioética. Os resultados revelaram que as vulnerabilidades dos pacientes e familiares se manifestam em múltiplas dimensões — físicas, emocionais, sociais, econômicas e de acesso — e emergem como argumentos frequentes nas contribuições das consultas públicas. A análise demonstrou que tais vulnerabilidades exercem influência real, porém não determinante, na mudança das decisões preliminares: elas fortalecem a legitimidade social do processo e qualificam a compreensão do contexto da doença, mas modificam recomendações somente quando articuladas a novos dados clínicos, redução de incertezas metodológicas ou negociações de preço que tornem a tecnologia viável ao sistema. Assim, os fatores econômicos e a robustez das evidências científicas permanecem como elementos centrais da decisão, enquanto as vulnerabilidades atuam como componentes interpretativos que ampliam a sensibilidade ética, mas não operam como critérios autônomos. Conclui-se que, embora a participação social da CONITEC tenha evoluído, ainda há desafios quanto à efetividade das contribuições e à consideração sistemática da equidade. A tese contribui para o campo CTS ao problematizar a construção social das decisões em saúde e ao reforçar a necessidade de integrar princípios bioéticos para o fortalecimento de políticas voltadas às doenças raras.

Palavras-chave: doenças raras; CONITEC; Avaliação de Tecnologias em Saúde; bioética; vulnerabilidades, participação social.

ABSTRACT

This dissertation examines vulnerabilities and public participation in Health Technology Assessment (HTA) processes conducted by the National Committee for Health Technology Incorporation (CONITEC) in the Brazilian Unified Health System (SUS), with emphasis on rare diseases. A total of 83 technical reports issued between 2015 and 2024 were analyzed using a qualitative approach based on documentary analysis, systematic organization of data, and content analysis of contributions submitted during public consultations. The findings, interpreted through the lenses of Science, Technology and Society (STS) studies and bioethics, reveal that the vulnerabilities of patients and family members emerge in multiple dimensions—physical, emotional, social, economic, and related to access barriers—and appear frequently within public consultation inputs. The analysis shows that such vulnerabilities exert a real but not decisive influence on the modification of preliminary recommendations: they enhance the social legitimacy of the process and enrich the understanding of the disease context, but only lead to recommendation changes when aligned with additional clinical evidence, reduced methodological uncertainty, or economic negotiations that make the technology viable for the health system. Thus, economic considerations and the robustness of scientific evidence remain the central determinants of decision-making, whereas vulnerabilities function as interpretive and ethical elements that expand moral sensitivity but do not operate as autonomous criteria. The study concludes that, although public participation within CONITEC has advanced, challenges remain regarding the effectiveness of contributions and the systematic consideration of equity. This dissertation contributes to the STS field by problematizing the social construction of health technology decisions and by reinforcing the need to integrate bioethical principles into policies for rare diseases.

Keywords: rare diseases; CONITEC; Assessment of Health Technologies; bioethics; vulnerabilities, public participation.

LISTA DE FIGURAS

Figura 1 -	18
Figura 2 -	25
Figura 3 -	31
Figura 4 -	32
Figura 5 -	67
Figura 6 -	67
Figura 7 -	68
Figura 8 -	78
Figura 9 -	84
Figura 10 -	96
Figura 11 -	97
Figura 12 -	97
Figura 13 -	98
Figura 14 -	107
Figura 15 -	108

LISTA DE TABELAS

Tabela 1 -	41
Tabela 2 -	76
Tabela 3 -	79
Tabela 4 -	91
Tabela 5 -	103
Tabela 6 -	112

LISTA DE ABREVIATURAS E SIGLAS

ACD – Appraisal Consultation Document

AHRQ – Agency for Healthcare, Research and Quality

AMNOG - Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz em alemão, ou Lei de Reorganização do Mercado de Medicamentos

ATS – Avaliação de tecnologias em saúde

BEM – Medicina baseada em evidências

C&T – Ciência e Tecnologia

CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health

CDEC – Canadian Drug Expert Committee

CLN2 - Lipofuscinose Ceroide Neuronal Tipo 2

CNS – Conselho Nacional de Saúde

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde

CTS – Ciência, Tecnologia e Sociedade

DECIT – Departamento de Ciência e Tecnologia do Ministério da Saúde

DUBDH – Declaração Universal de Bioética e Direitos Humanos

EMA – Agência Europeia de Medicamentos

EUnetHTA – European Network for Health Technology Assessment

EURORDIS - European Organisation for Rare Diseases

FAD – Final Appraisal Determination

FDA – Food and Drug Administration

G-BA – Gemeinsamer Bundesausschuss

HST – Highly Specialised Technologies

HTA - Programme – Health Technology Assessment Programme

HTAi – Health Technology Assessment Internacional

HTAR – Regulação Europeia de ATS

ICER – Institute for Clinical and Economic Review

IETS - Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud

INAHTA – Internacional Network of Agencies for Health Technology Assessment

INPA – Instituto Nacional de Previdência Social

IQWiG – Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, ou Institute for Quality and Efficiency in Health Care

JCA – Joint Clinical Assessment

MoCA – Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products

MSAC – Medical Services Advisory Committee

NICE – National Institute for Health and Clinical Excellence

OMS – Organização Mundial da Saúde

PBAC – Pharmaceutical Benefits Advisory Committee

PCDT – Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas

pCODR – pan-Canadian Oncology Drug Review

PNGTS – Política Nacional de Gestão de Tecnologias em Saúde

Rebrats – Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde

RedETSA – Rede de Avaliação de Tecnologias das Américas

RWE - Real-World Evidence

SBU – Swedish Agency for Health Technology Assessment and Assessment of Social Services

STA – Single Technology Appraisal

SUS – Sistema Único de Saúde

SUMÁRIO

1	INTRODUÇÃO.....	166
2	APORTES TEÓRICOS.....	25
2.1	A ATS no cenário internacional.....	25
2.2	Arcabouço legal da participação social.....	29
2.3	Participação social na ATS	36
2.4	Participação de pacientes e organizações no processo de ATS para doenças raras e medicamentos órfãos.....	42
2.5	Um olhar da Ciência, Tecnologia e Sociedade.....	45
2.6	Um olhar da Ciência, Tecnologia e Bioética.....	49
2.7	Equidade em saúde.....	53
3	OBJETIVOS.....	60
3.1	OBJETIVO GERAL.....	60
3.2	OBJETIVOS ESPECÍFICOS.....	60
4	PERCURSO METODOLÓGICO	61
5	RESULTADOS E DISCUSSÃO.....	66
5.1	Vulnerabilidades identificadas nos relatórios da CONITEC.....	66
5.2	Vulnerabilidades em múltiplos planos nas doenças raras: uma análise bioética.....	70
5.3	Participação social e efeitos das Consultas Públicas nos processos de avaliação da CONITEC.....	75
5.3.1	Processos avaliados entre 2015 e 2024.....	76
5.3.2	Atores participantes das Consultas Públicas.....	76
5.4	Distribuição das decisões após consulta pública.....	78
5.4.1	Decisões preliminares mantidas após consulta pública.....	90
5.4.2	Decisões preliminares alteradas após consulta pública.....	103
5.5	Fontes e conteúdo das contribuições que influenciaram a mudança de decisão.....	112
6	CONSIDERAÇÕES FINAIS	123
7	REFERÊNCIAS.....	126

1. INTRODUÇÃO

Nos anos 70 ganharam destaque dois campos do conhecimento, que foram fundamentais para fortalecer a evidência científica no exercício da Medicina e na gestão da saúde, que foram a Medicina Baseada em Evidências (MBE) e a Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) (CASTRO e ELIAS, 2018). Ao final dos anos 1970, a ATS foi reconhecida nos países desenvolvidos da Europa Ocidental como prática científica e tecnológica nos sistemas de saúde, com foco em medicamentos, materiais e equipamentos (NOVAES e SOÁREZ, 2020). Historicamente, a ATS teve três fases de expansão e difusão: fortalecendo-se como área do conhecimento científico no período de 1978 a 1987; legitimando-se nas políticas de saúde no período de 1988 a 2002; e institucionalizando-se internacionalmente no período de 2003 a 2013 (NOVAES e SOÁREZ, 2020). A consolidação da ATS como prática científica e tecnológica ocorreu nos países desenvolvidos da Europa, América do Norte e na Austrália. A partir da metade dos anos 1990, os sistemas de saúde dos países em desenvolvimento adotaram a ATS em seus processos de decisão para incorporação de tecnologias (NOVAES e SOÁREZ, 2019).

Nas últimas décadas, a avaliação de tecnologias em saúde (ATS) ganhou visibilidade e se disseminou em vários países como produção de conhecimento e política de saúde, vindo a se consolidar como prática científica e tecnológica (NOVAES e SOÁREZ, 2016). No mesmo sentido, Yuba (2018) explica que o setor de saúde se expandiu mediante as mudanças nas necessidades e demandas de saúde e, sobretudo, devido à inovação tecnológica, o que culminou no desenvolvimento na área de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) que, progressivamente, foi ampliando seu escopo para além de campo de conhecimento, vindo a implantar práticas destinadas a políticas de saúde.

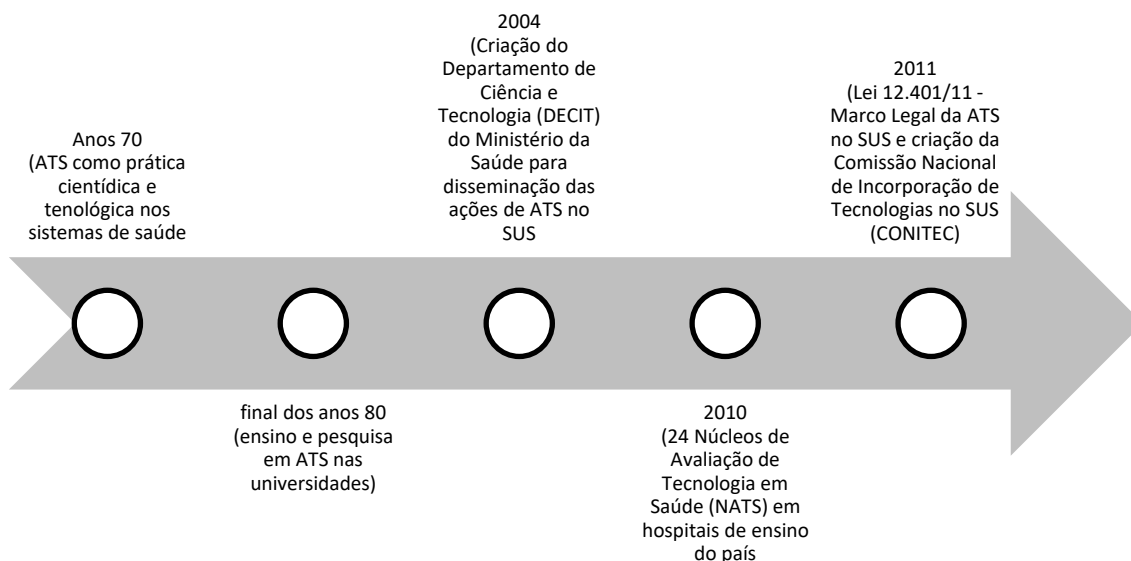
Pela MBE, compreende-se que a Medicina deve se basear em publicações científicas e não em intuição e experiências pessoais. A ATS tem o papel de subsidiar decisões sobre incorporação e financiamento de tecnologias em sistemas de saúde, a partir de evidências científicas (CASTRO e ELIAS, 2018). Segundo Facey et al. (2010), a ATS é uma avaliação de caráter multidisciplinar sobre o uso de uma tecnologia de saúde, no que tange às consequências previsíveis, intencionais ou não intencionais. A ATS tem por

fim assessorar a gestão em saúde, no que tange à tomada de decisões acerca da incorporação de novas tecnologias, prezando pela coerência, racionalidade e efetividade, e adotando uma abordagem política responsável (LIMA et al., 2019).

O primeiro evento no Brasil, voltado formalmente para a ATS, foi realizado em 1983, no formato de seminário internacional promovido pela Organização Pan-Americana de Saúde (LIMA et al., 2019). O tema ATS trilhou um percurso longo até chegar ao sistema vigente. Em 2000, foi criado o Departamento de Ciência e Tecnologia do Ministério da Saúde (DECIT), em 2003 foram formados o Conselho de Ciência, Tecnologia e Inovação do Ministério da Saúde e o Grupo de Trabalho Permanente de Avaliação de Tecnologias em Saúde, em 2005 vieram a Política Nacional em Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde e a Comissão para elaboração de Proposta para a Política Nacional de Gestão de Tecnologias em Saúde (PNGTS) (LIMA et al., 2019).

Somente em 2006, o Brasil passou a fazer parte da Rede Internacional de Agências de ATS, por intermédio do DECIT. Nesse mesmo ano, foi criada a Comissão para Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde – Citec. Em 2009 foi instituída a PNGTS, por meio da Portaria nº 2.690, que foi publicada em 2010 pelo Ministério da Saúde (LIMA et al., 2019). Em 2011 foi instituída a Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde (Rebrats), por meio da Portaria nº 2.915. Também nesse ano, foi alterada a Lei nº 8.080 com a publicação da Lei nº 12.401, que incluiu a previsão explícita sobre a incorporação de tecnologias no Sistema Único de Saúde (SUS) e inovou com a previsão de participação da sociedade mediante representantes do Conselho Nacional de Saúde (CNS), nos processos de avaliação. Além disso, incluiu dispositivo prevendo a obrigatoriedade de consulta pública e audiência pública dentre os procedimentos (LIMA et al., 2019).

No Brasil, o marco legal da ATS no SUS é a Lei 12.401/2011, que instituiu a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - CONITEC, como órgão assessor do Ministério da Saúde (LIMA et al., 2019). A Lei 12.401, enfim, trouxe definições de critérios e prazos, além de inovações no processo de ATS e, sobretudo, criou a CONITEC, que substituiu a Citec (LIMA et al., 2019). Essa trajetória de desenvolvimento e implementação da ATS no Brasil é apresentada por Novaes e Soárez (2020), de onde são extraídos os principais fatos que compõem a seguinte linha do tempo:

Figura 1 – Linha do tempo da ATS no Brasil

Fonte: elaborado pela autora (2025)

Nos últimos anos, diversas publicações destacam que a participação de pacientes e usuários de tecnologias pode contribuir, mediante suas perspectivas e experiências, com a democratização das decisões em processos de ATS (CASTRO e ELIAS, 2018). A OMS definiu em 1948 uma perspectiva de participação cidadã na área da saúde, oferecendo uma perspectiva ampliada para paciente e doença (GRACIA-PÉREZ e GIL-LACRUZ, 2019). Os marcos internacionais mais importantes da evolução da participação cidadã na área da saúde são: a Declaração Universal dos Direitos Humanos (1948); o Pacto Internacional sobre Direitos Civis e Políticos (1966); a Conferência Internacional de Alma Ata (1978); a Carta de Ottawa em 1986; a Conferência de Liubliana realizada pela OMS em 1996, que deu origem à Carta de Liubliana sobre a Reforma dos Cuidados de Saúde na Europa (GRACIA-PÉREZ e GIL-LACRUZ, 2019). Nos anos 90, percebe-se o papel secundário ou subestimado das abordagens sociais acerca da perspectiva do público. Nos anos 2000, o cenário começa a mudar a partir de propostas de estratégias de envolvimento do público advindas das agências de ATS, para incluir uma participação em diferentes etapas do processo (CASTRO e ELIAS, 2018).

A participação popular ou controle social é uma ferramenta de gestão pública, que permite a democratização e a vocalização das demandas sociais por meio de diferentes sujeitos coletivos (GOMES e ORFÃO, 2021). O controle social é a capacidade das classes

sociais interferirem na gestão pública, de forma a orientar as ações do Estado e direcionar os gastos para o interesse coletivo (SOUZA e HELLER, 2019). A participação cidadã decorre da democracia representativa e, por meio de mecanismos, garante que a população participe das atividades políticas e decisões do Estado, sem fazer parte da administração pública e de forma apartidária (FREILE-GUTIÉRREZ, 2014).

Participação social é o termo utilizado no Brasil e constitui uma diretriz do Sistema Único de Saúde (SUS), presente na Constituição Federal (SILVA et al., 2019). É a participação da população, por meio de sua representatividade em instâncias colegiadas de gestão do Sistema Único de Saúde (SUS), quanto à definição, execução, acompanhamento de ações do Estado (GOMES e ORFÃO, 2021). O controle social no SUS tem seu marco legal instituído pela Constituição Federal de 1988, precedido pela própria criação do SUS e Reforma Sanitária (PEREIRA et al., 2019). A Constituição Federal de 1988 é, portanto, o marco central que institucionalizou a participação social no Brasil (SOUZA e HELLER, 2019). Em 1990, sob influência externa, leis infraconstitucionais consolidaram a participação social como direito e dever dos cidadãos: leis 8.080/90 e 8.142/90 (SOUZA e HELLER, 2019).

Segundo Drummond et al. (2013) há três razões para sustentar a participação dos pacientes na ATS: a) os pacientes têm um conhecimento único sobre a tecnologia em avaliação; b) o comportamento do paciente e seus familiares impactam no prognóstico da doença; c) envolver os pacientes confere mais transparência ao processo de ATS e apoio público ao financiamento da ATS. A participação dos pacientes na ATS agrega conhecimento único ao processo, em razão da experiência e vivência com determinada doença ou tecnologia de saúde, capaz de demonstrar situações da vida real a partir de uma visão única sobre o caminho dos cuidados de saúde, e impactar julgamentos e decisões no processo de ATS (FACEY et al., 2010). A participação do paciente é um conceito de várias dimensões, que se equipara a outras denominações como envolvimento do paciente, colaboração do paciente, parceria do paciente (OLIVEIRA e ELER, 2022). A evidência baseada no paciente não é mera informação pessoal, mas trata-se de um conhecimento que apresenta o mesmo valor das evidências científicas e análise econômica presentes na ATS, pois fornecem resultados e conclusões validados por pesquisas que produzem conhecimento científico (OLIVEIRA e ELER, 2022).

O Health Technology Assessment Internacional (HTAi) elaborou princípios que norteiam a participação do paciente na ATS: a) relevância; b) equidade; c) justiça; d) legitimidade; e) capacitação, os quais dialogam com obrigações derivadas do referencial dos direitos humanos (OLIVEIRA e ELER, 2022). Contudo, segundo Oliveira e Eler (2022), não há mecanismos para avaliar se os pacientes tiveram as condições adequadas para a participação no processo de ATS, uma vez que sem a capacitação dos pacientes, a participação é mero formalismo, não sendo capaz de influenciar a decisão. Há um consenso generalizado de que as evidências colhidas nas percepções e opiniões dos pacientes são meros depoimentos, de cunho pessoal, sem relevância científica. As evidências experienciais dos pacientes requerem diferentes abordagens metodológicas, de natureza qualitativa, que acabam contrastando com o paradigma quantitativo presente na ATS (DRUMMOND et al., 2013).

A participação do paciente no processo de ATS é ainda mais complexo quando se trata de doenças raras, pois muitas vezes esse paciente não é visível no processo de comunicação com o meio acadêmico e equipe técnica. Diversos fatores fazem com que as doenças raras sejam negligenciadas pelo meio acadêmico e pelas pesquisas: dificuldade de recrutar pacientes para estudos clínicos, devido aos pequenos números; pouco financiamento para essas pesquisas, devido ao pequeno universo e potencial impacto comercial pós-pesquisa; escolha de abordagens estatísticas (ROSANELI et al., 2021).

A Organização Mundial da Saúde (OMS) definiu doença rara como aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos, ou que a cada 2000 pessoas, 1,3 pessoas têm a doença. O Brasil adotou esta definição. Já os Estados Unidos definem que essas enfermidades afetam menos de 200.000 pessoas. Para a União Europeia, as doenças raras afetam menos de 1 pessoa a cada 2000 pessoas (NOVAES; SOÁREZ, 2019). No contexto brasileiro, as políticas públicas para doenças raras foram consolidadas com a publicação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, instituída pela Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014, do Ministério da Saúde (BRASIL, 2014). Essa política estabelece diretrizes para a organização e ampliação da rede de cuidados, abrangendo ações de promoção, prevenção, diagnóstico, tratamento e reabilitação, integradas entre os níveis de atenção à saúde, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Prevê ainda o incentivo à formação e capacitação de profissionais, à realização de

pesquisas e ao acesso a serviços e medicamentos especializados, articulando-se com instâncias como a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para a avaliação de tecnologias de alto custo. Embora represente um avanço no reconhecimento das necessidades desse grupo populacional, sua implementação enfrenta desafios relacionados à infraestrutura, ao financiamento e à incorporação de terapias inovadoras, que frequentemente demandam decisões complexas e fundamentadas em critérios técnico-científicos e éticos (BRASIL, 2014; SANTOS; PEREIRA, 2020).

Nesse sentido, observa-se que, de janeiro de 1983 a maio de 2010, os EUA, por meio da Food and Drug Administration (FDA), autorizaram 353 medicamentos órfãos para comercialização. Na Europa, de janeiro de 2010 a julho de 2011, foram autorizados 65 medicamentos órfãos para comercialização (NOVAES; SOÁREZ, 2019). No período de julho de 2012 a junho de 2019, a CONITEC recebeu 60 solicitações de incorporação de medicamentos referentes ao tratamento de 30 doenças raras, e incorporou 32 medicamentos ao SUS (BIGLIA et al., 2021).

Na tomada de decisão é necessário considerar aspectos e fatores éticos, e não apenas econômicos, políticos, culturais e legais (FORTES, 2008). O racionamento de serviços de saúde é inerente às políticas públicas, podendo ser implícito ou explícito, com o fim de restringir procedimentos de cuidados de saúde ou, ainda, o acesso aos cuidados de saúde devido aos custos elevados e não suportáveis para o sistema e a sociedade (FORTES, 2008). Um dos critérios éticos para avaliar o que é justo na priorização de recursos para os cuidados de saúde é o utilitarismo, segundo o qual sempre deve ser escolhida a opção que trará mais benefícios para o maior número de pessoas, maximizando o bem-estar e minimizando o dano e o sofrimento. O justo, portanto, seria priorizar os cuidados que mais proporcionassem saúde ao maior número de pessoas, tal como o exemplo da vacinação em massa (FORTES, 2008). Segundo Fortes (2008), o princípio ético utilitarista pode se opor ao princípio ético da equidade, pois as decisões estritamente utilitaristas podem restringir recursos para cuidados mais custosos com baixa cobertura populacional, como transplantes, medicamentos de alto custo, hemodiálise, por exemplo. Uma decisão puramente utilitarista poderia investir mais em São Paulo do que no Maranhão, uma vez que no primeiro estado há um contingente maior de pessoas pobres (FORTES, 2008).

Para compreender este dilema e refletir sobre alternativas éticas de solução dos problemas, a bioética pode contribuir, pois tem a ver com obrigações éticas perante o ser humano (BARCHIFONTAINE e TRINDADE, 2019). A bioética de intervenção pode contribuir com a priorização de investimentos na assistência à saúde das classes sociais menos favorecidas. Contribui para que as políticas públicas tenham como base a equidade, visando diminuir as desigualdades (BARCHIFONTAINE e TRINDADE, 2019). Estruturas econômicas podem perpetuar desigualdades e, por isso, é necessário intervir para promover saúde e corrigir desequilíbrios sociais (BARCHIFONTAINE e TRINDADE, 2019), o que não se alcança sem compreender a equidade. Equidade é um termo polissêmico que, em saúde, é compreendido como a aceitação das diferenças entre as pessoas, no que tange às condições sociais e sanitárias, que geram necessidades diferenciadas. Não é entendida como igualdade, mas sim como garantir o que cada um precisa conforme sua necessidade (FORTES, 2008).

Segundo os estudos, no mundo contemporâneo prevalece uma característica marcante que é o dilema ético sobre a distribuição de recursos escassos na área da saúde, em que são confrontados princípios como o individualismo e a solidariedade e, nesse dilema, a reflexão bioética pode contribuir com a maximização do consenso sobre normas práticas que envolvem os cuidados de saúde (FORTES, 2008). É difícil falar em princípios da bioética, como o da autonomia, quando não se tem o básico, que é comida na mesa. Há correlação entre pobreza e enfermidade, saneamento básico e acesso aos serviços de saúde. Há uma escassez no emprego do termo "solidariedade" em bioética, quando deveria ser destacado, pois estimula o respeito aos direitos humanos (BARCHIFONTAINE e TRINDADE, 2019).

Ainda que os estudos reforcem que estudar a equidade de direitos é necessário ao campo científico e que a participação social precisa ser ampliada, ainda não se analisou a interface entre participação social e equidade e, no contexto da ATS, como a equidade tem sido abordada nos relatórios da CONITEC e sua interface com a participação social. Apesar de a literatura demonstrar que a participação do paciente difere da dos outros interessados, por sofrer impacto direto da tecnologia em sua vida e sobrevivência, pouco se sabe sobre os aspectos éticos e as dimensões sociais da participação do paciente nos processos de incorporação de tecnologias conduzidos pela CONITEC (CASTRO e ELIAS, 2018).

Muito embora estudos recentes mostrem que tanto na União Europeia quanto no Brasil, foram aprovados incentivos para novas terapias para doenças raras, é preciso ampliar a busca de entendimento das vulnerabilidades que pessoas com doenças raras e seus familiares passam em sua rotina de vida, bem como estudar o tema sob a perspectiva da bioética e da psicologia (BROTTO e ROSANELI, 2021). Da mesma forma, muito embora haja pesquisas confirmando a existência de barreiras na comunicação no contexto das doenças raras, ainda é preciso compreender as barreiras de comunicação para esses pacientes no processo de ATS junto à CONITEC. É preciso entender a relevância de se aprofundar na reflexão crítica envolvendo as doenças raras e valores como dignidade, liberdade, autonomia e respeito às especificidades, para que a saúde seja ofertada de forma justa (ROSANELI et al., 2021).

Os estudos pouco abordam as estratégias para garantir participação em demandas de doenças raras e não avaliam a qualidade das contribuições nos instrumentos existentes (LIMA et al., 2019). Apesar dos diversos artigos recentes relatarem as dificuldades e desafios enfrentados pelos pacientes com doenças raras, no que tange à disponibilidade de tratamentos e incorporação de novos medicamentos no SUS, não foram encontrados estudos sobre a influência do apoio social nas decisões da CONITEC e se elas consideraram o valor social do medicamento para doença rara, além do valor econômico, em seus relatórios. Em que pese o apelo de alguns estudos para o diálogo entre os agentes participantes do processo de ATS, sobretudo envolvendo o paciente, ainda é desconhecido o impacto da participação social na incorporação de novos medicamentos e drogas órfãs para doenças raras.

Diante da discussão ora apresentada, questiona-se: em que medida as vulnerabilidades dos pacientes com doenças raras influenciam a mudança da decisão preliminar para a decisão final, após consulta pública, nos processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) conduzidos pela CONITEC? Trata-se de um tema relevante e importante para o campo CTS e para a ATS, uma vez que, apesar da denominação “doenças raras”, já foram identificadas mais de 7.000 enfermidades dentro dessa condição, o que representa um número significativo da população e essas doenças demandam cuidados especializados e complexos, sendo que 80% são variáveis de origem genética (NOVAES e SOÁREZ, 2019; ROSANELI et al., 2021). No final de 2013, a Orphanet tinha em sua base de dados aproximadamente 2500 associações de pacientes

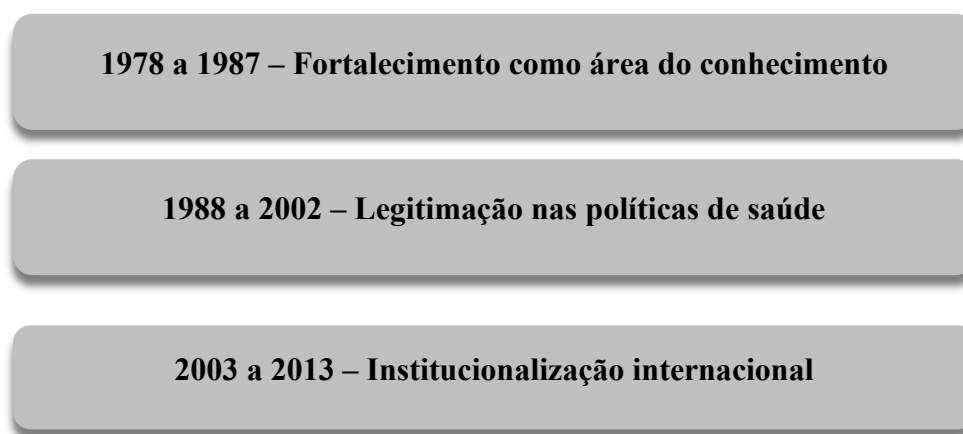
com doenças específicas (NOVAES e SOÁREZ, 2019). Ainda que estudos abordem a importância do envolvimento e participação do paciente na ATS, sobretudo nas demandas de doenças raras, ainda não se sabe se os instrumentos existentes no contexto nacional, ou seja, na CONITEC, são suficientes e efetivos para compreender e absorver as vulnerabilidades dos pacientes com doenças raras e seus familiares, garantindo-lhes equidade no acesso às novas tecnologias. Muito embora existam estudos que identificam dilemas éticos na gestão dos recursos de saúde, inclusive no processo de incorporação de novos medicamentos no SUS, sobretudo nas demandas de doenças raras, o tema ainda foi pouco debatido pela perspectiva da bioética.

2. APORTES TEÓRICOS

2.1 A ATS NO CENÁRIO INTERNACIONAL

Historicamente, segundo Novaes e Soárez (2020), a ATS teve três fases de expansão e difusão:

Figura 2 – Fases de expansão e difusão da ATS



Fonte: elaborado pela autora (2025)

A ATS representa o contrato social acerca das tecnologias em saúde que serão assumidas pela sociedade, ao tempo em que define as que não serão pagas, criando, dessa forma, listas positivas e negativas de coberturas (OLIVEIRA; ELER, 2022). O conceito de ATS, segundo Yuba (2018), também evoluiu com o tempo devido ao crescimento do número de publicações nesta área, as quais se concentraram principalmente no Reino Unido, Canadá e Estados Unidos.

A Austrália, onde o programa de ATS foi instituído na década de 1980, foi o primeiro país a exigir análise de custo-efetividade para incorporar novos medicamentos em seu sistema público de saúde, mantendo, dessa forma, processos interligados entre a ATS e a incorporação de novas tecnologias (LIMA et al., 2019). O programa de ATS na Austrália analisa a segurança, efetividade clínica e custo-efetividade das demandas, que são analisadas pelos comitês de ATS, o Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) e o Medical Services Advisory Committee (MSAC), formados por especialistas clínicos e representantes dos consumidores, que têm como método de revisão de

evidências a revisão sistemática da literatura e modelos de avaliação econômica (LIMA et al., 2019; KIM et al., 2021; DEPARTMENT OF HEALTH AND AGED CARE, 2024).

No Canadá, o programa de ATS surgiu em 1988, tendo ações nacionais e locais, tendo em vista o seu sistema de saúde nacional e financiado pelo Estado, com gestão descentralizada e planos de saúde com financiamento público (LIMA et al., 2019). A Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) atua na análise técnica e na emissão de recomendações para todo o país, em um modelo que combina avaliações clínicas e econômicas como base para a tomada de decisão (BERGLAS et al., 2016; JENEI e MEYERS, 2023). As atividades de ATS no Canadá contam com a participação de equipes permanentes de avaliação e programas financiados pelo governo, tendo por escopo avaliar a efetividade clínica e fatores econômicos. Seus relatórios pouco abordam questões éticas e sociais, e suas decisões não são aplicadas em âmbito nacional (LIMA et al., 2019).

No Reino Unido, o programa de ATS surgiu no início da década de 1990, primeiramente com o Health Technology Assessment Programme – HTA Programme, o qual, em 2005, foi renomeado para National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). O NICE é responsável por elaborar recomendações vinculantes ao Serviço Nacional de Saúde (NHS) e estruturado a partir de processos formais de avaliação econômica e revisão clínica (LONGWORTH et al., 2013; CAMPBELL et al., 2017). No entanto, não é responsável pela incorporação de tecnologias no NHS, cabendo-lhe apenas assessorar os órgãos responsáveis pelo planejamento de políticas públicas (LIMA et al., 2019). O NICE mantém o Comitê de Avaliação de Tecnologias (Technology Appraisal Committee), formado com membros do Sistema Nacional de Saúde, organizações de pacientes, da academia e da indústria, o que lhe confere um caráter independente. Quanto aos relatórios de avaliação, previamente é delegada a sua preparação a grupos acadêmicos independentes. As recomendações do NICE, referentes à ATS, são revisadas a cada três anos ou sempre que surgirem novos dados relevantes (LIMA et al., 2019).

Para assessorar o Sistema Nacional de Saúde do Reino Unido, o NICE se pauta na visão dos profissionais de saúde e de pacientes, cuja estratégia minimiza a pressão exercida por grupos interessados, como da indústria e políticos (LIMA et al., 2019). O NICE é reconhecido pelo trabalho de qualidade e envolvimento de pacientes e profissionais de saúde. No entanto, também apresenta dificuldades e pontos fracos, tais

como a dificuldade de identificar tecnologias fracassadas, falta de informações sobre prestação de contas e a morosidade do processo de avaliação, que dura aproximadamente de 39 a 54 semanas, dependendo do tipo de demanda (LIMA et al., 2019).

Na Alemanha, o marco regulatório estabelecido pela lei AMNOG em 2011 fortaleceu o papel do Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), que realiza a avaliação técnica, e do Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA), responsável pela decisão final de incorporação, compondo um sistema que articula análise científica e deliberação colegiada (RUOF et al., 2014; CRA, 2019).

Nos Estados Unidos, embora não haja uma agência governamental única, destaca-se o papel do Institute for Clinical and Economic Review (ICER), que produz avaliações independentes e se tornou referência para seguradoras e formuladores de políticas (GERLACH et al., 2020)

No Brasil, o marco legal da ATS no SUS é a Lei 12.401/2011, que instituiu a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) como órgão assessor do Ministério da Saúde, que avalia tecnicamente as demandas de incorporação e emite recomendações (LIMA et al., 2019).

O número de agências de ATS vem crescendo, o que se pode constatar pelo número de membros das principais instituições que congregam a categoria: a) International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA) com 55 agências; European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA) com 51 participantes; Rede de Avaliação de Tecnologias das Américas (RedETSA) com 25 organizações (NOVAES; SOÁREZ, 2016). A maioria das agências de ATS não têm independência política, muito embora demonstrem ter independência científica, por funcionarem dentro de estruturas de governança amplas (NOVAES; SOÁREZ, 2016). Mais recentemente, a União Europeia avançou na tentativa de harmonização desses processos com a Regulação Europeia de ATS (HTAR), coordenada pela EUnetHTA 21, que estabeleceu os Joint Clinical Assessments (JCAs) como instrumentos comuns para avaliações clínicas em todos os Estados-Membros (URBINA et al., 2024).

Dentre as principais organizações de ATS, destacam-se portanto: o PBAC na Austrália, criado em 1953; o SBU na Suécia, criado em 1987; o Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health – CADTH, existente desde 1989; o NICE no Reino Unido, criado em 1999; a AHRQ nos EUA, criada em 2003; o IQWiG na Alemanha; a

Haute Autorité de Santé (HAS) na França, estabelecido em 2005; o Centro Nacional de Excelencia Tecnológica en Salud (CENETEC) no México, criado em 2004; o IETS na Colômbia, criado em 2012; a CONITEC no Brasil, criada em 2011 (NOVAES; SOÁREZ, 2016).

Quanto à estrutura organizacional das agências de ATS, o modelo governamental é o que prevalece, estando inseridas ou vinculadas aos organogramas do sistema de saúde público. A maioria das agências busca atuar com independência em relação aos gestores do sistema, evitando se envolver nos conflitos de interesses e agindo com transparência (NOVAES; SOÁREZ, 2016). A maioria das agências está focada no estudo de novos medicamentos, cujas abordagens são mais bem estabelecidas em comparação com outras tecnologias (NOVAES; SOÁREZ, 2016).

Um ponto comum entre as agências de ATS é a preocupação com a isenção ou imparcialidade em relação aos órgãos financiadores e clientes e, por isso, procuram se apresentar como organizações autônomas (NOVAES; SOÁREZ, 2016). Um outro ponto comum é o modelo dominante para a tomada de decisão, em que há uma solicitação de cobertura que pode vir do financiador, do paciente, do prestador de serviço ou do fabricante, a qual passa por uma avaliação científica e técnica e, na sequência, por uma apreciação econômica e política. Apesar de distintas as responsabilidades da agência de ATS e dos tomadores de decisão, há uma interação entre eles durante os estudos que fazem parte da ATS (NOVAES; SOÁREZ, 2016).

Nos últimos anos, estudos internacionais têm apontado tendências emergentes na prática da ATS. Além da inovação tecnológica, a literatura internacional também analisa a ATS sob a perspectiva de instituição com múltiplos mecanismos de impacto. Millar (2021) destaca elementos como a capacidade de conduzir avaliações de alta qualidade, integrar-se aos processos de formulação de políticas, manter comunicação externa eficaz, preservar a reputação institucional, negociar preços e garantir a implementação das recomendações. Por sua vez, Bertelsen et al. (2024) exploram o avanço do engajamento de pacientes e a integração dos dados de experiência do paciente (PXD) nas avaliações e decisões regulatórias, reconhecendo, entretanto, que barreiras metodológicas e estruturais ainda limitam o uso pleno dessas informações.

2.2 ARCABOUÇO LEGAL DA PARTICIPAÇÃO SOCIAL

Os marcos internacionais mais importantes da evolução da participação cidadã na área da saúde são: a Declaração Universal dos Direitos Humanos (1948); o Pacto Internacional sobre Direitos Civis e Políticos (1966); a Conferência Internacional de Alma Ata (1978); a Carta de Ottawa em 1986; a Conferência de Liubliana realizada pela OMS em 1996, que deu origem à Carta de Liubliana sobre a Reforma dos Cuidados de Saúde na Europa (GRACIA-PÉREZ e GIL-LACRUZ, 2019).

Carvalho, em 1978, já destacava as possíveis iniciativas de participação comunitária em torno da problemática da saúde, quais sejam: (i) ação reivindicatória: nasce das “dores” sentidas por uma população que tem necessidades não atendidas pelos serviços oferecidos pela administração pública, sendo frequente que essa ação ganhe força mais pela confiança no poder que projetam no agente, do que na confiança na ação coletiva e transformadora da comunidade, a qual ela não se vê como autora, mas como colaboradora, e essa visão ou percepção consolida uma visão conformada e reforça relações de dependência e de poder, na contramão da autonomia, visão crítica e aprofundamento do nível de consciência acerca dos problemas; (ii) ação tipo mutirão: nasce a partir da discussão dos problemas de saúde e busca de soluções, em que se percebe uma relação de troca entre o acesso ao financiamento e a participação e desempenho da comunidade, sendo que essa ação estimula formas estereotipadas de participação e se mostra estéril para ações de conscientização; (iii) grupos de saúde: são formas mais seletivas de participação da comunidade e, a partir de treinamentos locais, é esperado que grupo produza progressivamente e seja capaz de exercer atividades simplificadas de saúde, tanto preventivas quanto curativas, sendo que, ao adquirirem conhecimentos e técnicas, as pessoas passam a reproduzir o comportamento de representantes do agente e se distanciam do objetivo original, que é a resolução dos problemas da comunidade. As ações do grupo, portanto, se mantêm nos limites técnicos e individuais.

Nos anos 90, percebe-se o papel secundário ou subestimado das abordagens sociais acerca da perspectiva do público. Nos anos 2000, o cenário começa a mudar a partir de propostas de estratégias de envolvimento do público advindas das agências de ATS, para incluir uma participação em diferentes etapas do processo (CASTRO e ELIAS, 2018).

O Brasil tem sua formação histórica marcada por períodos de governos populistas e períodos de governos centralizadores e não democráticos. Nessa trajetória destacam-se o período populista de Getúlio Vargas (1930-1937), o período ditatorial do Estado Novo (1937-1945), um período democrático populista, logo após o fim da segunda grande guerra (1946-1964) e o regime militar (1964-1985) (SILVA, 2020). No período do regime militar, a partir da destituição do Presidente João Goulart em 1964, o país vivenciou uma grande centralização do poder pelo governo central, em que o poder Federal se fortaleceu em detrimento dos Estados e Municípios. Este período, marcado pelo caráter centralizador e planejador do Estado Brasileiro, demonstra ausência de participação da sociedade, ausência de controle social sobre a administração e nenhum diálogo com os interessados e beneficiários das políticas sociais (SILVA, 2020). Durante o regime militar foi criado o Instituto Nacional de Previdência Social (INPS), que tinha o objetivo de garantir que o governo federal fosse o único controlador do novo instituto, a quem coube um grande volume de capitais, com o qual o governo financiou o setor privado de saúde (SILVA, 2020).

Diante da realidade que se impunha no regime militar, surge um movimento encabeçado por trabalhadores dos serviços públicos, professores e alunos que passaram a questionar as ações do governo, vindo a fundar os departamentos de medicina nas universidades públicas a partir de 1968, com a reforma universitária. Esse movimento ficou conhecido como Movimento de Reforma Sanitária Brasileira (ZAMBON e OGATA, 2013; ACIOLE, 2003; SILVA, 2020), que se uniu a outros movimentos de base em busca do retorno à democracia e da participação da sociedade na formulação de estratégias e políticas públicas de saúde, que foi tema da 8ª Conferência Nacional de Saúde (SILVA, 2020). Vale ressaltar que a 8ª Conferência Nacional de Saúde serviu de referência e base para a constituição do SUS. Com o movimento sanitário veio a preocupação com a justiça social, o que estatuiu o controle social como mecanismo de controle público sobre a ação estatal, por meio dos conselhos paritários e tripartites (ACIOLE, 2003). O movimento sanitário deflagrou a agenda da reforma da saúde que, dentre outras inovações, institucionalizou a participação popular, por meio dos conselhos de saúde (CARVALHO, 1998). Vê-se que o projeto de Reforma Sanitária estava direcionado para a democratização do Estado (ACIOLE, 2003). Importante salientar,

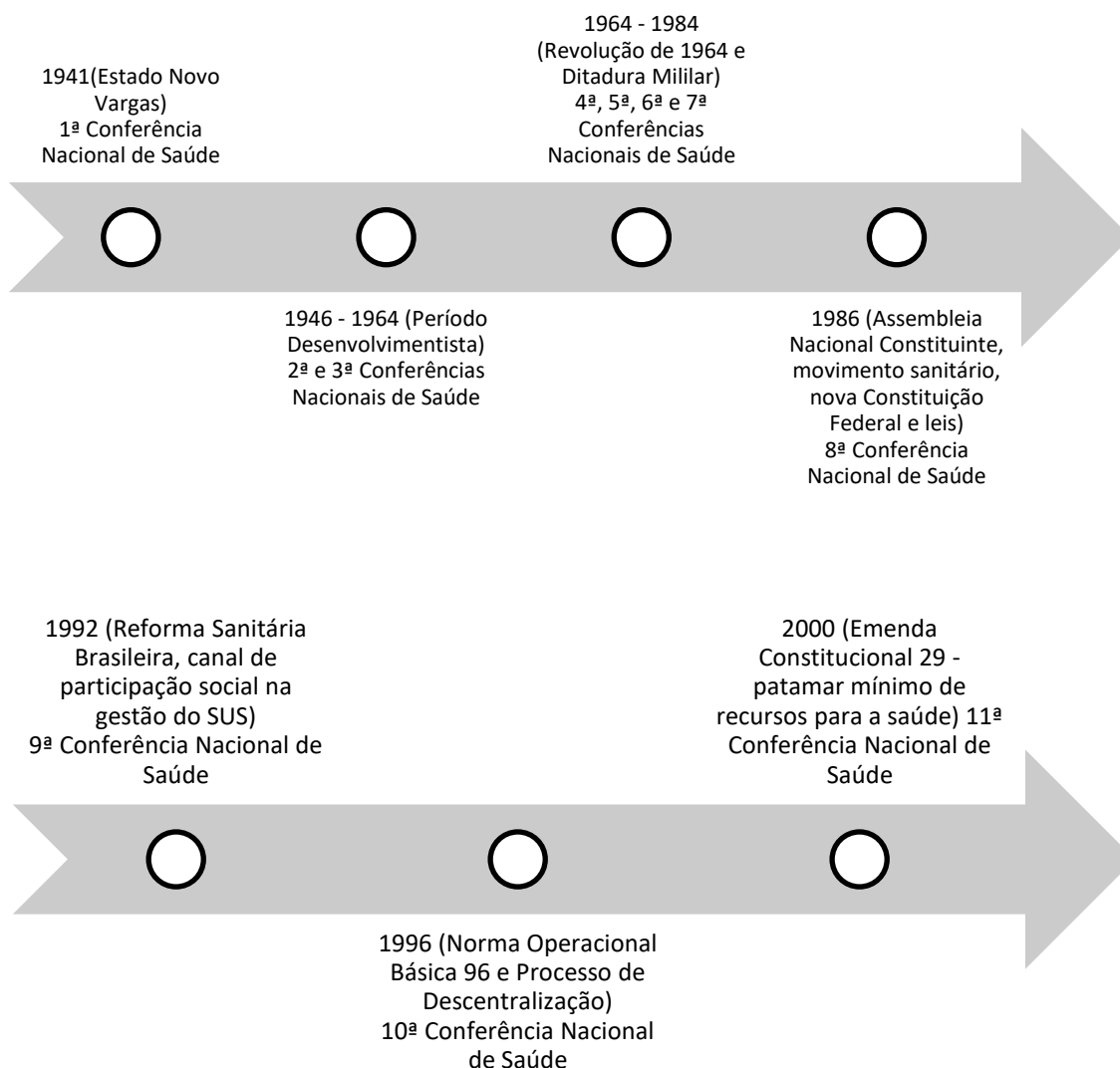
segundo Aciole (2003, p. 78), “que nem o Estado é autoritário, por si só, nem tampouco a sociedade é um espaço democrático em si mesmo.”

Em 1985 termina o período ditatorial e inicia-se a Nova República brasileira. Em 1º de fevereiro de 1987 iniciam-se os trabalhos da Assembleia Nacional Constituinte de 1988, em que nasce a Constituição Cidadã, de caráter democrático social. A Constituição de 1988 constitucionaliza um sistema de saúde público, que vem a se tornar o Sistema Único de Saúde (SUS) pela Lei 8.080/90, sobre os pilares da universalidade, equidade e integralidade. Como O SUS, também se estabelece o controle social, definido pela participação da sociedade em suas ações (SILVA, 2020).

O controle social no SUS tem seu marco legal instituído pela Constituição Federal de 1988, precedido pela própria criação do SUS e Reforma Sanitária (PEREIRA et al., 2019). O Constituição Federal de 1988 é, portanto, o marco central que institucionalizou a participação social no Brasil (SOUZA e HELLER, 2019). Em 1990, sob influência externa, leis infraconstitucionais consolidaram a participação social como direito e dever dos cidadãos: leis 8.080/90 e 8.142/90 (SOUZA e HELLER, 2019). O sistema de participação social do Brasil se tornou modelo para outros países, devido a sua amplitude e capilaridade (OLIVEIRA et al., 2013).

As Conferências Nacionais de Saúde acompanharam importantes mudanças na saúde do Brasil, sendo que as que ocorreram a partir de dois marcos importantes, como a Constituição Federal de 1988 e a lei 8.142/90, contaram com uma expressiva participação do público, tanto de delegados provenientes de Conferência Estaduais e Conferências Municipais, quanto credenciados, observadores nacionais e internacionais, homens e mulheres de diferentes classes sociais, idades, etnias e de várias regiões do país (PINHEIRO et al., 2005). As Conferências Nacionais de Saúde, segundo Pinheiro et al. (2005), foram realizadas na seguinte ordem e cenário político:

Figura 3 – Cenário político das Conferências Nacionais de Saúde



Fonte: elaborado pela autora (2025)

Já o marco legal do controle social em saúde, segundo Souza e Heller (2019, p. 289), pode ser apresentado em ordem cronológica conforme abaixo:

Figura 4 – Cronologia do marco legal do controle social





Fonte: elaborado pela autora (2025)

O primeiro componente desse marco é a Constituição Federal de 1988, que trata da participação da comunidade no SUS. Na sequência, vêm: a Lei nº 8.080/1990 – Primeira Lei Orgânica da Saúde –, que dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes; a Lei nº 8.142/1990 – Segunda Lei Orgânica da Saúde –, que dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do SUS e sobre as transferências intergovernamentais de recursos financeiros na área da saúde; o Decreto nº 5.839/2006, que dispõe sobre a organização, atribuições e processo eleitoral do CNS; a Portaria Ministerial nº 399/2006, que divulga o Pacto pela Saúde; a Portaria Ministerial nº 1.820/2009, que dispõe sobre os direitos e deveres dos usuários da saúde. Também pode ser citado o Decreto nº 7.508/2011, que regulamenta a Lei nº 8.080/1990; a Lei Complementar nº 141/2012, que regulamenta o Art. 198, parágrafo 3º da Constituição sobre valores a investir em saúde; o Decreto nº 7.827/2012, que regulamenta procedimentos de transferência de recursos.

Quanto às resoluções do CNS, têm-se: a Resolução nº 363/2006, que aprova a Política Nacional de Educação Permanente para o Controle Social no SUS, para implementação nas três esferas de Governo; a Resolução nº 453/2012, que define diretrizes para instituição, reformulação, reestruturação e funcionamento dos Conselhos de Saúde (Souza e Heller, 2019, p. 289-290).

A Lei Federal 8.142/90 instituiu os conselhos e conferências de saúde e fez com que se transformassem em agentes de descentralização e democratização de políticas públicas. Os conselhos, portanto, têm mandato legal e segue garantias previstas na legislação (OLIVEIRA et al., 2013). A partir das concepções democráticas da Reforma Sanitária, é possível reconhecer que os conselhos de saúde são instrumento e estratégia no processo de construção de um sistema único de saúde e na estruturação de um modelo de gestão participativa (ACIOLE, 2007; ZAMBON e OGATA, 2013). O Sistema Único

de Saúde está intrinsicamente ligado ao controle social, sendo dele inseparável (ACIOLE, 2007).

Os Conselhos têm por finalidade precípua representar a vontade coletiva, definir o que é interesse público e constitui prioridade para as ações da administração pública. Para tanto, necessitam apropriar-se de conhecimento, tecnologia e informação para legitimarem o seu poder e operacionalizar as suas ações. Os Conselhos de Saúde constituem a institucionalização da participação popular de forma organizada, com perspectiva de mobilização comunitárias e de socialização política. São, ainda, espaços de mediação de conflitos dentro da problemática da saúde, onde deve prevalecer os interesses públicos, sob a forma de um pacto (ACIOLE, 2007).

Segundo Aciole (2007), o espaço institucional dos conselhos e conferências de saúde têm sido uma arena para associações e organizações da sociedade civil explicitarem suas pautas e suas necessidades, em reconhecimento da saúde como direito de todos e dever do Estado. A arena dos conselhos dá eco e amplificam suas reivindicações. O movimento sanitário teve como premissa a defesa de que todo cidadão deve exercer o direito à saúde e, para isso, deve se apropriar de conhecimentos e tecnologias, o que, no espaço institucional dos conselhos e na prática do controle social, isso significa uma apropriação que distingue seus membros, enquanto indivíduos, perante o colegiado que representam. O SUS está alicerçado no controle social e, enquanto elemento constituinte desse controle, os conselhos de saúde têm a atribuição de construir pactos que evidenciem o que é interesse comum, público e prioritário (ACIOLE, 2007).

Os conselhos de saúde não são o único mecanismo de participação social na defesa dos interesses dos cidadãos, há ainda o exercício do controle social pelo Ministério Público e por alternativas individuais, como o direito de petição de qualquer pessoa física ou jurídica aos Poderes Públicos, o mandado de segurança individual e o mandado de injunção. Paralelo a estes, o direito à saúde tem a proteção da Constituição e do Código de Defesa do Consumidor, além da ação direta de inconstitucionalidade (ACIOLE, 2003).

Para todas as alternativas, pressupõe-se a necessidade de desenvolvimento da consciência coletiva para que os princípios jurídico-normativos sejam concretizados na vida real (ACIOLE, 2003). A participação popular deve priorizar a construção de sujeitos, que passa pela compreensão da concepção de cidadania e pelo desafio de promover a descentralização de recursos, de forma a tornar a gestão financeira do sistema

mais democrática e a distribuição do poder mais igualitária (ACIOLE, 2007). A efetividade do conselho de saúde passa pela construção da cultura da participação e do sujeito coletivo e, que detém poderes técnico, organização e político, e se constitui de maneira autônoma, apesar de sua origem institucional, para garantir plenitude as suas ações e seu papel fiscalizador (ACIOLE, 2007; SILVA, 2020).

Segundo Carvalho (1998, p. 23), “os Conselhos de Saúde, na verdade, são expressões institucionais de um processo mais amplo de reordenamento das relações Estado-sociedade, impulsionado por forças e fatores tanto endógenos quanto exógenos ao aparelho de Estado.” Preconiza o autor que os Conselhos têm em sua origem a finalidade de conferir ao Estado um ânimo institucional para implementar políticas sociais universalistas, tal como previsto na Constituição de 1988. Por meio dos Conselhos, foi oferecido ao Estado uma estrutura organizacional para esse fim. Os Conselhos compõem uma democratização do Estado e, como canal de participação social, deve ser avaliado quanto a sua efetividade democrática e, sendo assim, qual o seu impacto sobre a vida social e sobre o funcionamento do Estado (CARVALHO, 1998).

É relevante destacar que a Norma Operacional Básica nº 01, editada em 1991, impulsionou a criação de um número elevado de conselhos, pois tornou obrigatória a existência de conselhos municipais e estaduais, como requisito de habilitação para acesso à descentralização de recursos federais (CARVALHO, 1998; ACIOLE, 2003). Assim, Aciole (2003) considera que o funcionamento do conselho está ligado ao seu processo de criação e formação, ou seja, ao propósito de sua instalação. Se foi formado para atender ao interesse formal de habilitação para recebimento de recursos federais, mais formal será o seu trabalho. O desempenho dos conselhos de saúde sofre influência de fatores socioculturais históricos, tais como a rasa cultura cívica cumulada com uma cultura política dominante, a figura tradicional de Estado autoritário, o que fragiliza a organização de estruturas associativas e a permeabilidade participativa popular (OLIVEIRA et al., 2013).

Os Conselhos de Saúde estimulam o exercício da cidadania e, em suas interações, possibilita que outros grupos ganhem identidade e organicidade, tais como as organizações de pacientes, que conquistam notoriedade no cenário da saúde cada vez mais (CARVALHO, 1998).

Aciole (2003) propõe uma mudança de posturas e de valores para enfrentar as variáveis políticas, econômicas e a influência de empresas que dominam o mercado, para romper vieses totalitários e sair do mero cumprimento da lei. Acredita que é necessário discussão coletiva acerca dos problemas na saúde pública para se chegar a um consenso de soluções. O conselho deve se legitimar como agente ativo, capaz de ocupar espaço institucional e político, tanto nos meios de comunicação, quanto no Poder Legislativo e no Poder Judiciário, de forma a homologar e legitimar o direcionamento do interesse público. No processo decisório sobre as demandas e pactuação de interesses para definição de políticas públicas, o primeiro passo é estabelecer o que realmente é de interesse público (ACIOLE 2003).

2.3 A PARTICIPAÇÃO SOCIAL NA ATS

No processo de ATS e incorporação de novas tecnologias em saúde, diante do ritmo acelerado das inovações e da escassez de recursos, é necessário conciliar as diferentes perspectivas dos pagadores ou gestores do sistema de saúde, dos fabricantes e dos pacientes, que são as mais importantes, aproximando-os num diálogo precoce (DRUMMOND et al., 2013). Estudos demonstram que há alternativas de estratégias para conciliar os diferentes interesses e perspectivas dos pagadores, fabricantes e pacientes, na ATS. Também é importante sustentar a ideia de ampliar a participação do paciente no processo de ATS pelas seguintes razões: os pacientes têm um conhecimento único sobre a tecnologia; o comportamento do paciente e seus familiares podem impactar no prognóstico da doença; envolver o paciente aumenta a transparência e confere apoio público para o financiamento da ATS (DRUMMOND et al., 2013). Os estudos mostram que a participação do paciente no processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) difere da dos demais atores sociais, uma vez que a tecnologia a ser incorporada tem impacto direto na sua vida e bem-estar, e até mesmo pode influenciar na sua sobrevivência (OLIVEIRA e ELER, 2022).

Estudos vêm mostrando que é importante a participação dos pacientes na ATS de forma significativa, capaz de influenciar as decisões, pois somente os usuários conhecem as questões sociais e psicológicas relacionadas ao uso da tecnologia (FACEY et al., 2010). Pesquisas indicam que apesar de existirem estratégias de envolvimento do público na

ATS, a produção científica mostra que elas se limitam à consulta e não há uma inserção efetiva no processo decisório de incorporação da tecnologia (CASTRO e ELIAS, 2018). A literatura demonstra uma variedade de abordagens, métodos e estratégias de envolvimento do público no processo de ATS, de forma a identificar uma distância entre participação e efetividade, uma vez que os estudos mostram que o público não influencia as decisões (CASTRO e ELIAS, 2018).

De acordo com as pesquisas recentes, o desenvolvimento da genética e da genômica trouxe novas perspectivas para as doenças raras e drogas órfãs, o que impõe a necessidade de novas concepções científicas e metodológicas para a ATS, sendo necessário expandir o diálogo e aprimorar os processos deliberativos participativos, para que as decisões tenham apoio social, visto que o valor dos tratamentos de doenças raras gera conflitos e desafios para a produção de conhecimento e de políticas públicas. (NOVAES e SOÁREZ, 2019). Estudos mostram que tanto na União Europeia quanto no Brasil, foram aprovados incentivos para novas terapias para doenças raras, o que não significa garantia de maior acesso aos medicamentos nos sistemas de saúde. Está sendo proposta uma nova ferramenta aos processos de ATS, a decisão multicritérios, que considera diferentes valores e critérios, além dos clássicos (VICENTE et al., 2021). O National Institute for Health na Clinical Excellence (NICE), agência de ATS do Reino Unido, adotou critérios diferenciados para utilizar de modo formal nas avaliações em doenças raras e capturar: “a necessidade clínica não atendida; o nível de inovação; a qualidade de vida (baseada em relatos) e o preço baseado em valor, visando uma tomada de decisão ampliada para esses medicamentos” (VICENTE et al., 2021, p. 5543).

O estudo de Itaborahy et al. (2025) evidencia que a participação leiga em processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) depende de estratégias estruturadas de aprendizado que tornem esse campo mais acessível e inclusivo. A revisão identificou práticas como oficinas, cursos presenciais e online, materiais educativos em linguagem simples e mecanismos digitais de consulta, que buscam capacitar pacientes e cidadãos para compreender e interagir com decisões técnicas. Apesar dos avanços, persistem barreiras como a complexidade técnica, falta de treinamento e recursos limitados, que restringem a efetividade dessa participação. Ainda assim, os autores destacam que a incorporação de perspectivas leigas amplia a relevância das pesquisas,

fortalece a transparência e promove maior legitimidade e equidade nos processos decisórios em saúde.

Jakab *et al.* (2023) ressaltam que os países da Europa Central e Oriental ainda apresentam estágios menos avançados de incorporação da participação de pacientes nos processos de avaliação de tecnologias em saúde. A partir de um levantamento de barreiras e da realização de oficinas com múltiplos atores, os autores formularam 12 recomendações práticas voltadas para promover um envolvimento mais sistemático, sustentável e significativo dos pacientes:

1. **Educar as organizações de ATS/pagadores** sobre o valor e as boas práticas do envolvimento de pacientes.
2. **Reconhecer pacientes como especialistas** em suas condições, valorizando igualmente as contribuições de pacientes individuais, representantes de organizações e especialistas treinados.
3. **Revisar as diretrizes e procedimentos locais de ATS**, incorporando pacientes em todas as etapas e considerando fatores sociais e experiências vividas.
4. **Designar uma pessoa ou equipe dedicada** em cada organismo relevante de ATS para coordenar as atividades de participação.
5. **Definir um percentual fixo do orçamento anual de ATS** a ser destinado às atividades de envolvimento de pacientes.
6. **Assegurar compensação justa e apoio logístico** (tempo, custos de transporte etc.) aos pacientes envolvidos.
7. **Criar editais financiados pela União Europeia** para fomentar práticas de avaliação centradas nos pacientes em países com pouca experiência.
8. **Estabelecer chamadas públicas abertas** para que pacientes e organizações possam se registrar e participar dos processos de ATS, com políticas claras sobre conflitos de interesse.
9. **Oferecer treinamentos específicos e materiais educativos** para pacientes sobre ATS e políticas de saúde locais.
10. **Capacitar organizações de pacientes na coleta e interpretação de evidências científicas**, com base em recursos educacionais internacionais.
11. **Estimular a diversificação das fontes de financiamento** das organizações de pacientes, reduzindo a dependência de um único financiador.

12. **Criar financiamento público normativo para ONGs**, acompanhado de auditoria rigorosa e expectativas detalhadas de responsabilidade, sem proibição de financiamento privado.

O estudo enfatiza que reconhecer o valor da experiência vivida, oferecer capacitação adequada e garantir apoio institucional são condições indispensáveis para que a participação deixe de ser pontual e se torne parte estruturante das avaliações e decisões em saúde. (JAKAB et al., 2023)

A experiência internacional mostra que a participação social em ATS vem sendo utilizada como forma de reduzir parte da incerteza clínica e contextual nas decisões sobre doenças raras. Isso ocorre, sobretudo, por meio de depoimentos estruturados de pacientes e cuidadores e de consultas públicas a rascunhos de recomendação. No NICE, esse desenho institucional inclui a presença formal de *patient experts* (pacientes especialistas) nos comitês de avaliação, além de políticas de envolvimento público que integram relatos sobre carga da doença, trajetórias terapêuticas e preferências dos pacientes ao processo de julgamento (NICE, 2022; Hale, 2023). Essas contribuições são especialmente relevantes nas vias de avaliação de tecnologias altamente especializadas (Highly Specialised Technologies – HST) e de tecnologias únicas (Single Technology Appraisal – STA), onde a escassez de evidência clínica é mais pronunciada.

Ainda assim, análises independentes apontam que, apesar dos avanços, as revisões metodológicas recentes do NICE não resolvem integralmente as assimetrias associadas às doenças raras. Como observa Angelis (2023), permanecem desafios para traduzir a experiência dos pacientes em critérios formais de custo-efetividade, de modo que a participação, embora legitimadora, não elimina as barreiras estruturais à incorporação dessas tecnologias no sistema de saúde.

No Canadá (CADTH), o *patient input* (contribuições de pacientes) funciona como instrumento formal e recorrente, permitindo que organizações de pacientes agreguem valor contextual e prioridades de desfechos às revisões. Estudos recentes sobre drogas para doenças raras indicam alta proporção de recomendações condicionais, nas quais as contribuições sociais caminham junto com condições de uso e arranjos econômicos — padrão que ecoa nos processos brasileiros com mudança de parecer após melhor delineio de subgrupos, elegibilidade e proposta de preço (CADTH, 2019-2025). Em 2025, o Canadá publicou boas práticas para registros de doenças raras, incentivando

dados do mundo real para sustentar decisões e reavaliações, o que potencializa o impacto das vozes de pacientes ao ancorar relatos em evidência longitudinal (CDA-AMC, 2025).

Na Austrália, os *consumer comments* (comentários de pacientes e cuidadores) e a agenda pública do PBAC vêm sendo redesenhados sob uma lógica de engajamento mais precoce e notificação tempestiva para qualificar as submissões. As recomendações de 2024 sugerem codesenho de instrumentos com pacientes e clínicos e maior orientação sobre que evidências (inclusive de experiência) são mais úteis para comitês; ao mesmo tempo, o Life Saving Drugs Program canaliza contribuições de *stakeholders* (atores sociais) para medicamentos ultrarraros, com sínteses formais encaminhadas ao painel (DEPARTMENT OF HEALTH, DISABILITY AND AGEING, 2024, 2025). Esses arranjos conectam participação social a mecanismos de acesso gerenciado, favorecendo revisões condicionais quando há benefício plausível sob incerteza (DEPARTMENT OF HEALTH, DISABILITY AND AGEING, 2024, 2025).

Na União Europeia, a entrada em vigor (2025) do Regulamento de HTA e os resultados do EUnetHTA 21 reforçam a necessidade de participação estruturada de pacientes em Joint Clinical Assessments, ao lado de cooperação com a EMA (Agência Europeia de Medicamentos). Relatos de 2023–2024 destacam desafios (coordenação, padronização de formatos) e oportunidades (treinamento, pacotes informacionais, fóruns) para que a voz do paciente tenha peso consistente no dossiê clínico comum — o que, por extensão, possa influenciar decisões nacionais para doenças raras (EMA/EUnetHTA, 2023; Urbina, 2024).

No Brasil, a CONITEC disponibiliza consultas públicas, audiências e espaço de perspectiva do paciente; o portal centraliza acessos e indica a incorporação das contribuições no processo decisório. A atualização do conteúdo institucional em agosto de 2025 demonstra maturidade procedimental, com ênfase em registro e transparência (CONITEC, 2025). Esses instrumentos explicam por que, nos seus casos, a mudança de parecer costuma surgir quando contribuições sociais qualificadas trazem evidências de uso real, gravidade e impacto orçamentário percebido, frequentemente acompanhadas de ajustes econômicos e condições de uso (CONITEC, 2025).

Lopes, Novaes e Soárez (2020) realizaram uma análise documental de legislações, normas e relatórios disponibilizados pela Anvisa, CONITEC e ANS até 2018, com o objetivo de caracterizar os espaços formais de participação social na gestão de

tecnologias em saúde. As autoras mapearam mecanismos como a possibilidade de atuação como demandante inicial, a representação em colegiados, além de consultas públicas, audiências e ouvidorias, comparando sua frequência, transparência e obrigatoriedade em cada instituição. Os resultados mostraram que a CONITEC, por força legal, apresentou maior número de consultas públicas (234 entre 2011 e 2018, com mais de 53 mil contribuições), enquanto a Anvisa e a ANS se destacaram pela ausência de obrigatoriedade de envolvimento do público e pela existência de lacunas na divulgação de informações sobre os processos conduzidos, sobretudo nos anos iniciais de atuação, mesmo após requisição formal. Essa constatação levou as autoras a concluir que, embora haja avanços normativos, ainda persiste heterogeneidade e limitações na efetividade da participação social, com impactos na sua capacidade de influenciar decisões em saúde no Brasil.

Tabela 1 – Instrumentos formais das agências de ATS

Agência	Instrumentos formais	Como ocorre	Pontos ligados a doenças raras / impacto
CONITEC (Brasil)	Consultas públicas; audiências públicas; perspectiva do paciente; relatório para a sociedade	Consultas via Participa+Brasil; atas/áudios; espaço para contribuições leigas e técnicas	Contribuições incorporadas aos relatórios; podem sustentar revisão de recomendação, especialmente com dados de uso real
NICE (Reino Unido)	<i>Patient and public involvement</i> ; <i>patient experts</i> ; consulta a rascunhos; observadores públicos; membros leigos	Manual define papéis de pacientes na triagem, reuniões e comentários; política institucional reforça valor deliberativo	Depoimentos usados para contextualizar desfechos, gravidade e fardo; ganhos e limites reconhecidos
CADTH / Canada's Drug Agency (Canadá)	<i>Patient input</i> ; quadro de engajamento; comentários a recomendações preliminares; diretrizes para registros de doenças raras	Organizações de pacientes submetem evidências e experiências; guias e canal dedicado	Alta taxa de recomendações condicionais; uso crescente de registros para reduzir incerteza
PBAC / HTA Australia	<i>Consumer comments</i> ; hub de consulta; co-design; contribuições ao Life Saving Drugs Program	Janela pública para submissões; propostas ampliam avisos e transparência; painel do LSDP recebe contribuições	Engajamento mais cedo; vias específicas para ultrararas com contribuições de stakeholders
EUnetHTA / UE (JCA)	Fóruns de stakeholders; envolvimento de pacientes em Joint Clinical Assessments; cooperação EMA-HTA	Regulamento de HTA em vigor desde 2025; relatórios de 2023-2024 detalham arranjos e desafios	Caminhos para padronizar participação e envolver pacientes em avaliações conjuntas

Fonte: elaborado pela autora (2025)

No conjunto, as agências convergem para uma arquitetura em que participação social qualificada (relatos estruturados, consultas públicas, fóruns) se associa a mecanismos de mitigação de risco (condições de uso, acordos financeiros, registros/RWE). Em doenças raras, essa combinação tem maior probabilidade de mudar pareceres quando: (i) há reespecificação do problema pelos pacientes (desfechos relevantes, fardo e gravidade), (ii) existe via procedimental clara para incorporar tais contribuições ao texto deliberativo, e (iii) o sistema dispõe de instrumentos para acompanhar e reavaliar (CADTH, 2019-2025; NICE, 2022; EMA/EUnetHTA, 2023-2025).

2.4 PARTICIPAÇÃO DE PACIENTES E ORGANIZAÇÕES NO PROCESSO DE ATS PARA DOENÇAS RARAS E MEDICAMENTOS ÓRFÃOS

A participação de pacientes nos processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) tem ganhado relevância nas últimas décadas, particularmente no contexto das doenças raras e medicamentos órfãos, cuja tomada de decisão enfrenta limitações específicas, como escassez de evidências robustas, alta incerteza clínica e restrições orçamentárias significativas. A literatura indica que, embora o envolvimento de pacientes seja amplamente reconhecido como desejável, sua operacionalização nas diferentes agências de ATS apresenta variações substanciais em termos de formato, profundidade e impacto sobre as decisões finais.

No cenário europeu, estudos como o de Annemans et al. (2017) evidenciam que as agências têm desenvolvido múltiplos mecanismos para captar as perspectivas dos pacientes, desde questionários e entrevistas qualitativas até a inclusão formal de representantes em comitês deliberativos. Entretanto, o grau de influência efetiva dessas contribuições sobre a recomendação final ainda é tema de debate. Dimitrova et al. (2022) propõem um arcabouço de ação para que essa participação seja mais sistemática, defendendo que a incorporação de perspectivas leigas deve estar respaldada por métodos claros de integração às análises técnicas.

Abelson et al. (2016) destacam que a participação pública e de pacientes em ATS é vital para tornar os processos decisórios mais inclusivos e transparentes. Os autores propõem um framework que oferece um conjunto de princípios e metodologias para

envolver pacientes, abordando as diversas formas de participação ao longo das etapas do processo de avaliação. Essa inclusão não é apenas uma questão ética, mas também estratégica, pois pode levar a decisões que melhor atendem às necessidades reais dos pacientes, melhorando a aceitação social das decisões e a implementação das recomendações. Abelson (2016) argumenta que a participação de pacientes é ainda mais crucial quando se trata de medicamentos órfãos, dada a escassez de opções terapêuticas e a complexidade das doenças raras.

Annemans et al. (2017) complementam essa perspectiva ao discutir como a avaliação de valor para medicamentos órfãos deve considerar as particularidades das doenças raras, como a prevalência baixa e a falta de evidências robustas sobre eficácia e custo-efetividade. O estudo propõe que as organizações de pacientes desempenhem um papel crucial na recolha de dados e na definição de critérios de avaliação, ajudando a superar as incertezas associadas ao custo e à eficácia limitada de terapias para essas doenças. A participação ativa dos pacientes e suas organizações nas decisões de preço e reembolso pode contribuir para mecanismos de financiamento mais flexíveis, adaptados às necessidades específicas dessa população.

Hale et al. (2023) vão além ao analisar a abordagem do NICE (National Institute for Health and Care Excellence) para a avaliação de tecnologias de doenças raras, focando na flexibilidade e pragmatismo do processo. Eles observam que, embora a metodologia padrão do STA (Single Technology Appraisal) seja mais adequada para doenças comuns, há uma flexibilidade ao considerar a incerteza nas evidências para doenças raras, o que muitas vezes resulta em tempos de avaliação mais longos e maiores desafios na aceitação dos tratamentos. Hale et al. sugerem que as organizações de pacientes podem ajudar a suprir essa lacuna, oferecendo informações complementares e garantindo que a voz dos pacientes seja levada em conta ao considerar as incertezas associadas à eficácia e ao preço dos tratamentos.

Por fim, Gagnon et al. (2009) discutem o papel das unidades locais de ATS no Quebec, que visam aumentar a participação dos pacientes no nível microscópico das decisões sobre tecnologias de saúde. O estudo sugere que a participação ativa dos pacientes e organizações de pacientes no processo de ATS local pode melhorar a relevância e a aplicabilidade das avaliações, além de fortalecer a adesão das decisões pelos pacientes. Gagnon et al. propõem um *framework* (modelo) para engajamento dos

pacientes, que considera estratégias práticas para incorporar as perspectivas dos pacientes nas atividades de avaliação.

Na perspectiva canadense, Gagnon et al. (2009, 2014) descrevem um processo evolutivo em que a contribuição dos pacientes, inicialmente episódica, foi progressivamente formalizada, com diretrizes para coleta de depoimentos, identificação de desfechos relevantes e retorno estruturado das decisões. Esse modelo é apontado como referência por combinar evidências clínicas, econômicas e narrativas, embora dependa de recursos humanos e financeiros para sua plena efetividade.

A heterogeneidade entre países é marcante. Enquanto no Japão, segundo Kaneyasu et al. (2025), a participação pública em ATS ainda está em estágio incipiente e carece de instrumentos normativos robustos, na Espanha, Gutiérrez-Ibáñez et al. (2015) documentam avanços na consulta pública e inclusão de representantes, mas com impacto limitado sobre a priorização de tecnologias órfãs. Já no contexto europeu mais amplo, Jommi et al. (2021a) destacam que mesmo nos sistemas mais desenvolvidos, a mensuração do valor agregado da participação continua sendo um desafio, em parte pela falta de indicadores claros e comparáveis.

No plano das recomendações, há convergência na literatura sobre a necessidade de: (i) desenvolver guias específicos para participação no ATS de doenças raras; (ii) investir em capacitação técnica tanto para avaliadores quanto para representantes de pacientes; (iii) criar mecanismos de feedback que mostrem de forma transparente como as contribuições foram incorporadas (FOLTANOVA et al., 2022). A ausência desses elementos pode reduzir a participação a um papel simbólico, sem real influência nas decisões.

Assim, a análise comparativa revela que, embora haja consenso sobre a importância estratégica da participação de pacientes em ATS para doenças raras e medicamentos órfãos, a efetividade desse engajamento depende da existência de estruturas formais, recursos adequados e metodologias integrativas. Sem esses elementos, o risco é que a participação permaneça como um ideal normativo mais do que uma prática com impacto concreto nas decisões de incorporação tecnológica.

2.5 UM OLHAR DA CIÊNCIA, TECNOLOGIA E SOCIEDADE

A abordagem Ciência-Tecnologia-Sociedade (CTS), no contexto latino-americano, consolidou-se como campo de estudo e prática que analisa ciência e tecnologia como processos socialmente construídos, influenciados por fatores econômicos, culturais e políticos específicos da região. Para Bazzo, Linsingen e Pereira (2003), essa perspectiva surge como contraponto ao determinismo tecnológico, que associa automaticamente desenvolvimento técnico a progresso social. Ao contrário de perspectivas lineares, a CTS latino-americana enfatiza que os rumos da ciência e da tecnologia dependem de escolhas coletivas e de políticas públicas orientadas às necessidades concretas da população.

No contexto histórico latino-americano, marcado pela dependência tecnológica e pelas desigualdades estruturais, Dagnino (2009) argumenta que a chamada tecnologia capitalista, concebida e legitimada nos países centrais, acaba sendo importada e reproduzida como modelo único de ciência e tecnologia, reforçando assimetrias e mantendo a região em posição subordinada. Essa dinâmica não apenas limita a autonomia tecnológica, mas também afasta os sistemas de inovação das reais necessidades sociais locais. Para o autor, a superação desse quadro exige políticas orientadas pela adequação sociotécnica e pelo fortalecimento das tecnologias sociais, voltadas para problemas estruturais como saúde, educação, saneamento e inclusão produtiva, de modo a permitir uma apropriação crítica e autônoma das tecnologias.

Na mesma linha, Linsingen (2007) ressalta que a perspectiva CTS no Brasil deve reconhecer a ciência como uma construção social, marcada por escolhas políticas e por interesses que extrapolam a esfera estritamente técnica. Isso significa questionar a neutralidade da ciência e destacar sua inserção em contextos culturais e econômicos específicos. De forma complementar, Nascimento e Linsingen (2006) apontam que a democratização do conhecimento científico e tecnológico só se efetiva quando vinculada à participação social e ao enfrentamento das vulnerabilidades históricas da região, aproximando a produção de ciência e tecnologia das demandas concretas de justiça social e cidadania.

Assim, ao articular as críticas de Dagnino à dependência tecnológica com as contribuições de Linsingen e Nascimento, evidencia-se que uma política de C&T

orientada pela perspectiva CTS deve ir além da difusão de modelos externos. Trata-se de reconhecer a ciência e a tecnologia como práticas sociais, passíveis de serem reconfiguradas em prol da equidade, da inclusão e da soberania tecnológica da América Latina.

A perspectiva de Walter Bazzo sobre CTS destaca que ciência e tecnologia não são entidades neutras, mas processos imbricados em valores sociais, políticos e culturais. Ao propor a ideia de uma “equação civilizatória”, Bazzo enfatiza que as inovações tecnológicas devem ser compreendidas como parte de uma rede de relações que afetam diretamente o desenvolvimento humano (BAZZO, 2018). Essa concepção converge com a noção de construção social da tecnologia desenvolvida por Bijker et al. (1987), ao reforçar que os artefatos não emergem isoladamente, mas são moldados por escolhas coletivas, interesses e disputas que atravessam a sociedade.

Essa compreensão dialoga com a análise de Bijker (2010), para quem “a tecnologia é construída socialmente (e politicamente); a sociedade (incluindo a política) é construída tecnicamente; a cultura tecnológica consiste em conjuntos sociotécnicos” (p. 72). Ainda segundo Bijker (2005), tecnologia e política se completam como duas faces de uma mesma moeda, sendo o princípio da precaução um ponto de interseção relevante, pois permite intervenção sob alta incerteza. Embora a construção social da tecnologia tenha surgido em outro contexto, a CTS latino-americana incorpora a noção de que decisões técnicas são decisões sociais, defendendo que a democratização dessas escolhas é condição para uma ciência e tecnologia comprometidas com a transformação social (AULER, 2007; LINSINGEN, 2007).

Auler (2007) amplia essa perspectiva ao enfatizar que a educação científica e tecnológica deve formar cidadãos capazes de compreender as dimensões éticas, ambientais e políticas das inovações, ultrapassando a visão meramente instrumental.

A construção social da tecnologia é um conceito essencial nos estudos sobre Ciência, Tecnologia e Sociedade (CTS), pois enfatiza que as tecnologias não são apenas produtos da ciência ou da engenharia, mas resultam de um processo socialmente determinado. Em outras palavras, as tecnologias são desenvolvidas e moldadas por valores sociais, interesses econômicos, relações de poder e necessidades culturais, o que implica que a ciência é uma prática socialmente situada (BAZZO, 2018).

No campo das doenças raras e medicamentos órfãos, essa interconexão entre ciência e sociedade é ainda mais evidente. A ciência da saúde e suas tecnologias, quando inseridas em contextos de raridade e escassez de opções terapêuticas, são profundamente moldadas pelas necessidades dos pacientes e das organizações sociais que os representam. A ciência no contexto da ATS (Avaliação de Tecnologias em Saúde) não se dá em um vácuo neutro, mas é constantemente influenciada pelas exigências sociais por justiça social, acesso equitativo e participação ativa dos envolvidos no processo, como apontado por Dagnino (2014).

Dagnino destaca que a tecnologia social é um exemplo claro de como a ciência e a tecnologia podem ser construídas coletivamente, com foco em desenvolver soluções tecnológicas que atendam diretamente as necessidades sociais, ao invés de ser guiada apenas por lógicas de eficiência econômica. Isso se reflete de forma particularmente relevante em doenças raras, onde a escassez de tratamentos exige soluções tecnológicas adaptadas às necessidades e realidades sociais das populações afetadas. Nesse contexto, a ciência e a tecnologia devem ser empoderadas pelas comunidades, e não apenas como soluções técnico-científicas, mas como instrumentos de transformação social que visam a inclusão social e a garantia de acesso equitativo aos tratamentos.

Essa visão social da ciência se alinha ao que Linsingen (2007) chama de adequação sociotécnica, onde a ciência não é vista apenas como um processo técnico, mas como um campo de conhecimento compartilhado, que deve ser constantemente moldado e revisto pela sociedade para atender de forma mais justa e eficiente as necessidades humanas. Linsingen (2007) propõe que as tecnologias devem ser adaptadas ao contexto sociocultural e ao mesmo tempo refletir os valores coletivos, reforçando a ideia de que a ciência deve ser uma construção social em que a sociedade desempenha um papel ativo não apenas na aceitação das tecnologias, mas também em sua criação e adaptação contínua.

A construção social do conhecimento é evidenciada pela necessidade de inclusão dos pacientes e das organizações representativas nas decisões sobre tecnologias de saúde. O modelo CTS propõe que o conhecimento científico não deve ser imposto de cima para baixo, mas deve ser negociado e adaptado conforme os interesses e necessidades das comunidades, especialmente aquelas mais vulneráveis, como as que lidam com doenças raras. Portanto, a ciência e a tecnologia devem ser vistas como processos dinâmicos e

interativos, em que as comunidades de pacientes e suas organizações desempenham um papel central na definição do que constitui conhecimento válido e necessário para o desenvolvimento de soluções tecnológicas eficazes. Essa leitura aproxima-se da perspectiva de Berger e Luckmann (2004), que compreendem a realidade — incluindo a científica — como resultado de processos contínuos de construção, sedimentação e legitimação social. Para os autores, o conhecimento só adquire sentido e autoridade na medida em que é produzido e reconhecido dentro de estruturas sociais específicas, o que reforça a importância de considerar como atores, instituições e contextos moldam tanto as evidências quanto as decisões em saúde.

A participação pública, nesse quadro, é vista como condição para uma governança científica mais democrática. Cuevas (2008), inspirado em Dewey (1927), ressalta que ignorar a opinião dos cidadãos é um erro, pois são eles que mais conhecem os problemas que vivenciam e podem ajudar especialistas a encontrar soluções socialmente adequadas. Essa visão converge com a crítica de Jasanoff (2019), que alerta para a insuficiência dos mecanismos tradicionais de participação e defende uma mudança na cultura da governança para que a deliberação pública influencie efetivamente as políticas de ciência e tecnologia.

A vulnerabilidade, tradicionalmente tratada na análise de riscos como condição passiva, também recebe nova leitura. Segundo Jasanoff (2019), a avaliação de riscos tende a reduzir indivíduos a representações estatísticas, ignorando história, contexto e conexões sociais. A CTS latino-americana propõe integrar fatores socioeconômicos, culturais e territoriais e, sobretudo, reconhecer a população como sujeito ativo nesse processo. Essa mudança de perspectiva aproxima-se do que Jasanoff denomina “tecnologias da humildade” — abordagens que conciliam capacidade técnica com reflexão ética e política, especialmente sob condições de incerteza.

Essa concepção dialoga com Berger e Luckmann (2004), para quem a forma como instituições percebem, classificam e respondem a problemas sociais resulta de processos de construção e legitimação que se consolidam ao longo do tempo. Sob essa ótica, a própria definição institucional de quem é considerado “vulnerável”, e de quais demandas merecem reconhecimento, não é neutra, mas socialmente produzida e sustentada por estruturas que orientam a ação pública. Assim, decisões em ciência e

tecnologia, inclusive no campo da saúde, não apenas respondem à vulnerabilidade, mas elas também a configuram e a institucionalizam.

Como destacam Restivo e Croissant (2008), a compreensão de que pensamentos, culturas e vida humana são construídos socialmente reforça a importância de ver ciência e tecnologia como parte de processos culturais e interativos. Esses autores, retomando Latour e Woolgar (1979), lembram que a construção de sentido na ciência está intimamente ligada à construção social do conhecimento. Para eles, o realismo é a condição de existência de qualquer ciência, e sociedade e mentalidade derivam de rituais de interação que constituem a vida humana.

Assim, tanto a literatura internacional crítica quanto a CTS latino-americana convergem ao afirmar que ciência e tecnologia não são fins em si mesmas, mas ferramentas cuja legitimidade depende de seu alinhamento a projetos de sociedade que priorizem a equidade, a justiça social e a sustentabilidade. Como sintetiza Dagnino (2014), democratizar a política científica significa não apenas abrir canais de participação, mas garantir que eles influenciem desde a formulação até a implementação das políticas de ciência, tecnologia e inovação.

2.6 UM OLHAR DA CIÊNCIA, TECNOLOGIA E BIOÉTICA

Os avanços científicos e tecnológicos têm produzido transformações profundas na vida cotidiana, na organização social e nos sistemas de saúde. A crescente presença da inteligência artificial (IA) e de dispositivos automatizados em atividades humanas — desde eletrodomésticos inteligentes até tecnologias médicas de ponta — revela tanto as possibilidades de inovação quanto os riscos e incertezas inerentes ao processo (PÉREZ, 2021). Como observa Coeckelbergh (2013 apud PÉREZ, 2021), cada esforço para eliminar vulnerabilidades por meio da tecnologia gera automaticamente novas vulnerabilidades, configurando um cenário em que inovação e risco caminham lado a lado. Essa tensão exige que a ciência seja constantemente acompanhada por reflexão ética, especialmente quando os impactos afetam diretamente a saúde e a dignidade humanas.

A bioética surge nesse contexto como campo de articulação entre ciência, tecnologia e valores sociais. Ainda em 1927, Fritz Jahr formulou o “imperativo bioético”

— respeitar todo ser vivo como um fim em si mesmo — antecipando uma visão ampliada da ética em relação à vida (GOLDIM, 2006). Décadas depois, Van Rensselaer Potter cunhou o termo “bioética” para designar uma nova sabedoria capaz de orientar a ciência em direção à sobrevivência digna da humanidade, definindo-a como uma “ponte” entre ciências e humanidades (NUNES e NUNES, 2000; SGANZERLA, ZANELLA e GRAESER, 2021). Potter (2016) defende a construção de uma “ponte” entre as ciências biológicas e as humanidades, superando visões reducionistas e tecnocráticas que poderiam comprometer o futuro da humanidade. Nesse sentido, a bioética é proposta não apenas como um campo aplicado à prática médica, mas como uma ética global, capaz de enfrentar os desafios ambientais, sociais e culturais de uma sociedade em transformação acelerada.

A contribuição pioneira de Potter permanece atual ao destacar que a sustentabilidade da vida exige decisões políticas e científicas guiadas por princípios de responsabilidade, prudência e solidariedade intergeracional, fundamentos que dialogam diretamente com debates contemporâneos sobre equidade em saúde e alocação de recursos escassos. Paralelamente, André Hellegers institucionalizou a bioética em moldes biomédicos no Kennedy Institute, consolidando-a no campo da saúde (GOLDIM, 2006).

Nos anos 1970, Beauchamp e Childress (2013) sistematizaram o chamado paradigma principialista, estruturado nos princípios da autonomia, beneficência, não maleficência e justiça, que se tornou referência para a análise ética de práticas clínicas e pesquisas biomédicas. Entretanto, a aplicação universal desses princípios mostrou-se insuficiente para abarcar a complexidade dos dilemas contemporâneos. Hossne (2006) destaca que tais princípios, embora necessários, não devem ser vistos como regras absolutas, mas como referenciais que dialogam com outros valores, como dignidade, solidariedade e vulnerabilidade. Essa concepção evita reducionismos e amplia o escopo da reflexão bioética, sobretudo em contextos de exclusão e desigualdade, como o das doenças raras.

A reflexão de Pessini (2005) sobre a transição da bioética, da sua ancoragem inicial na biomedicina para uma perspectiva ampliada de “vida plena”, oferece subsídios importantes para compreender os dilemas atuais da avaliação de tecnologias em saúde no Brasil. Ao defender uma bioética global, inspirada em Potter, que articula saúde, justiça social, ecologia e responsabilidade com as gerações futuras, o autor sinaliza a necessidade

de que decisões institucionais ultrapassem a lógica estritamente biomédica e econômica. No caso da CONITEC, esse horizonte ético permite problematizar a centralidade dos critérios de custo-efetividade e ressaltar que a análise de tecnologias para doenças raras deve incluir dimensões de equidade, vulnerabilidade e integralidade do cuidado. Nesse sentido, a bioética da vida plena dialoga diretamente com o SUS, ao propor que a avaliação de tecnologias incorpore não apenas a viabilidade financeira, mas também o compromisso com a dignidade humana, a sustentabilidade do sistema e a proteção de populações em situação de maior fragilidade.

No Brasil e na América Latina, críticas ao principialismo levaram ao desenvolvimento da bioética de proteção e da bioética de intervenção, que enfatizam prudência, precaução, solidariedade e equidade como princípios indispensáveis em sociedades vulnerabilizadas (SCHRAMM, 2000; GARRAFA et al., 2017). Esse deslocamento teórico é especialmente relevante para as doenças raras, cujos pacientes enfrentam barreiras de acesso ao diagnóstico e a terapias de alto custo. Nesses casos, a bioética não pode se limitar à análise biomédica, devendo incluir dimensões sociais e políticas que garantam justiça distributiva. Estudos sobre a realidade brasileira reforçam que a saúde deve ser entendida como direito inalienável, e que uma bioética crítica deve enfrentar as desigualdades estruturais, promovendo inclusão, universalidade e participação social (BARCHIFONTAINE; TRINDADE, 2019).

A noção de vulnerabilidade ocupa papel central na bioética contemporânea. Schramm (2000) ressalta que sujeitos expostos a riscos acrescidos — seja por condições biológicas, sociais ou econômicas — demandam especial atenção ética e política. No campo das doenças raras, a vulnerabilidade é multifacetada: manifesta-se na dificuldade de obter diagnóstico precoce, na escassez de especialistas, na dependência de medicamentos órfãos e no alto custo de terapias inovadoras. Esses fatores criam uma situação de dupla exclusão — pela condição clínica rara e pelo acesso restrito às tecnologias de saúde. Para além da vulnerabilidade biológica, portanto, emergem vulnerabilidades sociais e políticas que exigem mecanismos específicos de proteção e justiça distributiva (SCHRAMM, 2000; SANTOS, 2020).

A solidariedade, por sua vez, aparece como categoria ética fundamental para responder a tais vulnerabilidades. Bastos et al. (2021) destacam que, em tempos de crise, a solidariedade ultrapassa o âmbito individual para se materializar como responsabilidade

coletiva, traduzida em políticas públicas inclusivas e em práticas de cooperação social. Aplicada às doenças raras, a solidariedade implica reconhecer a legitimidade das demandas de pequenos grupos, cujas vozes são frequentemente invisibilizadas no processo decisório. Esse reconhecimento não se restringe ao cuidado clínico, mas envolve a criação de redes de apoio entre pacientes, famílias, associações civis e o próprio Estado, de modo a assegurar que a raridade não se converta em negligência. Nesse sentido, a solidariedade se conecta à equidade, reforçando a necessidade de distribuir recursos de forma diferenciada para garantir justiça real aos mais vulneráveis (BASTOS et al., 2021; BARCHIFONTAINE; TRINDADE, 2019).

Além disso, o avanço da biotecnociência introduz novos dilemas, como evidenciado pelo Projeto Genoma Humano, que redefine conceitos de saúde, autonomia e corpo em meio a relações de poder e interesses econômicos (SOARES e SIMIONI, 2018). Para Schramm e Escosteguy (2000), a convivência entre o paradigma biotecnocientífico, que estimula a incorporação tecnológica, e a cultura dos limites, que exige escolhas e prioridades, coloca em evidência conflitos éticos relacionados à equidade, à alocação de recursos e à efetividade das tecnologias em saúde. A avaliação tecnológica, portanto, não pode prescindir da dimensão ética, sob pena de legitimar iniquidades e aprofundar desigualdades.

No cenário das doenças raras, essa tensão se expressa de forma contundente: enquanto famílias e organizações de pacientes demandam acesso a terapias inovadoras, o sistema de saúde precisa equilibrar sustentabilidade orçamentária, efetividade clínica e justiça distributiva. Nessa interseção, a bioética atua como campo crítico que conecta ciência, tecnologia e sociedade, defendendo que a raridade de uma condição não pode justificar a exclusão de direitos. Assim, ciência, tecnologia e bioética se entrelaçam em um esforço de construção social que busca assegurar equidade, solidariedade e dignidade às pessoas em situação de vulnerabilidade.

A busca por equidade em saúde, especialmente no contexto das doenças raras como a hemofilia, não pode se resumir a uma mera aplicação igualitária de protocolos clínicos. Conforme destacam Góis et al. (2022), a aplicação uniforme de diretrizes terapêuticas, embora útil para fins de padronização e controle de custos, pode paradoxalmente gerar iniquidades, já que ignora a singularidade biopsicossocial de cada paciente. Nesse sentido, a equidade exige reconhecer que protocolos devem ser

entendidos como sugestões e não como limites absolutos, permitindo que o cuidado seja ajustado às necessidades específicas de cada indivíduo. Essa perspectiva desloca o debate de uma lógica estritamente utilitarista – centrada em custo-efetividade e no “paciente médio” – para uma abordagem ética que incorpora justiça, precaução e consideração da qualidade de vida. Assim, garantir acesso singular e flexível ao tratamento representa não apenas uma decisão técnica, mas um imperativo bioético que reafirma o compromisso do SUS com a universalidade e a integralidade do cuidado

2.7 EQUIDADE EM SAÚDE

Equidade em saúde foi tratado como conceito a partir de 1992, por Margaret Whitehead, que evidenciou a dimensão ética e social da iniquidade (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016). Whitehead (1992) reconhece que a equidade idealiza que todos tenham as mesmas oportunidades justas de alcançar o melhor potencial de saúde.

O pensamento aristotélico é o fundamento raiz da equidade e, mesmo com críticas, contribuiu para o desenvolvimento conceitual da equidade. Por sua definição, é possível compreender que a lei posta ou escrita não é suficiente para promover a justiça, pois a lei se restringe aos casos ordinários e de maneira geral, sendo necessário recorrer à equidade para buscar uma proporção que permita aos envolvidos terem proporcionalmente determinado bem, ou seja, a equidade aplicada ao singular e aos casos particulares pode corrigir a lei ou ir além do que ela alcança (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016). Aristóteles, em *Ética à Nicômaco* (2009) preconiza que justiça e equidade são basicamente sinônimas, e que a equidade é mais poderosa que a justiça, uma vez que pode ser justa, sem se prender à lei, mas na medida em que permite retificar a justiça legal ou o defeito da lei.

O julgamento por equidade, admitido excepcionalmente pelo Código de Processo Civil Brasileiro, é constituído por uma decisão com base no bom senso e no senso de justiça, aplicando-se a justiça ao caso concreto sem referência à legislação. É o decidir sem as amarras da lei e seus limites. No Judiciário, é a aplicação da equidade enquanto misericórdia (DAVID, 2021). Segundo David (2021, p. 1020), “toda decisão precisa ser equitativa, ou seja, todo julgamento deve ser norteado pela equidade”.

A equidade tem característica universal e permite corrigir a lei, pois nem tudo é passível de legislação ou de ser legislado. A aplicação do Direito na realidade deve considerar a vida humana e os fatores que impactam sobre ela, não sendo, portanto, uma mera reprodução da norma jurídica (DAVID, 2021). Ao se deparar com situações concretas, o intérprete da lei pode, amparado na equidade, corrigir eventuais equívocos do legislador, pois se vê diante de algo excepcional e é preciso corrigi-la para não cometer injustiças ou perpetuá-las. Assim, é preciso entender que a lei é geral e abstrata, e existem circunstâncias em que não é possível um tratamento universal (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016).

Segundo Rawls (2002), a justiça como equidade não é uma teoria teleológica, mas sim deontológica, em que o bem não é especificado sem vínculo com o justo, nem o justo é interpretado como maximizador do bem. Na teoria da justiça como equidade, Rawls (2002) explica que as pessoas partem de um princípio de liberdade igual para todos, sem considerar seus próprios interesses pessoais. Acabam por reconhecer que o que é o bem para si, decorre dos princípios da justiça ou, no mínimo, não os violam diretamente. Prevalece, assim, um sentimento de que as privações alheias é algo errado e não traz satisfação para si mesmo. Na justiça como equidade, o conceito de bem vem depois do conceito de justo e a justiça, portanto, tem prioridade, sendo que qualquer interesse que possa violá-la não tem nenhum valor. Essa é a característica central da justiça como equidade. Os princípios do justo impõem restrições às satisfações pessoais, de forma que o indivíduo, ao buscar seus desejos e aspirações, respeite tais restrições para que os fins sejam equitativamente atingidos (RAWLS, 2002).

Rawls (2002, p. 35) preconiza que “o ideal moral da justiça como equidade está mais profundamente incorporado nos princípios fundamentais da teoria ética”. Friel (2017), ao interpretar Rawls, entende que sua teoria está centrada nas estruturas que propiciam as oportunidades e se forma em torno da importância de se criar instituições justas, que inclui governos, mercados e os sistemas sociais.

A igualdade de oportunidades para alcançar o seu potencial de saúde é o pilar da equidade em saúde, sendo que a mera disponibilidade de recursos sem garantia de acesso constitui obstáculo aos indivíduos para a utilização dos serviços de saúde (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016). O princípio da equidade como interface da justiça

distributiva, associada aos direitos das minorias, ganhou relevância nas discussões acerca de políticas públicas, porém com pouca base teórica (FREITAS et al. (2021).

Segundo Paim e Silva (2010), com base no pensamento aristotélico de justiça é possível diferenciar a equidade vertical da equidade horizontal. A primeira aplicaria a desigualdade para os desiguais, enquanto a segunda pressupõe igualdade aos iguais. A revisão sistemática de literatura de Porto et al. (2019) integra o corpo de pesquisas que se fundamentam na concepção liberal de equidade, elucidando os conceitos de equidade horizontal e vertical. Observaram que, no Brasil, na maioria dos estudos publicados a equidade está associada ao fator essencial de justiça social, sendo a equidade uma forma de buscar e garantir o direito social à saúde, fortalecendo o papel do indivíduo no Estado democrático.

Contudo, quando ocorrem grandes desigualdades, ainda que a igualdade seja um importante valor, tratar de forma igual os desiguais quanto ao acesso aos serviços de saúde, por exemplo, ajudaria a manter as desigualdades. “A noção de equidade admite a possibilidade de atender desigualmente os que são desiguais, priorizando aqueles que mais necessitam para poder alcançar a igualdade” (PAIM e SILVA, 2010, p. 111). Segundo Paim e Silva (2010), existe uma correlação entre a universalidade e a equidade com o princípio da igualdade, em associação à ideia de justiça que está presente no pensamento de grandes filósofos.

Corgozinho e Oliveira (2016, p. 438) afirmam que “a equidade em saúde é um conceito ético fundado no princípio da justiça distributiva de John Rawls.” Preceituam, ainda, que a equidade é um conceito ético normativo diferente da igualdade, que possibilita a discussão ética sobre a escassez dos recursos e sua distribuição, com destaque aos grupos vulneráveis para as intervenções. A equidade, portanto, permite corrigir aquilo que a igualdade agride e fazer aquilo que a justiça deve realizar, considerando que a igualdade pode ser imperfeita diante dos objetivos da justiça. Pela equidade em saúde busca-se o aumento de oportunidades e a ampliação da atenção sobre os grupos mais vulneráveis da sociedade, visando diminuir as injustiças (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016).

Paim (2006) destaca que, desde a realização da 11ª Conferência Nacional de Saúde, ocorrida em 2000, o Conselho Nacional de Saúde vem formulando proposições e compromissos aos governantes para a construção da equidade. Contudo, ainda persistem

os desafios para implementar o arcabouço epistêmico e operacional do SUS e, sendo assim, o princípio da equidade em saúde ainda não foi incorporado total e efetivamente, muito embora seja um eixo estruturante do sistema (FREITAS et al. (2021). Para Paim (2006), o SUS enquanto política pública, sob os pilares da igualdade, universalidade e justiça social, tem grande potencial de alcançar a equidade, na medida em que este princípio for concebido à luz da ética e da justiça.

Na saúde pública, a equidade enfatiza as questões relativas à distribuição de recursos que cria desigualdade em saúde que atinge grupos vulneráveis. Dessa forma, as políticas públicas de saúde devem ser norteadas pelo princípio ético da equidade para moldar práticas que priorizem recursos de forma a reduzir as desigualdades (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016).

Para Paim (2006), a equidade pode ser considerada sinônimo da igualdade, do ponto de vista semântico e etimológico. Os textos técnicos e doutrinários não se preocupam com precisão conceitual, ao tempo em que tentam distinguir a equidade da noção de igualdade sob o enfoque econômico e da justiça. Pelo enfoque econômico, tratam da distribuição mais eficiente dos recursos, já sob o enfoque da justiça, associam a equidade à correção daquilo que a igualdade agride e se apresenta como imperfeita para propiciar o que é justo. Todavia, Paim (2006) pontua que a equidade, enquanto objetivo do SUS, aparentemente é entendida como igualdade.

Segundo Paim (2006), os recursos disponíveis para a saúde são distribuídos de forma desigual entre as regiões, estados e municípios, áreas urbanas e rurais, assim como entre periferia e centro das cidades, que reproduzem um consumo diferenciado de serviços de saúde. Afirma que há evidências que apontam para a necessidade de uma redistribuição geográfica de recursos financeiros em favor das regiões Norte e Nordeste do país, muito embora sejam vistas iniciativas no SUS para redução das desigualdades na distribuição de recursos.

O desenvolvimento de metodologias para análise das desigualdades em saúde combinado com investigações em política e economia da saúde podem contribuir e orientar a formulação de políticas públicas que promovam a equidade e reduzam as iniquidades. Garantir o acesso aos serviços de saúde não é suficiente, é preciso reduzir as desigualdades que acompanham o adoecer e o morrer dos indivíduos que forma diferentes grupos sociais (PAIM, 2006). “Conceber e implementar serviços de saúde universais

pode ser uma estratégia de assegurar às classes populares acesso a serviços de melhor qualidade e, portanto, exercitar a equidade” (PAIM e SILVA, 2010, p. 112).

Freitas et al. (2021) enfatizam que, para compreender o significado de equidade e iniquidade, é preciso ir além da doença que está sendo tratada, devendo ser considerado o contexto no qual a pessoa vive, pois, a saúde do indivíduo é resultado de combinações genéticas, como também sofre alterações decorrentes de fatores sociais, comportamentais, culturais, ou seja, o foco deve estar sobre o ser humano como pessoa exposta a tudo isso.

Segundo Freitas et al. (2021), o direito constitucional à saúde e à equidade vem se tornando cada vez mais frágil diante da mercantilização da saúde, em que poucos privilegiados usufruem de dupla cobertura, com o SUS e os planos de saúde privados, além de terem condições de recorrerem à judicialização para acessar tratamentos de alto custo, o que compromete recursos que poderiam ser destinados aos mais carentes.

A partir do conceito de equidade, as diferenças entre os indivíduos devem ser reconhecidas, de forma a introduzir tratamentos diferenciados para reduzir as desigualdades existentes. As políticas públicas devem saber eleger os grupos vulneráveis e conhecer suas necessidades e, para isso, a bioética é capaz de fornecer instrumentos teóricos, fundamentados na equidade, para problematizar a alocação dos recursos em saúde (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016).

Corgozinho e Oliveira (2016) identificaram na literatura empírica que grandes disparidades na renda geram desigualdades na saúde, que afetam diretamente o bem-estar dos indivíduos. Friel (2017) confirma que as causas das desigualdades são complexas e constituem um somatório de fatores políticos, econômicos e sociais, muito embora todos sejam causados pelo homem. Segundo Friel (2017, p. 573), “a saúde é produto e reflexo da atenção da sociedade a um padrão adequado, ao alcance de todos, nas condições em que vive a sua população.”

A equidade em saúde pode ser interpretada como igualdade de oportunidades para a busca de saúde, como também uma obrigação social de promover uma igualdade razoável entre as pessoas, quanto aos resultados no contexto da saúde (FRIEL, 2017). A equidade permite que a justiça seja concretizada por meio da prestação dos serviços de saúde a um grupo especial, que precisa de intervenção (PAIM e SILVA, 2010).

Em qualquer país, as condições de vida e de trabalho, bem como a hierarquia social correspondem à saúde vivida pelos diferentes grupos de pessoas. Sendo assim, os sistemas e serviços de saúde, educação, habitação e de proteção social são vitais para a saúde (FRIEL, 2017). Em 2015, a OMS destacou em seu relatório sobre financiamento em saúde, o uso ineficiente e desigual dos recursos como uma das principais barreiras à universalidade na saúde, sendo a equidade um dos caminhos para atingir esse objetivo (PORTO et al. 2019). A equidade vem sendo uma das referências para a elaboração das políticas públicas, inclusive para organismos internacionais, ficando a integralidade em segundo plano (PAIM e SILVA, 2010).

A mera existência de oportunidades para a saúde não é suficiente. É preciso detectar e corrigir processos e estruturas em que pessoas são privados das oportunidades ou não podem aproveitá-las de forma significativa (FRIEL, 2017).

Paim e Silva (2010) destacam que tem aumentado o número de pesquisas sobre desigualdades em saúde, em que a iniquidade é associada à injustiça, seja como igualdade negada ou como produto constituído pela própria sociedade. As disparidades em saúde geram vulnerabilidade e, em algumas regiões do país, as evidências confirmam as desigualdades, tais como as menores coberturas em terapia intensiva identificadas nas regiões Norte e Nordeste (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016).

Assim como a desigualdade, a vulnerabilidade às doenças e adversidades da vida se dá de maneira diferente de acordo com a individualidade, região onde se vive e grupo social do qual faz parte, sendo que esses fatores se relacionam com a pobreza, nível de educação e crises econômicas (MUÑOZ SANCHEZ e BERTOLOZZI, 2007). Para Palma e Mattos (2001), a vulnerabilidade social está relacionada aos grupos sociais excluídos, discriminados ou com incapacidade de reagir às estruturas sociais que os colocam nessa condição.

Os princípios da equidade e justiça, após serem inseridos na Declaração Universal de Bioética e Direitos Humanos (DUBDH), impulsionaram a discussão do tema justiça social em saúde pela bioética e, nessa perspectiva, a equidade em saúde remeterá às questões de alocação de recursos públicos em favor de grupos vulneráveis e da priorização dos menos favorecidos, representando um critério moral de imparcialidade dos gestores e implicando o debate ético sobre oportunidades aos indivíduos dentro do contexto em que vivem. A partir do princípio da equidade previsto na DUBDH, é possível

sustentar que o Estado tem obrigações distributivas que o obriga moralmente a corrigir desigualdades criadas pelas disparidades e iniquidades (CORGOZINHO e OLIVEIRA, 2016).

3. OBJETIVOS

3.1 OBJETIVO GERAL

Compreender em que medida as vulnerabilidades das pessoas portadoras de doenças raras impactam nas decisões, após participação social, no contexto dos processos de avaliação de tecnologias em saúde da CONITEC, à luz da bioética.

3.2 OBJETIVOS ESPECÍFICOS

Mapear as vulnerabilidades enfrentadas por pacientes com doenças raras no contexto dos processos de avaliação de tecnologias em saúde conduzidos pela CONITEC.

Analisar o conteúdo das Consultas Públicas referentes às avaliações de tecnologias para doenças raras, caracterizando a participação social.

Avaliar os fatores temáticos que fundamentam as decisões do colegiado da CONITEC em casos de doenças raras.

Compreender as contribuições apresentadas nas Consultas Públicas que motivaram mudanças entre a decisão preliminar e a decisão final.

4. PERCURSO METODOLÓGICO

Trata-se de uma pesquisa descritiva que tem como objetivo geral compreender em que medida as vulnerabilidades das pessoas portadoras de doenças raras impactam nas decisões, após participação social, no contexto dos processos de avaliação de tecnologias em saúde da CONITEC, à luz da bioética, o qual está escorado em dois eixos teóricos: Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) e bioética.

Constitui-se como objeto de estudo a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), que, segundo informações publicadas no site www.gov.br/CONITEC: “é um órgão colegiado de caráter permanente, integrante da estrutura regimental do Ministério da Saúde, e tem como objetivo assessorar o Ministério da Saúde nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração pelo SUS de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas”.

A CONITEC é responsável pela incorporação de novos medicamentos no SUS, inclusive medicamentos para doenças raras que são objeto desta pesquisa.

Na seção “Recomendações da CONITEC” são publicados anualmente, desde 2012, as decisões sobre as tecnologias avaliadas e indicações. A página contém os relatórios com recomendação final da CONITEC e as respectivas Portarias da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde.

Com relação às doenças raras, existe uma lista divulgada pela Biblioteca Virtual em Saúde do Ministério da Saúde, que é uma referência exemplificativa das principais doenças raras e não uma relação taxativa, ressaltando que a CLN2, por exemplo, não está descrita na referida lista e é um exemplo de doença ultrarrara.

A lista do Ministério da Saúde está disponível no endereço eletrônico: <https://bvsmms.saude.gov.br/28-02-dia-das-doencas-raras/>, e contém as seguintes doenças: Acromegalia; Anemia aplástica, mielodisplasia e neutropenias constitucionais; Angioedema; Aplasia pura adquirida crônica da série vermelha; Artrite reativa; Biotinidase; Deficiência de hormônio do crescimento – hipopituitarismo; Dermatomiosite e polimiosite; Diabetes insípido; Distonias e espasmo hemifacial; Doença de Crohn; Doença falciforme; Doença de Gaucher; Doença de Huntington;

Doença de Machado-Joseph; Doença de Paget – osteíte deformante; Doença de Wilson; Epidermólise bolhosa; Esclerose lateral amiotrófica; Esclerose múltipla; Espondilite ancilósante; Febre mediterrânea familiar; Fenilcetonúria; Fibrose cística; Filariose linfática; Hemoglobinúria paroxística noturna; Hepatite autoimune; Hiperplasia adrenal congênita; Hipertensão arterial pulmonar; Hipoparatiroidismo; Hipotireoidismo congênito; Ictioses hereditárias; Imunodeficiência primária com predominância de defeitos de anticorpos; Insuficiência adrenal congênita; Insuficiência pancreática exócrina; Leucemia mielóide crônica (adultos); Leucemia mielóide crônica (crianças e adolescentes); Lúpus eritematoso sistêmico; Miastenia gravis; Mieloma múltiplo; Mucopolissacaridose tipo I; Mucopolissacaridose tipo II; Osteogênese imperfeita; Púrpura trombocitopênica idiopática; Sarcoma das partes moles; Síndrome hemolítico-urêmica atípica (Shua); Síndrome de Cushing; Síndrome de Guillain-Barré; Síndrome de Turner; Síndrome nefrótica primária em crianças e adolescentes; Talassemias; Tumores neuroendócrinos (TNEs). Foi incluída a CLN2 na lista para fins desta pesquisa.

Esta pesquisa inscreve-se no campo das investigações qualitativas, cuja ênfase recai sobre a compreensão aprofundada de fenômenos sociais a partir da análise de significados, contextos e interações. O objetivo geral da investigação é compreender em que medida as vulnerabilidades das pessoas com doenças raras impactam nas decisões, após participação social, no contexto dos processos de avaliação de tecnologias em saúde conduzidos pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC).

O percurso metodológico adotado consistiu em uma análise documental, tendo como fontes os relatórios técnicos disponibilizados publicamente no site da CONITEC, no período de 2015 a 2024, tendo como base a lista do Ministério da Saúde. A seleção dos documentos seguiu critérios previamente definidos: foram incluídos todos os relatórios que trataram da avaliação de tecnologias voltadas para doenças raras com o objetivo específico de incorporação no SUS, no período de 2015 a 2024.

Foram identificados 83 relatórios, os quais foram integralmente lidos e inseridos no software ATLAS.ti versão 25. A identificação das vulnerabilidades foi realizada por meio da codificação de trechos dos documentos que remetiam à dimensão bioética, com ênfase na noção de vulnerabilidade dos sujeitos afetados pelas doenças raras. Foram identificadas inicialmente 304 citações, que passaram por uma segunda etapa de

categorização indutiva, conforme preconizado por Bardin (2011), a partir da recorrência e relevância das unidades de sentido observadas nos dados. Os códigos definidos ao final foram: alta morbidade ou mortalidade, ansiedade e depressão, crises diversas, dores e internações, deformidade física, deslocamento para tratamento, disfunção comportamental, doenças secundárias, disfunção sexual, efeitos ou sintomas incapacitantes, vulnerabilidades da parte motora ou física, necessidade de cuidador, vulnerabilidades psíquicas, cognitivas ou neurológicas, sintomas e desconfortos graves e tratamento contínuo, doloroso ou com efeitos colaterais.

Após a etapa de codificação inicial, os 304 trechos identificados foram organizados por meio de uma categorização temática, em conformidade com a segunda fase da análise de conteúdo proposta por Bardin (2011), que prevê a classificação das unidades de registro em categorias significativas. Assim, os códigos foram agrupados em quatro grandes dimensões de vulnerabilidade: (1) funcionais e físicas, reunindo menções a limitações corporais, dores, crises e sintomas incapacitantes; (2) clínicas e biológicas, relacionadas à gravidade da condição e suas repercussões orgânicas; (3) psíquicas e mentais, voltadas aos aspectos emocionais, comportamentais e cognitivos; e (4) sociais e de cuidado, que englobam situações de dependência e barreiras de acesso. Essa categorização foi fundamental para a estruturação e interpretação dos dados apresentados na etapa de resultados.

A fundamentação da análise foi embasada nos princípios da análise de conteúdo, conforme propostos por Laurence Bardin. Segundo a autora, esse método consiste em um conjunto de técnicas de análise das comunicações, visando obter, por procedimentos sistemáticos e objetivos de descrição do conteúdo das mensagens, indicadores que permitam inferências relativas às condições de produção ou recepção dessas mensagens. A análise de conteúdo envolve três etapas essenciais: (1) pré-análise, com a organização e leitura flutuante do material; (2) exploração do material, com definição e aplicação das categorias de análise; e (3) tratamento dos resultados, inferência e interpretação (BARDIN, 2011).

Outro eixo da análise se concentrou nas consultas públicas associadas aos processos de incorporação. Foram excluídos do corpus documental os relatórios cujas demandas se referiam à ampliação de uso, exclusão de tecnologias ou outros tipos de recomendação que não envolvessem diretamente um pedido de incorporação. Foram

incluídos 75 relatórios. Foram examinados, em cada relatório técnico, os itens referentes às consultas públicas. Foram coletados dados sobre os atores participantes, identificando-se as categorias de contribuintes (tais como pacientes, familiares, profissionais de saúde, instituições, sociedade civil etc.), com a sistematização desses dados por meio de planilhas do Microsoft Excel, organizadas por número e ano do relatório. Também foram registradas as decisões do colegiado, para comparação entre as decisões preliminares e finais, com o objetivo de verificar mudanças de posicionamento entre os dois momentos deliberativos da CONITEC (ex.: recomendação de incorporação na fase preliminar alterada para não incorporação na decisão final, ou vice-versa).

Adicionalmente, foram analisadas as justificativas apresentadas pelo Plenário do Colegiado da CONITEC nos pareceres técnico-científicos, tanto nas decisões preliminares quanto nas finais. Essas justificativas foram lidas, extraídas e sistematizadas em planilhas descritivas e comparativas. As justificativas textuais foram submetidas a uma codificação temática indutiva, buscando reconhecer padrões de argumentação associados a três dimensões principais: dimensão econômica – englobando expressões relacionadas a custo e impacto orçamentário; dimensão metodológica – envolvendo referências à consistência e qualidade das evidências; e dimensão social – reunindo fatores ligados à percepção de benefício clínico ou à participação social. A categorização buscou evidenciar como os argumentos relacionados a custo-efetividade, robustez das evidências científicas, impacto orçamentário, equidade, acesso e contexto social foram mobilizados nos processos decisórios.

Na etapa de sistematização das contribuições oriundas das consultas públicas, as manifestações registradas nos relatórios da CONITEC não foram transcritas integralmente. Optou-se por realizar uma síntese fiel, baseada nas descrições e exemplos apresentados nos documentos oficiais. Essa escolha metodológica deve-se a três razões principais: (i) nem todos os relatórios disponibilizam os textos completos enviados pelos participantes, muitas vezes apresentando apenas resumos elaborados pela própria equipe técnica; (ii) diversas contribuições são agrupadas em blocos temáticos, o que exige um processo de reorganização para permitir comparação entre relatórios; e (iii) a síntese possibilita a padronização da informação em formato de planilha, garantindo legibilidade e viabilidade de análise transversal.

Dessa forma, cada contribuição registrada nas planilhas corresponde a uma unidade de sentido extraída dos relatórios, preservando a fonte da manifestação (paciente, profissional de saúde, sociedade médica, gestor, indústria, entre outros) e a ideia central do argumento apresentado. Embora não se trate de uma cópia literal, o procedimento buscou manter a fidelidade ao conteúdo original e assegurar que as categorias analíticas empregadas refletissem de modo consistente as vozes presentes nos processos avaliativos.

Por tratar-se de uma pesquisa baseada exclusivamente em documentos de domínio público, sem coleta de dados junto a participantes humanos, não houve necessidade de submissão ao Comitê de Ética em Pesquisa, conforme estabelece a Resolução nº 510/2016 do Conselho Nacional de Saúde, que dispensa tal exigência para estudos que não envolvem seres humanos direta ou indiretamente.

5. RESULTADOS E DISCUSSÃO

A pesquisa realizada com os relatórios técnicos da CONITEC, decorrentes da avaliação de tecnologias para doenças raras visando à incorporação no SUS, mostrou que nos últimos 10 anos, as vulnerabilidades dos portadores de doenças raras e sua participação na Consulta Pública influenciaram muito pouco as decisões do colegiado. O fator temático que apareceu com mais frequência nas decisões do colegiado foi o custo elevado das tecnologias.

Em 10 anos, a CONITEC avaliou 83 demandas e emitiu 75 relatórios sobre incorporação de novas tecnologias, em sua maioria medicamentos. Em 22 processos houve mudança do parecer preliminar de recomendação de não incorporação, que passaram a ter recomendação de incorporação na decisão final, após consulta pública. O principal fator que motivou a mudança de parecer foi econômico e em apenas 2 processos não houve vínculo com fator econômico.

Em 52 processos, não houve mudança do parecer preliminar na decisão final, após consulta pública. Em 35 processos havia parecer preliminar desfavorável à incorporação e em 17 processos a recomendação preliminar era favorável à incorporação, sendo que em todos os casos a decisão final manteve o parecer preliminar. Tanto para manter a recomendação de não incorporação, quanto para manter a recomendação de incorporação, esteve presente o fator econômico que foi determinante para a decisão final, tais como o impacto orçamentário elevado e o impacto orçamentário favorável, respectivamente.

A seguir, são detalhados os aspectos quantitativos e qualitativos dos resultados.

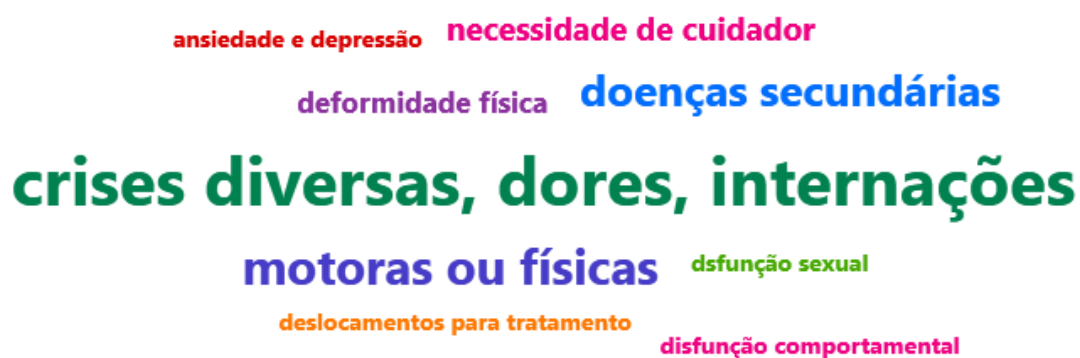
5.1 VULNERABILIDADES IDENTIFICADAS NOS RELATÓRIOS DA CONITEC

A análise dos 83 relatórios técnicos relacionados à avaliação de tecnologias para doenças raras, realizados pela CONITEC, permitiu identificar um conjunto significativo de trechos que expressam ou fazem referência a situações de vulnerabilidade das pessoas acometidas por essas condições, dentro da dimensão bioética. Ao todo, foram extraídas 304 citações, que passaram por um processo de codificação no software ATLAS.ti

(versão 25), com base na metodologia de análise de conteúdo (BARDIN, 2011), visando compreender como tais vulnerabilidades são representadas nos pareceres técnicos.

A partir de uma leitura sistemática e indutiva, foram definidos 15 códigos temáticos que expressam diferentes manifestações de vulnerabilidade, tais como: crises diversas, dores e internações (65 ocorrências), efeitos ou sintomas incapacitantes (35), motoras ou físicas (42), necessidade de cuidador (20), psíquicas, cognitivas ou neurológicas (23), entre outros. Essa análise é mais bem visualizada na nuvem de palavras a seguir:

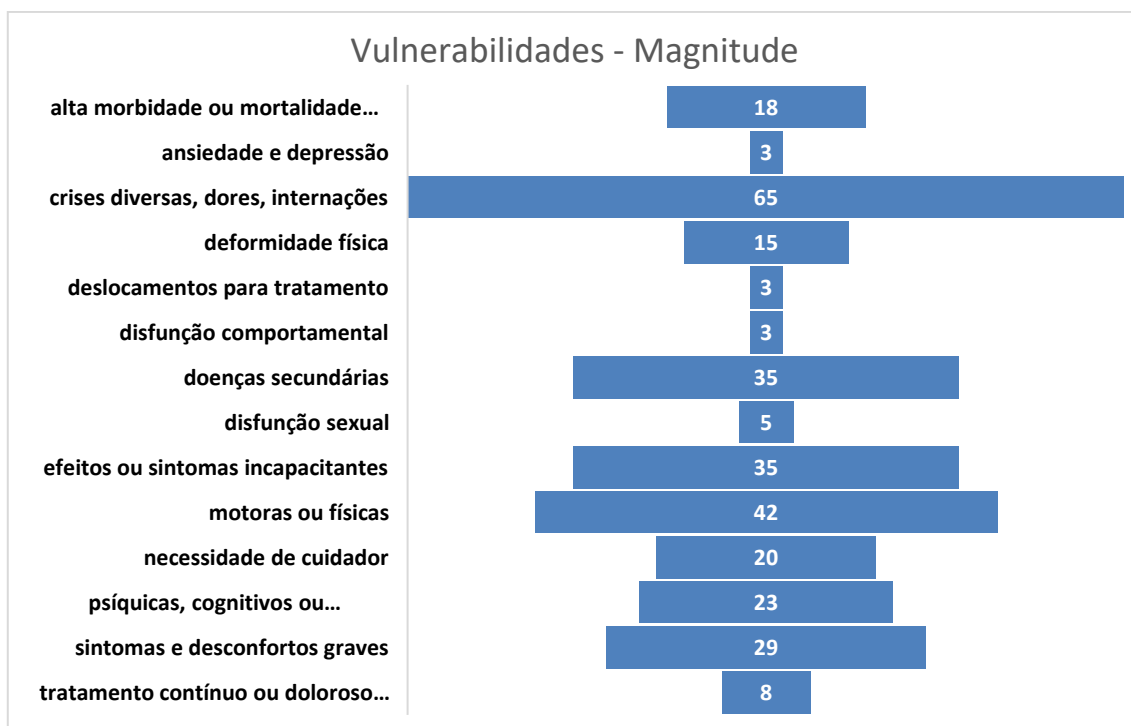
Figura 5 – Manifestações de vulnerabilidades



Fonte: elaborado pela autora (2025)

Os códigos temáticos podem ser analisados por magnitude no gráfico a seguir, que sintetiza a frequência das vulnerabilidades:

Figura 6 – Magnitude das vulnerabilidades

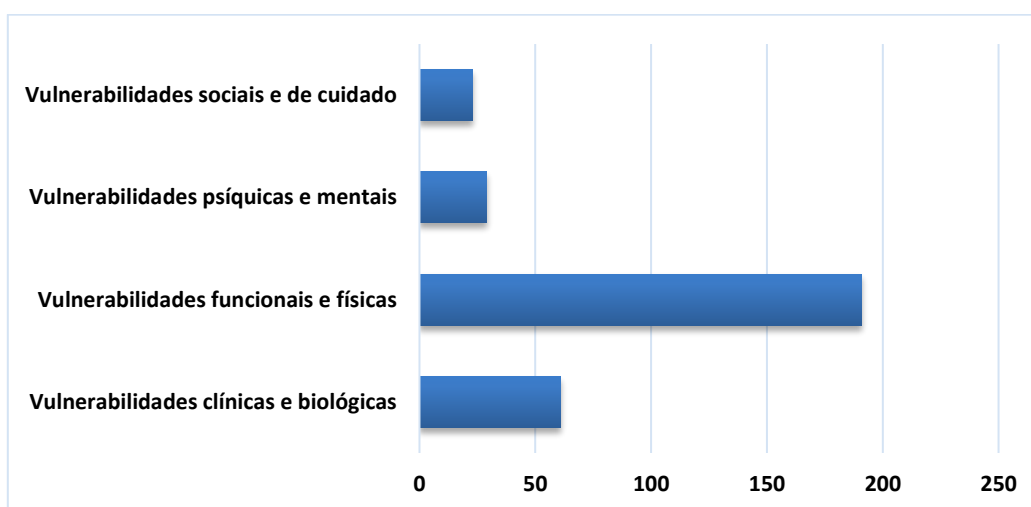


Fonte: elaborado pela autora (2025)

A codificação foi posteriormente organizada em quatro grandes dimensões de vulnerabilidade, de acordo com a natureza dos temas abordados: (1) funcionais e físicas, (2) clínicas e biológicas, (3) psíquicas e mentais, e (4) sociais e de cuidado.

O gráfico a seguir demonstra estas dimensões:

Figura 7 – Dimensões de vulnerabilidade



Fonte: elaborado pela autora (2025)

A dimensão funcional e física foi a mais expressiva, totalizando 191 citações (63% do total). Os trechos agrupados nessa categoria evidenciam a recorrência de situações como dores constantes, episódios de crises, internações frequentes, sintomas limitantes, deformidades e perda de mobilidade. Trata-se de uma dimensão que aponta para o impacto direto da doença sobre a autonomia e a integridade corporal das pessoas afetadas.

A dimensão clínica e biológica apareceu em 61 citações (20%) e refere-se à severidade das condições clínicas associadas às doenças raras, incluindo menções à alta morbidade ou mortalidade, ao surgimento de doenças secundárias e à disfunção sexual. Esses elementos contribuem para caracterizar o grau de comprometimento fisiológico imposto por essas enfermidades, bem como suas repercussões sistêmicas.

A dimensão psíquica e mental foi identificada em 29 trechos (10%) e evidencia o sofrimento psicológico e emocional das pessoas com doenças raras, com destaque para quadros de ansiedade, depressão, alterações cognitivas e comportamentais. Ainda que em menor número, essas ocorrências apontam para aspectos subjetivos frequentemente invisibilizados nos processos técnicos de avaliação.

Por fim, a dimensão social e de cuidado, presente em 23 citações (8%), reúne menções à necessidade de apoio de terceiros, dependência de cuidadores, e aos desafios enfrentados no acesso aos serviços de saúde, como o deslocamento para tratamento em outros municípios ou estados. Essas vulnerabilidades revelam obstáculos concretos à participação social e à continuidade do cuidado em redes de atenção pouco estruturadas para acolher casos complexos.

A análise das 304 citações extraídas dos relatórios técnicos revelou uma predominância expressiva das **vulnerabilidades funcionais e físicas**, que concentraram 191 ocorrências. Essa categoria englobou relatos sobre crises diversas, dores intensas, limitações motoras, sintomas incapacitantes e desconfortos físicos significativos, evidenciando o quanto as doenças raras impactam diretamente a funcionalidade e a qualidade de vida das pessoas acometidas. Em seguida, destacaram-se as **vulnerabilidades clínicas e biológicas**, com 61 menções, associadas à alta morbidade e mortalidade, surgimento de doenças secundárias e disfunções orgânicas. As **vulnerabilidades psíquicas e mentais** somaram 29 ocorrências, refletindo o sofrimento emocional, os impactos cognitivos e as alterações comportamentais descritas nos relatórios. Por fim, as **vulnerabilidades sociais e de cuidado** foram mencionadas em 23

trechos, sobretudo em referência à dependência de cuidadores e à necessidade de deslocamentos frequentes para o acesso ao tratamento. Esses dados apontam para a multifatorialidade da vulnerabilidade enfrentada por pessoas com doenças raras e reforçam a necessidade de abordagens que considerem não apenas os aspectos clínicos, mas também as dimensões psicossociais e de acesso ao cuidado.

Essa sistematização revela que a produção técnica da CONITEC, mesmo sendo voltada prioritariamente à avaliação de evidências científicas e aspectos econômicos, incorpora de forma recorrente menções às diversas vulnerabilidades que atravessam a vida das pessoas com doenças raras. Esse dado é especialmente relevante no contexto de uma análise bioética, na medida em que evidencia a interseção entre critérios técnico-científicos e considerações éticas sobre o sofrimento, a dignidade e a justiça distributiva.

5.2 VULNERABILIDADES EM MÚLTIPLOS PLANOS NAS DOENÇAS RARAS: UMA ANÁLISE BIOÉTICA

Além dos impactos diretos na funcionalidade e saúde física, as pessoas com doenças raras enfrentam vulnerabilidades sistêmicas e estruturais. Um dos fenômenos mais recorrentes é o diagnóstico tardio, que prolonga o sofrimento, atrasa o início de terapias e compromete a eficácia de intervenções (EURORDIS, 2022; CHENG, 2024). Esse atraso decorre da escassez de profissionais especializados, do baixo conhecimento sobre a condição e da limitada disponibilidade de exames específicos no SUS. Vieira et al. (2023) apontam que, no Brasil, o intervalo entre os primeiros sintomas e o diagnóstico definitivo pode ultrapassar uma década, o que agrava complicações irreversíveis.

No campo psicossocial, os dados da CONITEC convergem com evidências internacionais robustas que apontam para altos índices de ansiedade, depressão e estresse entre pacientes e cuidadores de pessoas com doenças raras. A revisão sistemática de Atkins e Padgett (2024) mostrou que familiares de indivíduos com doenças raras vivenciam maior sofrimento psicológico, sobrecarga de cuidados, redução da qualidade de vida e mudanças nas redes de apoio. De forma complementar, a revisão de Cerne et al. (2024) destacou que cuidadores sofrem impactos negativos tanto na saúde física quanto mental, enfrentando barreiras de acesso a serviços e apresentando níveis significativamente mais baixos de qualidade de vida e maior prevalência de ansiedade e

depressão. Já o estudo de Lai et al. (2023) evidenciou que 57% dos cuidadores apresentavam sintomas de depressão moderada a grave e 50% sofriam de ansiedade, ressaltando ainda a importância do suporte social como fator protetivo contra o sofrimento psíquico. Mais recentemente, Domaradzki e Walkowiak (2025) observaram que mães de crianças com doenças neurológicas raras enfrentam sobrecarga elevada, queda na qualidade de vida e dificuldades financeiras, o que reforça a necessidade de apoio psicológico e políticas de proteção específicas.

Annemans et al. (2017) ressaltam que a avaliação de medicamentos órfãos deve considerar não apenas os desfechos clínicos, mas também o impacto sobre a qualidade de vida e o bem-estar psicossocial. De forma complementar, Pickaert (2025) mostra que a inclusão da perspectiva dos pacientes em processos de ATS evidencia esses fatores intangíveis, revelando como a experiência subjetiva do adoecimento — marcada pela vulnerabilidade emocional e pelo isolamento — pode enriquecer a compreensão dos benefícios e custos sociais das tecnologias.

Essas vulnerabilidades estruturais podem ser interpretadas sob a ótica da bioética da proteção, que reconhece que sujeitos expostos a riscos acrescidos necessitam de atenção diferenciada e políticas públicas específicas (SCHRAMM, 2000). O diagnóstico tardio, além de comprometer a saúde física, fere princípios de justiça e equidade, já que prolonga de forma desproporcional o sofrimento de pacientes e famílias. A ausência de acesso a exames específicos e a carência de especialistas configuram uma situação de injustiça sanitária, em que a raridade da condição não pode justificar a negligência institucional. Nessa perspectiva, a bioética se coloca como ferramenta crítica para demandar respostas estruturais que garantam proteção efetiva a grupos em maior vulnerabilidade.

Do mesmo modo, os impactos psicossociais das doenças raras — ansiedade, depressão, isolamento social — dialogam com a categoria bioética da solidariedade (BASTOS et al., 2021). Reconhecer e valorizar a experiência subjetiva do adoecimento, como mostram Pickaert (2025) e Annemans et al. (2017), implica compreender que o bem-estar e a qualidade de vida não são apenas consequências clínicas, mas também dimensões éticas da justiça em saúde. A solidariedade, aqui, traduz-se em políticas de apoio, no fortalecimento de redes comunitárias e na ampliação da participação social nos

processos de ATS, de modo a reduzir a invisibilidade que marca a trajetória das pessoas com doenças raras.

As vulnerabilidades econômicas associadas às doenças raras são igualmente expressivas, com muitas famílias enfrentando custos elevados relacionados a transporte para centros especializados, hospedagem durante tratamentos e a aquisição de medicamentos não incorporados ao SUS (OHE, 2024). Esses custos indiretos, frequentemente negligenciados, podem agravar ainda mais as desigualdades sociais, levando à perda de renda tanto pela incapacidade laboral do paciente quanto pela necessidade de cuidadores abandonarem suas atividades remuneradas para acompanhar o tratamento (GAGNON, 2011). A toxicidade financeira em doenças raras é um tema crescente, e estudos como o de Elliott et al. (2022) reforçam que os custos indiretos podem ser tão prejudiciais quanto os impactos clínicos dessas condições, afetando diretamente a qualidade de vida das famílias. Além disso, Biglia et al. (2021) discutem como os custos de tratamento para doenças raras, muitas vezes excluídos do SUS no Brasil, intensificam a desigualdade, exigindo uma revisão das políticas públicas para garantir o acesso universal aos medicamentos essenciais. Cavaller-Bellaubi (2023a) também observa que as dificuldades financeiras podem levar à perda de renda familiar, já que a dependência de tratamentos caros pode forçar as famílias a reconfigurarem sua dinâmica de trabalho. Nesse contexto, os estudos sugerem que os custos indiretos devem ser integrados à avaliação econômica das tecnologias em saúde, a fim de proporcionar uma visão mais holística dos impactos econômicos das doenças raras.

No que tange ao acesso ao cuidado, as barreiras incluem redes de atenção fragmentadas e insuficiência de serviços especializados. Mesmo quando há indicação de tratamento, a continuidade terapêutica é prejudicada por deslocamentos longos, processos administrativos morosos e dependência de programas especiais de fornecimento de medicamentos órfãos (VÁZQUEZ et al., 2024).

Sob a ótica ético-política, a vulnerabilidade das pessoas com doenças raras desafia diretamente os princípios de equidade e justiça distributiva. A priorização de tecnologias voltadas a populações pequenas é frequentemente contestada quando se adota apenas o critério do custo-efetividade, o que tende a invisibilizar dimensões sociais mais amplas. Entretanto, a revisão sistemática de Vásquez et al. (2024) demonstra que a incorporação de valores sociais – como a gravidade da condição, a ausência de alternativas terapêuticas

e o impacto sobre a qualidade de vida de pacientes e cuidadores – deve ser considerada como componente central nos processos de decisão em ATS para doenças raras, superando a limitação de análises puramente econômicas.

Essa perspectiva converge com o princípio da proteção da vulnerabilidade humana desenvolvido por Almeida (2010), que sustenta a vulnerabilidade como um princípio ético universal, exigindo cuidado, solicitude e defesa ativa de grupos em situação de fragilidade. Do mesmo modo, Friel (2017) reforça que as desigualdades em saúde são construções sociais e políticas, derivadas da distribuição desigual de recursos e poder, o que impõe ao Estado e às instituições regulatórias a obrigação de adotar medidas que reduzam as iniquidades e assegurem o direito à saúde em contextos de maior desvantagem. Assim, em situações de alta vulnerabilidade, como ocorre nas doenças raras, o direito à saúde deve prevalecer sobre argumentos restritivos de custo-efetividade, reafirmando a centralidade da justiça social e da proteção ética na tomada de decisão.

Os pacientes com doenças raras frequentemente são ainda enquadrados em uma lógica quantitativa, como se o reduzido número de indivíduos atingidos fosse argumento suficiente para classificá-los como um fardo econômico para o sistema público de saúde. Essa perspectiva utilitarista, além de injusta, compromete a efetivação do direito constitucional à saúde como direito universal. Amaral e Rego (2020) apontam que esses pacientes enfrentam barreiras adicionais, como a escassez de publicações científicas, a impossibilidade de realização de ensaios clínicos em larga escala — considerados padrão-ouro — e a desconsideração do valor social dos medicamentos órfãos frente à lógica do lucro da indústria farmacêutica. Esse contexto evidencia a necessidade de uma abordagem ético-política que supere visões estritamente economicistas, reconhecendo a dignidade inerente a cada pessoa afetada.

Outro desafio importante refere-se à comunicação entre academia, equipes técnicas, pacientes e famílias, que ainda é marcada por falhas significativas. Rosaneli et al. (2021) mostram que a ausência de informação qualificada e de diálogo efetivo invisibiliza os pacientes, retirando-lhes voz, autonomia e dignidade no processo de cuidado. Tal invisibilidade reforça desigualdades e contribui para que as pessoas com doenças raras permaneçam à margem das decisões que dizem respeito diretamente às suas vidas.

Adicionalmente, observa-se a prevalência de uma polarização entre a obrigação do Estado em assegurar assistência e o argumento do alto custo que tais tratamentos impõem ao sistema. Góes et al. (2022) sustentam que essa tensão deve ser enfrentada a partir de um marco ético fundamentado na equidade, que não se limite à igualdade formal, mas considere as necessidades singulares desses pacientes. A equidade em saúde, portanto, não se traduz em oferecer apenas o tratamento mínimo, mas em garantir o tratamento necessário, reconhecendo as vulnerabilidades específicas de cada condição.

Esse debate revela também a polissemia do conceito de justiça. Santos, Bruna (2020) enfatiza que justiça e equidade precisam ser compreendidas à luz dos contextos concretos de desigualdade, o que exige revisão constante das práticas e políticas públicas. A análise histórica das Conferências Nacionais de Saúde mostra que, embora a Constituição de 1988 tenha consolidado a saúde como direito de todos, o uso do termo “equidade” muitas vezes permaneceu vago, ora como sinônimo de igualdade, ora como diretriz sem força normativa clara (PINHEIRO et al., 2005). Esse déficit conceitual reforça a necessidade de fundamentar a equidade nas dimensões ética, moral e social, com atenção especial às situações-limite vivenciadas por pessoas com doenças raras.

Do ponto de vista bioético, a contraposição entre custo-efetividade e necessidades singulares exige a adoção de referenciais que transcendam o cálculo econômico. A análise dos casos de doenças raras demonstra que raciocínios baseados na lógica do “custo de um versus custo de muitos” invisibilizam sujeitos e aprofundam desigualdades. Como argumenta Hossne (2006), os princípios não podem ser aplicados como regras rígidas, mas como referenciais que dialogam com valores como dignidade, solidariedade e proteção. Assim, à luz da bioética, o sistema de saúde só se torna verdadeiramente universal e equitativo quando assegura o tratamento necessário — e não apenas o tratamento mínimo — às pessoas em maior vulnerabilidade.

A literatura brasileira já apontava que a vulnerabilidade envolve não apenas suscetibilidade a doenças, mas também a disponibilidade de recursos e a garantia de direitos (MUÑOZ SANCHEZ; BERTOLOZZI, 2007). Almeida (2010) diferencia vulnerabilidade de suscetibilidade, destacando que a primeira é a exposição ao dano, enquanto a segunda é o dano em curso — e que mitigar a suscetibilidade reduz também a vulnerabilidade. Corgozinho e Oliveira (2016) enfatizam que, sob a perspectiva

bioética, a vulnerabilidade social está associada à exclusão e à desproteção decorrentes das iniquidades em saúde.

Referências internacionais recentes corroboram e expandem essa visão. Estudos como o de Vázquez et al. (2024) demonstram que métodos como Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) e Discrete Choice Experiments (DCE) permitem incorporar valores sociais no processo de avaliação tecnológica, aproximando as decisões das necessidades reais das pessoas. O Rare Diseases Interest Group da HTAi (2023) recomenda práticas que conciliem rigor científico com flexibilidade ética, especialmente diante de incertezas comuns nas terapias para doenças raras.

No debate internacional sobre avaliação de tecnologias para doenças raras, tem sido crescente o reconhecimento de que os critérios tradicionais de custo-efetividade são insuficientes para orientar decisões justas e sustentáveis. Hughes-Wilson et al. (2012) argumentam que o atual sistema europeu de medicamentos órfãos precisa ser repensado, propondo que os processos de avaliação incorporem dimensões específicas, como a gravidade da condição, a inexistência de alternativas terapêuticas, o grau de benefício clínico, a complexidade de desenvolvimento e a necessidade médica não atendida. Esses elementos, ponderados conforme valores sociais e prioridades nacionais, ampliam a análise além da racionalidade estritamente econômica e reforçam a centralidade da equidade na tomada de decisão.

5.3 PARTICIPAÇÃO SOCIAL E EFEITOS DAS CONSULTAS PÚBLICAS NOS PROCESSOS DE AVALIAÇÃO DA CONITEC

Esta seção apresenta uma visão abrangente das consultas públicas realizadas pela CONITEC nos processos de avaliação de tecnologias relacionadas às doenças raras entre 2015 e 2024. Foram analisados 83 relatórios técnicos, dos quais oito foram excluídos por não tratarem de incorporação de tecnologias, restando, portanto, 75 relatórios para análise. A seguir, são apresentadas as principais informações sistematizadas a partir desses processos.

5.3.1 PROCESSOS AVALIADOS ENTRE 2015 E 2024

A tabela a seguir resume a quantidade de processos avaliados pela CONITEC envolvendo doenças raras entre os anos de 2015 e 2024:

Tabela 2 – Processos avaliados

Ano referência	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	Total
Nº Total Processos	6	4	10	13	9	7	5	12	7	10	83
Excluídos	2	1	2	1	2	0	0	0	0	0	8
Incluídos na análise	4	3	8	12	7	7	5	12	7	10	75

Fonte: elaborado pela autora (2025)

5.3.2 ATORES PARTICIPANTES DAS CONSULTAS PÚBLICAS

Com base nos 75 relatórios válidos analisados, foi realizada a identificação e categorização dos atores sociais que participaram das consultas públicas conduzidas pela CONITEC no contexto de doenças raras. As informações foram organizadas conforme as descrições constantes nos próprios relatórios técnicos, permitindo mapear a representatividade de cada grupo de atores no processo.

Observou-se que a maior parte das contribuições partiu de pacientes (18.231) e de familiares/amigos/cuidadores (18.112), evidenciando a centralidade da experiência direta e indireta com a doença como motor de mobilização social. Outros grupos também tiveram participação expressiva, como interessados no tema (9.629) e profissionais de saúde (8.276), o que sugere engajamento não apenas de usuários e familiares, mas também de especialistas e cidadãos preocupados com a temática.

Em menor escala, mas igualmente relevantes, apareceram as contribuições de OSC/associações (355), instituições de saúde (120), instituições de ensino (57), órgãos públicos (29) e outros atores (44). Destaca-se ainda a participação de empresas/pessoas jurídicas (214), que, embora numericamente reduzida, representa um grupo estratégico nas discussões sobre incorporação de tecnologias.

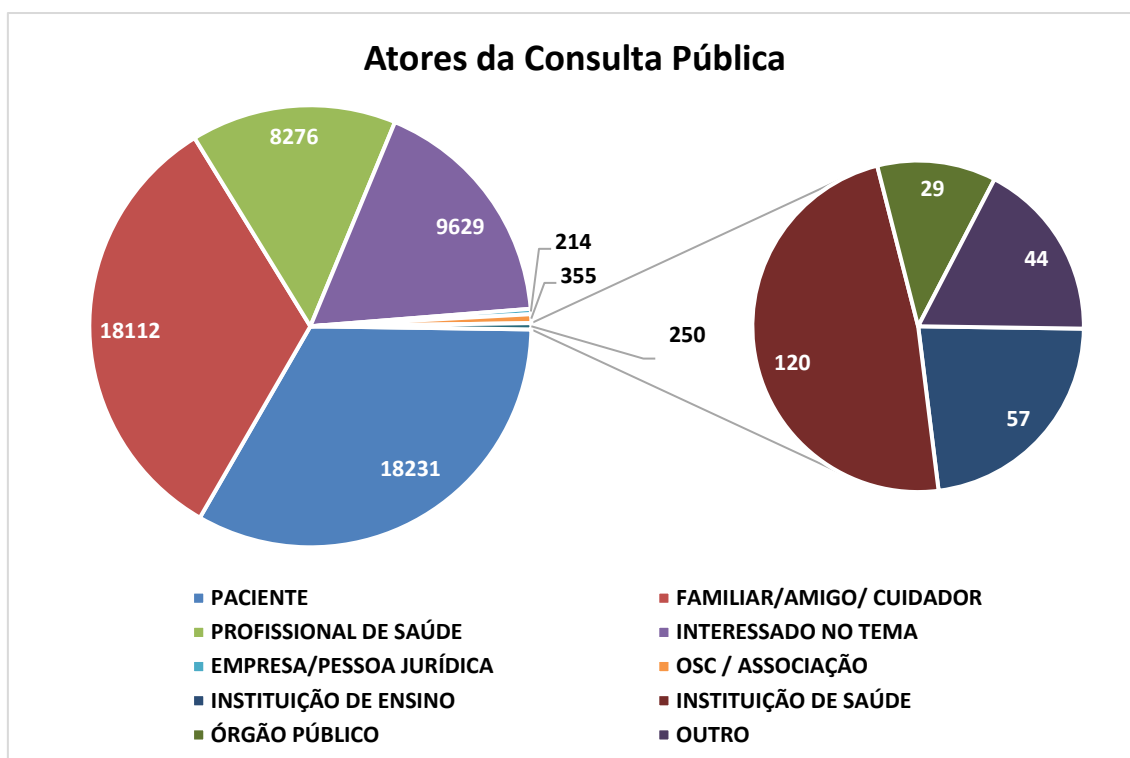
Essa distribuição heterogênea reflete tanto a diversidade de interesses envolvidos quanto as assimetrias de voz no processo. A predominância de pacientes e cuidadores mostra a relevância de suas narrativas para o debate, mas também reforça a necessidade de mecanismos institucionais capazes de equilibrar a participação de diferentes segmentos.

A Figura 8 apresenta a distribuição dos atores participantes das consultas públicas analisadas, evidenciando a predominância de contribuições provenientes de pacientes e familiares, amigos ou cuidadores, que, juntos, representam a maior parte das manifestações registradas. Esse resultado indica um elevado grau de mobilização social diretamente relacionada às experiências vividas com a doença, especialmente no contexto das doenças raras.

Observa-se, em menor proporção, a participação de profissionais de saúde e de indivíduos classificados como interessados no tema, o que demonstra a presença de contribuições técnicas e informadas, ainda que em menor volume quando comparadas às experiências diretas dos pacientes. Por outro lado, a participação de instituições, empresas e órgãos públicos apresenta-se reduzida, sugerindo uma menor atuação institucional formal nesse tipo de instrumento participativo.

Esse padrão reforça o caráter experiencial das contribuições, nas quais predominam narrativas relacionadas às dificuldades cotidianas, ao impacto da doença na qualidade de vida e à ausência de alternativas terapêuticas. Sob a perspectiva da Ciência, Tecnologia e Sociedade (CTS), esses dados evidenciam que a participação social na CONITEC é fortemente marcada pela presença de sujeitos diretamente afetados, contribuindo para a construção de um conhecimento situado, que complementa, tensiona e contextualiza as evidências técnico-científicas utilizadas no processo decisório.

Figura 8 – Distribuição dos atores participantes das consultas públicas da CONITEC (2015–2024)



Fonte: elaborado pela autora (2025)

5.4 DISTRIBUIÇÃO DAS DECISÕES APÓS CONSULTA PÚBLICA

A análise das decisões permitiu identificar 52 pareceres com decisão preliminar mantida como decisão final após a consulta pública, enquanto 22 pareceres alteraram a decisão preliminar após consulta pública, resultando em recomendação de incorporação. Um relatório continha apenas deliberação final, sem realização de consulta pública. A tabela a seguir traz a relação completa dos 83 relatórios, destacando as exclusões da análise e o relatório em que não houve decisão preliminar e consulta pública.

Tabela 3 – Decisões por relatório (exclusões destacadas)

Relatório Número/ano	Nome da tecnologia	Recomendação preliminar	Decisão final
163/2015	Icatibanto para Angioedema Hereditário	não incorporação	não incorporação
166/2015	Ciclosporina oral para Doença de Crohn	exclusão do SUS	exclusão do SUS
147/2015	Eritropoietina para Doença Falciforme	não incorporação	não incorporação
167/2015	Mesalazina em enema e supositório para Doença de Crohn	exclusão do SUS	exclusão do SUS
149/2015	Pegvisomanto para Acromegalia	não incorporação	não incorporação
151/2015	Transplante de Células-Tronco Hematopoéticas para Doença Falciforme	incorporação	incorporação
203/2016	Pancrelipase para insuficiência pancreática na fibrose cística	exclusão do SUS	exclusão do SUS
213/2016	Golimumabe para espondilite anquilosante	incorporação	incorporação
217/2016	Tobramicina inalatória para fibrose cística	não incorporação	incorporação
226/2016	Fumarato de dimetila para esclerose múltipla remitente-recorrente	não incorporação	não incorporação
239/2017	Certolizumabe pegou D.Crohn	incorporação	incorporação
257/2017	Fingolimode para esclerose múltipla remitente recorrente	não incorporação	incorporação
259/2017	Teriflunomida para EMRR	não incorporação	incorporação
264/2017	Alfataliglicerase para doença de Gaucher	incorporação	incorporação

286/2017	Fumarato de dimetila para esclerose múltipla remitente recorrente	não incorporação	incorporação
293/2017	Laronidase para MPS I	incorporação	incorporação
297/2017	Somatropina para Turner e Hipopituitarismo		ampliação do uso
302/2017	Desmopressina para diabetes insipidus central	não há	incorporação

307/2017	Alentuzumabe - esclerose múltipla remitente	não incorporação	não incorporação
311/2017	Idursulfase para MPS II	incorporação	incorporação
318/2018	Secuquinumabe para espondilite anquilosante	incorporação	incorporação
344/2018	Belimumabe para lúpus	não incorporação	não incorporação
348/2018	Pegvisomanto para acromegalia	não incorporação	não incorporação
354/2018	Acetato de lanreotida para tumores endócrinos	não criação de novo procedimento	não criação de novo procedimento
383/2018	Riociguate para HPTEC	não incorporação	não incorporação

402/2018	Sapropterina para fenilcetonúria	não incorporação	incorporação
404/2018	Eltrombopague para PTI	não incorporação	incorporação
405/2018	Romiplostim para púrpura trombocitopênica idiopática	não incorporação	não incorporação
411/2018	Alfaelosulfase para mucopolissacaridose	não incorporação	incorporação
412/2018	Galsulfase para mucopolissacaridose	não incorporação	incorporação

413/2018	Eculizumabe para hemoglobinúria	não incorporação	incorporação
417/2018	Alentuzumabe para esclerose múltipla remitente-recorrente	não incorporação	não incorporação

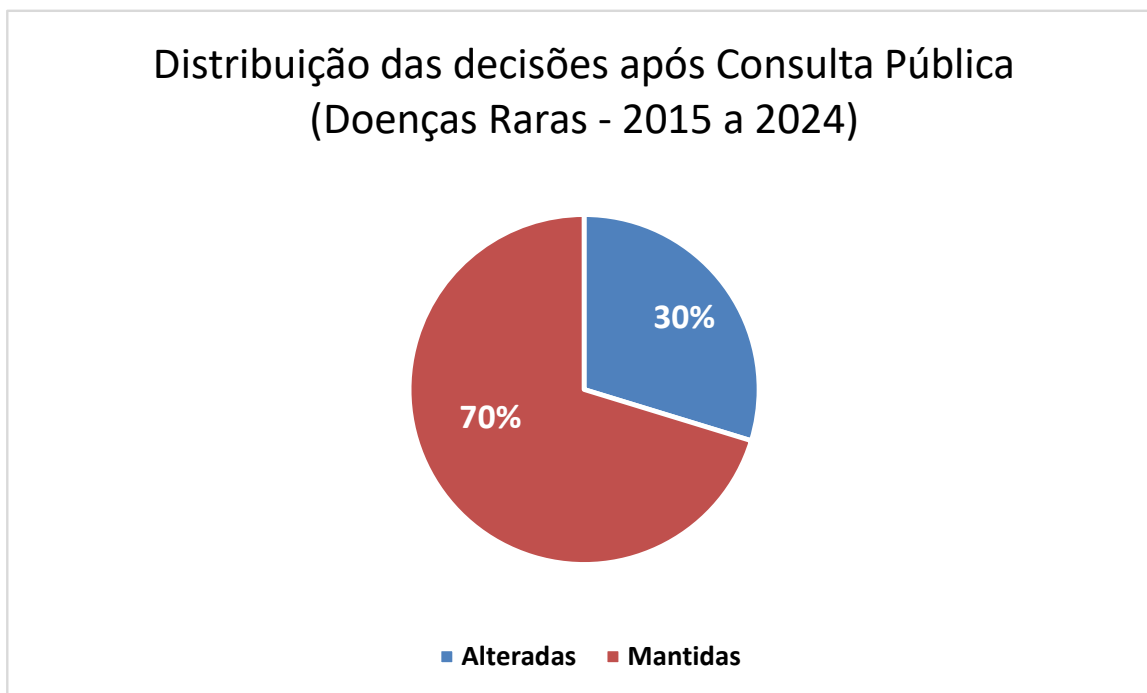
418/2018	Acetato de Glatorames - esclerose múltipla recorrente	não incorporação	incorporação
444/2019	Pamidronato dissódico para Doença de Paget óssea	exclusão do sus	exclusão do sus
446/2019	Ocrelizumabe para esclerose múltipla primariamente	não incorporação	não incorporação
447/2019	Ocrelizumabe para esclerose múltipla formas recorrentes	não incorporação	não incorporação
448/2019	Fórmula metabólica isenta de metionina para homocistinúria clássica	não incorporação	incorporação
450/2019	Vedolizumabe para Doença de Crohn	não incorporação	não incorporação
483/2019	Eculizumabe para síndrome hemolítico-urêmica atípica (SHUa)	não incorporação	não incorporação
490/2019	Vacinas meningocócicas ACWY e B para pacientes com HPN que utilizam eculizumabe	não incorporação	não incorporação
493/2019	TMO hemoglobinúria	ampliação do uso	ampliação do uso
505/2019	Fumarato de dimetila para Esclerose Múltipla remitente-recorrente	incorporação	incorporação
519/2020	Riociguate para hipertensão pulmonar tromboembólica crônica (HPTEC)	não incorporação	não incorporação
544/2020	Levotiroxina sódica para hipotireoidismo congênito	incorporação	incorporação
557/2020	Bortezomibe para mieloma múltiplo previamente tratado	incorporação	incorporação
558/2020	Bortezomibe para mieloma múltiplo elegíveis ao transplante	incorporação	incorporação

559/2020	Bortezomibe para mieloma múltiplo inelegíveis ao transplante	incorporação	incorporação
561/2020	Ocrelizumabe para esclerose múltipla recorrente-remitente	não incorporação	não incorporação
579/2020	Lumacaftor/Ivacaftor para fibrose cística	não incorporação	não incorporação
609/2021	Alentuzumabe para EMRR	não incorporação	incorporação
619/2021	Sapropterina para fenilcetonúria	não incorporação	não incorporação
633/2021	Lanadelumabe para angioedema hereditário	não incorporação	não incorporação
642/2021	Selexipague para HAP	não incorporação	incorporação
659/2021	Eculizumabe para HPN	não exclusão	não exclusão
700/2022	Lenalidomida (elegíveis)	não incorporação	não incorporação
701/2022	Lenalidomida (inelegíveis)	não incorporação	não incorporação
702/2022	Daratumumabe	não incorporação	não incorporação
706/2022	Alfacerliponase	não incorporação	incorporação
712/2022	Colistimetato de sódio	incorporação	incorporação
728/2022	Tezacaftor/Ivacaftor	não incorporação	não incorporação
730/2022	Medicamentos para HAP	incorporação	incorporação
747/2022	Ofatumumabe	não incorporação	não incorporação
748/2022	Cladribina	não incorporação	não incorporação
753/2022	Vedolizumabe	não incorporação	não incorporação
768/2022	Carfilzomibe	não incorporação	não incorporação
791/2022	Betaína anidra	não incorporação	não incorporação

799/2023	Inotersena para PAF-TTR	não incorporação	não incorporação
810/2023	Belimumabe intravenoso para lúpus eritematoso sistêmico	não incorporação	não incorporação
844/2023	Elexacaftor/Tezacaftor/lv acaftor para fibrose cística	não incorporação	incorporação
855/2023	Cladribina oral para EMRR altamente ativa	não incorporação	incorporação
860/2023	Inibidor C1 intravenoso para crises de AEH	não incorporação	incorporação
861/2023	Icatibanto para AEH	não incorporação	incorporação
862/2023	Inibidor C1 subcutâneo para AEH	não incorporação	não incorporação
864/2024	Ustequinumabe para Doença de Crohn	não incorporação	incorporação
872/2024	Hidroxiureia 100/1000 mg para doença falciforme	incorporação	incorporação
873/2024	Hidroxiureia 500 mg para doença falciforme	incorporação	incorporação
874/2024	Alfaepoetina para doença falciforme com piora renal	incorporação	incorporação
875/2024	Ravulizumabe para Hemoglobinúria	não incorporação	incorporação
888/2024	Calprotectina fecal para Doença de Crohn	não incorporação	incorporação
903/2024	Pegvisomanto para acromegalia	não incorporação	não incorporação
904/2024	Pamoato de pasireotida para acromegalia	não incorporação	incorporação
913/2024	Riociguate para HAP grupo I	não incorporação	não incorporação
922/2024	Inotersena (novo parecer)	não incorporação	não incorporação

Fonte: elaborado pela autora (2025)

O gráfico abaixo demonstra essa distribuição das decisões:

Figura 9 – Panorama das decisões

Fonte: elaborado pela autora (2025)

A sistematização das decisões da CONITEC mostrou que 52 pareceres mantiveram a decisão preliminar após consulta pública, enquanto 22 foram revertidos após a consulta pública, resultando em aproximadamente 30% de reversões. Esse dado evidencia que, embora a participação social não seja, por si só, o fator determinante na maioria dos casos, ela pode desempenhar papel relevante quando articulada a outros elementos, como a apresentação de novas evidências clínicas, revisões de custo-efetividade ou negociações de fornecimento. Essa dinâmica reforça que a consulta pública, mesmo em um modelo predominantemente técnico, abre espaço para a influência social e para a legitimação das decisões, sobretudo em situações de maior controvérsia.

A literatura internacional sobre doenças raras contribui para compreender a importância desse mecanismo. Rollet et al. (2013) argumentam que o desenvolvimento e o acesso a medicamentos órfãos estão fortemente associados a altos custos e a modelos de negócio frágeis, o que impõe um debate inevitável sobre valor, sustentabilidade e acesso equitativo. Nesse cenário, a participação dos pacientes e organizações torna-se estratégica para ampliar a legitimidade das decisões, principalmente diante das incertezas clínicas típicas das doenças raras. Experiências europeias como o MoCA (Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products), analisadas por Cavaller-Bellaubi et

al. (2023a, 2023b), mostram que o diálogo multissetorial – envolvendo pacientes, pagadores e desenvolvedores – pode reduzir incertezas e apoiar modelos de decisão mais transparentes. Mais recentemente, Cavaller-Bellaubi et al. (2024) destacam o papel estruturante de organizações como a EURORDIS, que atuam na consolidação de marcos regulatórios e na defesa da equidade no acesso, reforçando que a participação social organizada amplia tanto a consistência técnica quanto a aceitação social das decisões sobre incorporação de tecnologias.

As experiências internacionais confirmam que a alteração de decisões preliminares após processos participativos não é exclusiva do Brasil. No Reino Unido, o modelo do National Institute for Health and Care Excellence (NICE) prevê a emissão de um Documento de Consulta de Avaliação (*Appraisal Consultation Document - ACD*), quando a recomendação inicial é restritiva, abrindo-se um período de consulta pública antes da decisão final (Final Appraisal Determination – FAD). O estudo de Campbell et al. (2017) demonstrou que 74,3% das recomendações sobre procedimentos intervencionistas sofreram alterações após a consulta pública, evidenciando o impacto significativo do engajamento estruturado dos *stakeholders* (atores sociais) no resultado. De forma complementar, a revisão sistemática de Longworth et al. (2013) mostrou que, em diversos casos, múltiplos ACDs foram publicados, refletindo a necessidade de revisões substanciais a partir das contribuições recebidas.

A literatura recente reforça a relevância desse engajamento. Abelson et al. (2016) desenvolveram um *framework* (modelo) para participação pública e de pacientes em ATS, enfatizando que tais mecanismos não apenas aumentam a legitimidade das decisões, mas também ampliam sua aplicabilidade social e reduzem tensões políticas em contextos de escassez de recursos. Especificamente em doenças raras, Hale et al. (2023) observaram que o NICE tem mostrado flexibilidade no processo de avaliação de tecnologias por meio da rota de avaliação de tecnologia única (*single technology appraisal - STA*), considerando a raridade das condições, a incerteza clínica e a possibilidade de acordos comerciais para garantir acesso mesmo com evidências limitadas. Finalmente, o mapeamento global de Bertelsen et al. (2023) destaca que o uso de dados de experiência do paciente (PXD) e de práticas estruturadas de engajamento tem se expandido, sendo reconhecido como componente essencial para ATS e decisões regulatórias em diversos países

Na Austrália, o Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) mantém, desde 2014, um portal de comentários de pacientes e cuidadores (*consumer comments*) para receber contribuições de pacientes e cidadãos antes da decisão final. Essas manifestações são incluídas nos Relatórios Públicos Resumidos (*Public Summary Documents*) de cada tecnologia avaliada, mas sua influência direta sobre reversões de decisões preliminares é considerada limitada. Contudo, como destacam Kim et al. (2021), não há evidências claras de que essas contribuições tenham alterado recomendações finais, o que limita a transparência e aproxima o cenário australiano do observado na CONITEC, em que as consultas públicas têm papel mais legitimador do que transformador.

Em contraste, no Canadá, os mecanismos de participação têm sido mais estruturados. Berglas et al. (2016) analisaram a experiência do Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) e identificaram que a inclusão de pacientes nos processos de ATS possibilitou avanços na incorporação de suas perspectivas, ainda que persistam desafios metodológicos quanto à forma de avaliar a validade dessas contribuições. Da mesma forma, Rawson (2022) destaca que o engajamento precoce de pacientes nos processos de revisão de tecnologias no Canadá ajudou a tornar as decisões mais responsivas às necessidades dos usuários, aumentando a legitimidade das recomendações. Esses estudos evidenciam que, embora não eliminem as tensões entre critérios técnicos e sociais, os modelos canadenses criaram um espaço mais claro e reconhecido para a voz do paciente nas deliberações.

Na Europa, há uma diversidade de abordagens, mas países como França contam com protocolos explícitos para a integração das contribuições de pacientes, tornando visível a forma como essas informações influenciam a decisão final. A análise de Dimitrova et al. (2022) sobre países da Europa Central e Oriental mostra que a ausência de diretrizes claras de engajamento constitui uma barreira significativa para a efetiva integração das perspectivas sociais, revelando que a formalização metodológica é essencial para que a participação vá além do caráter simbólico. Assim, enquanto a experiência australiana demonstra os limites de uma participação meramente consultiva, os modelos canadense e francês reforçam que a participação estruturada e transparente pode exercer impacto mais direto na legitimidade e no conteúdo das recomendações em ATS.

No Canadá, a Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) institucionalizou a submissão de contribuições de pacientes (*patient input*) e contribuições de profissionais de saúde (*clinician input*) no âmbito do Common Drug Review, garantindo que experiências e prioridades de pacientes e profissionais sejam consideradas já nas fases iniciais de avaliação. Estudos indicam que essas contribuições são de fato incorporadas qualitativamente nos relatórios e utilizadas pelo Canadian Drug Expert Committee (CDEC) para interpretar a evidência, ainda que não haja dados públicos sobre sua influência direta na reversão de recomendações preliminares. Em análise recente sobre a entrada de clínicos no processo, Jenei e Meyers (2023) mostraram que, entre 2016 e 2020, 96% das submissões de médicos recomendaram o financiamento de novos fármacos oncológicos, mesmo quando apenas 25% apresentavam benefício clínico substancial, revelando tensões entre a evidência científica e as pressões do engajamento profissional.

A efetividade da participação, segundo Gagnon et al. (2011, 2014), depende de condições institucionais claras: diretrizes transparentes, metodologias para avaliar o valor das contribuições e capacitação adequada dos representantes, para que possam dialogar de forma informada com especialistas. Essa perspectiva também se aplica às associações de pacientes em doenças raras, cujas vozes podem trazer dimensões sociais e éticas não capturadas pelos desfechos clínicos tradicionais. Nesse sentido, a experiência canadense demonstra avanços importantes na formalização da participação, ainda que persistam desafios quanto à mensuração do seu impacto decisório.

Nos Estados Unidos, o Institute for Clinical and Economic Review (ICER) abre uma janela para comentários públicos ao *Draft Evidence Report* (Relatório Preliminar de Evidências), revisando o documento e publicando uma versão revisada acompanhada de respostas detalhadas. Embora o ICER não seja uma agência reguladora, essa prática demonstra que o retorno estruturado às contribuições recebidas pode fortalecer a legitimidade do processo e, em alguns casos, alterar recomendações técnicas (GERLACH et al., 2020; ICER, 2024).

Na Alemanha, o processo de avaliação conduzido pelo Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) e pelo Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA) prevê a realização de uma audiência pública entre a emissão do parecer técnico e a decisão final. Esse espaço permite que diferentes atores — pacientes, médicos,

associações de pacientes e representantes da indústria — apresentem informações adicionais e argumentos complementares. Como analisam Ruof et al. (2014), em 17 casos avaliados o G-BA tomou decisões divergentes das recomendações do IQWiG, o que evidencia que as deliberações do colegiado não se limitam aos pareceres técnico-científicos, mas incorporam também dimensões políticas e sociais derivadas do debate público. Essa experiência demonstra que a presença de mecanismos presenciais e deliberativos pode conferir peso decisivo às contribuições recebidas, ampliando a legitimidade e a aceitação social das decisões.

O caso alemão encontra paralelos em outras experiências europeias, em que a incorporação de medicamentos em condições de elevada incerteza clínica envolveu negociações políticas e sociais. Ao analisar o acesso a medicamentos órfãos, Dupont e Van Wilder (2010) destacam que, apesar da baixa qualidade das evidências clínicas disponíveis, muitos países da União Europeia flexibilizaram seus padrões de exigência para garantir a entrada dessas terapias no mercado, apoiando-se no princípio da equidade e na pressão social organizada de associações de pacientes. Essa constatação reforça que, mesmo em contextos de rigor metodológico, os processos de ATS não são puramente técnicos: eles são moldados por fatores sociais e políticos que reconhecem a vulnerabilidade das populações raras e buscam equilibrar justiça distributiva, sustentabilidade econômica e legitimidade social.

Ao comparar esses cenários, observa-se que a proporção de reversões de decisões na CONITEC situa-se em um patamar intermediário: menor do que no modelo do NICE, onde mudanças são relativamente frequentes após a consulta pública, mas mais expressiva do que no PBAC australiano, em que o impacto direto das contribuições tende a ser restrito. A principal convergência entre esses modelos é que a consulta pública ou mecanismos equivalentes funcionam como momentos estratégicos para revisão das decisões preliminares, especialmente em doenças raras, nas quais as evidências clínicas tradicionais são frequentemente limitadas e a experiência dos pacientes pode assumir maior peso no processo de avaliação.

Nesse sentido, Annemans et al. (2017) argumentam que os métodos convencionais de avaliação de tecnologias em saúde não são plenamente adequados para captar as especificidades das doenças raras e dos medicamentos órfãos, sendo necessário incorporar elementos adicionais de valor, como a gravidade da condição, a ausência de

alternativas terapêuticas e a qualidade de vida dos pacientes. De forma complementar, Foltanova et al. (2022), ao analisarem o contexto da Eslováquia, evidenciam que a ausência de critérios transparentes e previsíveis para a incorporação de medicamentos órfãos compromete a equidade no acesso e gera incertezas nas decisões de reembolso. Esses achados reforçam que, também no Brasil, a participação social pode contribuir para ampliar a legitimidade das decisões e equilibrar os critérios econômicos com dimensões sociais e éticas na incorporação de tecnologias para doenças raras.

Apesar dos avanços institucionais, a análise comparada dos diferentes sistemas de ATS mostra que a efetividade da participação não depende apenas da existência de canais formais, mas de três condições complementares. A primeira é a capacitação técnica de pacientes e associações, essencial para que consigam compreender os dados clínicos e econômicos e dialogar em condições de maior simetria com especialistas. Gagnon (2011, 2014) enfatiza que, sem diretrizes claras e treinamento adequado, os representantes sociais correm o risco de participar apenas de forma ritualizada, sem real influência no processo. Essa necessidade também é destacada por Rollet et al. (2013), ao mostrar que a sustentabilidade do acesso a medicamentos órfãos exige que pacientes e formuladores entendam os limites da evidência e os desafios econômicos para que a mobilização social seja efetiva e não apenas simbólica.

O segundo elemento é a integração metodológica explícita das contribuições nos relatórios técnicos. A experiência canadense, analisada por Berglas et al. (2016) e Rawson (2022), evidencia que o *patient input* pode influenciar decisões do CADTH, mas apenas quando há critérios claros que orientem a avaliação de sua relevância. De modo semelhante, Facey et al. (2010) defendem que a perspectiva dos pacientes deve ser tratada como uma forma legítima de evidência, desde que acompanhada de procedimentos transparentes para sua incorporação. O terceiro aspecto é a transparência no feedback, permitindo que os participantes saibam de que maneira suas contribuições foram consideradas. Abelson et al. (2016) destacam que a legitimidade da participação depende de devolver à sociedade a explicação sobre como as contribuições recebidas influenciaram (ou não) a decisão final.

Quando esses elementos não estão presentes, a participação corre o risco de se tornar mais simbólica do que substantiva. Isso é particularmente sensível em áreas como as doenças raras, onde a mobilização social é intensa, mas frequentemente enfrenta

limitações de recursos e expertise. O estudo de Dimitrova et al. (2022) mostra que, em países da Europa Central e Oriental, a ausência de metodologias estruturadas e a escassez de recursos humanos e financeiros dificultam a integração real das contribuições dos pacientes, reduzindo seu impacto sobre as decisões.

No Brasil, Formenton et al. (2021) ressaltam que a participação social em ciência e tecnologia deve ser entendida como condição indispensável para democratizar o conhecimento e aproximar a produção tecnocientífica das necessidades coletivas. Segundo os autores, há risco de que processos participativos se limitem a instrumentos formais e pouco efetivos caso não sejam acompanhados por critérios claros, mecanismos de comunicação acessíveis e devolutivas transparentes à sociedade. Essa perspectiva, inspirada no campo CTS, reforça que decisões tecnocientíficas não podem ser restritas a especialistas, mas devem incorporar múltiplas vozes sociais, evitando a reprodução de uma lógica tecnocrática que distancia ciência, tecnologia e democracia.

Assim, a literatura converge para a ideia de que capacitação, integração metodológica e feedback são condições indispensáveis para que a participação seja de fato transformadora e não apenas um ritual de legitimação.

5.4.1 DECISÕES PRELIMINARES MANTIDAS APÓS CONSULTA PÚBLICA

A análise dos relatórios em que a decisão preliminar foi mantida após a realização da consulta pública evidencia a prevalência de critérios técnico-científicos e econômicos como base do julgamento final da CONITEC. Nos casos examinados, os pareceres desfavoráveis à incorporação foram sustentados por fatores recorrentes, como: ausência de evidência clínica robusta, ineficácia terapêutica, alto impacto orçamentário estimado, fragilidade metodológica dos estudos apresentados e, em alguns casos, ausência de custo-efetividade.

Abaixo segue tabela com a apresentação dos fatores para manutenção do parecer, por relatório, ressaltando que 17 relatórios apresentaram decisões preliminares de recomendação de incorporação, que também foram mantidas:

Tabela 4 – Fatores para manutenção do parecer

Decisão preliminar mantida como final	
Relatório	Fatores para manutenção do parecer
163/2015	A Consulta Pública recebeu 109 contribuições, sendo 39 técnico-científicas e 70 de pacientes e cuidadores. Impacto orçamentário elevado, fragilidade das evidências clínicas no contexto do SUS, não substitui a necessidade do aporte hospitalar. Contribuições da consulta pública sem dados técnicos adicionais relevantes.
147/2015	A Consulta Pública recebeu 11 contribuições de teor técnico-científico. Falta de evidência robusta sobre efetividade clínica, ausência de estudos com delineamento adequado para o público-alvo, inexistência de dados sobre uso de eritropoetina sem insuficiência renal crônica.
149/2015	A Consulta Pública recebeu 24 contribuições, sendo 15 técnico-científicas e 9 de pacientes e/ou cuidadores. Ausência de evidência clínica robusta de superioridade em relação às alternativas já incorporadas, elevado impacto orçamentário estimado, países que possuem sistemas públicos de saúde não recomendam o financiamento por não considerá-lo custo-efetivo.
151/2015	A Consulta Pública recebeu 284 contribuições, sendo 52 técnicas e 232 de pacientes. Reconhecimento do TCTH alogênico aparentado como único tratamento curativo disponível, apoio unânime da CONITEC, evidências de eficácia em casos selecionados, amplo apoio na consulta pública, e impacto positivo na qualidade de vida dos pacientes com doença falciforme.
213/2016	Foram recebidas 19 contribuições. Análise de custo-efetividade favorável, menor custo em relação a alternativas disponíveis, e evidência de eficácia clínica comparável aos demais medicamentos da mesma classe. Outras agências recomendaram a incorporação como alternativa de tratamento.
226/2016	Foram recebidas 362 contribuições, sendo 69 técnico-científicas e 293 de experiência ou opinião. Incertezas sobre a superioridade em relação aos tratamentos já oferecidos pelo SUS. Alto impacto orçamentário.
239/2017	Foram recebidas 31 contribuições, sendo 4 técnico-científicas e 27 de experiência ou opinião. Resultados sugerem eficácia e segurança. Os gastos com medicamentos biológicos serão potencialmente reduzidos no cenário de incorporação desse agente.
264/2017	Expansão de uso aprovada pela ANVISA, evidências de eficácia e segurança em estudos clínicos com pacientes pediátricos, impacto orçamentário baixo, e relevância para revisão de PCDT.
293/2017	Foram recebidas 348 contribuições, sendo 8 técnico-científicas e 340 de experiência ou opinião. Reconhecimento da laronidase como terapia de reposição enzimática eficaz, impacto positivo na progressão da doença e na qualidade de vida, ausência de alternativas terapêuticas modificadoras da doença no SUS, e apoio unânime nas contribuições da consulta pública.

307/2017	Foram recebidas 508 contribuições, sendo 55 técnico-científicas e 453 de experiência ou opinião. Incertezas substanciais em relação à manutenção da eficácia em longo prazo. Fragilidade dos estudos econômicos apresentados. Evidências não demonstraram custo-efetividade.
311/2017	Foram recebidas 625 contribuições, sendo 70 técnico-científicas e 555 de experiência ou opinião. Reconhecimento da idursulfase como única opção de terapia modificadora da doença para MPS II, evidência de impacto positivo na progressão da doença e na qualidade de vida, e apoio significativo das contribuições da consulta pública.
318/2018	Foram recebidas 323 contribuições. Evidência de eficácia clínica comparável aos anti-TNF já incorporados, proposta de preço similar às alternativas existentes, e amplas contribuições na consulta pública destacando necessidade de opções terapêuticas adicionais.
344/2018	Foram recebidas 465 contribuições, sendo 93 técnico-científicas e 372 de experiência ou opinião. Evidência fraca de eficácia e segurança. A incorporação não se mostrou custo-efetiva.
348/2018	Foram recebidas 14 contribuições, sendo 5 técnico-científicas e 9 de experiência ou opinião. Falta de evidência robusta de superioridade clínica em relação às alternativas já incorporadas, estudos com baixa qualidade metodológica. Ausência de dados técnicos adicionais nas contribuições da consulta pública.
383/2018	Foram recebidas 601 contribuições, sendo 22 técnico-científicas e 579 de experiência ou opinião. O medicamento não é custo-efetivo, ainda há incertezas importantes na evidências apresentadas em relação à eficácia em longo prazo e fragilidades dos estudos econômicos apresentados.
405/2018	Foram recebidas 21 contribuições, sendo 7 técnico-científicas e 14 de experiência ou opinião. Não há evidências de eficácia superior comparado ao placebo e ao tratamento padrão. Fragilidade dos estudos econômicos apresentados.
417/2018	Foram recebidas 398 contribuições, sendo 39 técnico-científicas e 359 sobre experiência ou opinião. Incertezas quanto à segurança do medicamento, ausência de evidência clínica de superioridade frente às alternativas já disponíveis no SUS, custo elevado e falta de elementos novos na consulta pública que justificassem a mudança de parecer.
446/2019	Foram recebidas 505 contribuições, sendo 147 técnico-científicas e 358 de experiência ou opinião. Alta incerteza sobre o benefício clínico relevante, ausência de efeito comprovado em desfechos centrais da EM-PP, custo elevado do tratamento e falta de novos dados técnicos nas contribuições da consulta pública.
447/2019	Foram recebidas 797 contribuições, sendo 298 técnico-científicas e 499 sobre experiência ou opinião. Falta de superioridade clínica em relação aos medicamentos já incorporados, incertezas quanto à segurança em longo prazo, custo elevado, e ausência de argumentos técnicos suficientes nas contribuições da consulta pública para justificar a mudança de parecer.

450/2019	Foram recebidas 342 contribuições, sendo 86 técnico-científicas e 256 sobre experiência ou opinião. Alta incerteza sobre a efetividade clínica em comparação aos medicamentos já incorporados, impacto orçamentário elevado e ausência de novas evidências técnicas nas contribuições da consulta pública.
483/2019	Foram recebidas 1280 contribuições, sendo 280 técnico-científicas e 1000 sobre experiência ou opinião. Incertezas sobre eficácia e efetividade. Elevado impacto orçamentário, que não se justifica frente às incertezas.
490/2019	Foram recebidas 18 contribuições, sendo 2 técnico-científicas e 16 sobre experiência ou opinião. Qualidade global de evidência muito baixa. Alto impacto orçamentário.
505/2019	Foram recebidas 1027 contribuições, sendo 130 técnico-científicas e 897 sobre experiência ou opinião. Efetividade semelhante ao teriflunomida, nova proposta de preço inferior ao da avaliação anterior, segurança aceitável, administração oral, e contribuições da consulta pública destacando a importância de ampliação de alternativas terapêuticas no SUS.
519/2020	Foram recebidas 3.384 contribuições, sendo 220 de pacientes. Incerteza quanto ao benefício clínico relevante, resultados imprecisos quanto à relevância clínica dos achados, confiança final na eficácia considerada baixa. Alto impacto orçamentário.
544/2020	Permite ajuste posológico mais preciso em crianças, evita necessidade de partir comprimidos, melhora a adesão e segurança do tratamento, sem aumento de custo para o SUS.
557/2020	Foram recebidas 245 contribuições, sendo 42 técnico-científicas e 203 sobre experiência ou opinião. Benefícios na sobrevida global, sobrevida livre de progressão, taxa de resposta e remissão da doença. Possui apresentação como medicamento genérico, é custo-efetivo e não apresenta impacto orçamentário elevado.
558/2020	Foram recebidas 420 contribuições, sendo 91 técnico-científicas e 329 de experiência ou opinião. Melhora da sobrevida livre de progressão, remissão completa e resposta global. Possui apresentação como medicamento genérico, é custo-efetivo e não apresenta impacto orçamentário elevado.
559/2020	Foram recebidas 204 contribuições, sendo 47 técnico-científicas e 157 de experiência ou opinião. Melhora da sobrevida livre de progressão, remissão completa e taxa de resposta. Possui apresentação como medicamento genérico, é custo-efetivo e não apresenta impacto orçamentário elevado.
561/2020	Foram recebidas 5.601 contribuições, sendo 190 técnico-científicas e 5.411 de experiência ou opinião. Ausência de superioridade clínica em relação ao natalizumabe já incorporado, incertezas sobre o perfil de segurança, custo elevado do medicamento, e ausência de argumentos técnicos robustos nas contribuições da consulta pública.

579/2020	Foram recebidas 12.304 contribuições, sendo 388 técnico-científicas e 11.916 de experiência ou opinião. Incertezas sobre a manutenção do efeito em longo prazo, ausência de critérios de interrupção do medicamento, custo elevado, acarretando uma razão de custo-efetividade extremamente alta, necessidade de um exame de genotipagem específico.
619/2021	Foram recebidas 2.098 contribuições, sendo 243 técnico-científicas e 1.855 de experiência ou opinião. Alta incerteza quanto ao benefício clínico relevante, ausência de evidências robustas de efetividade, custo elevado do tratamento e ausência de argumentos técnicos novos nas contribuições da consulta pública.
633/2021	Foram recebidas 119 contribuições, sendo 25 técnico-científicas e 94 de experiência ou opinião. O medicamento não é custo-efetivo. O custo do tratamento mostrou-se com uma razão de custo-utilidade incremental expressiva, aquém das possibilidades de ser uma tecnologia eficiente para o SUS.
700/2022	Foram recebidas 141 contribuições, sendo a maioria favorável à incorporação. Elevado impacto orçamentário incremental, relação de custo-efetividade da lenalidomida diante da talidomida e ausência de novas evidências técnicas nas contribuições da consulta pública.
701/2022	Foram recebidas 64 contribuições, sendo a maioria favorável à incorporação. Elevado impacto orçamentário incremental, relação de custo-efetividade da lenalidomida diante da talidomida e ausência de novas evidências técnicas nas contribuições da consulta pública.
702/2022	Foram recebidas 168 contribuições, sendo 23 técnico-científicas e 145 de experiência ou opinião. Evidência adicional ainda é necessária para se conhecer o impacto em sobrevida global, a efetividade terapêutica ou desempenho do medicamento em monoterapia. Estimada elevada de impacto orçamentário.
712/2022	Foram recebidas 53 contribuições, sendo 5 técnico-científicas e 48 de experiência ou opinião. Alternativa terapêutica com eficácia e não significativamente diferente da tobramicina, além da possibilidade de se evitar o desenvolvimento de resistência bacteriana.
728/2022	Foram recebidas 1.880 contribuições, sendo 191 técnico-científicas e 1.689 de experiência ou opinião. Fragilidade na evidência científica apresentada, elevado impacto orçamentário e ausência de elementos técnicos novos nas contribuições da consulta pública.
730/2022	Foram recebidas 699 contribuições, sendo 125 técnico-científicas e 574 de experiência ou opinião. Manutenção da recomendação favorável com base na evidência de eficácia clínica nas indicações específicas, maior custo-efetividade e apoio técnico de especialistas e da sociedade civil durante a consulta pública. Necessidade de ampliar opções de tratamento.
747/2022	Foram recebidas 873 contribuições, sendo 262 técnico-científicas e 611 de experiência ou opinião. Alto impacto orçamentário incremental e análise do horizonte tecnológico para esta doença, que aponta um grande número de tecnologias que estão ou estarão disponíveis. Ausência de novos elementos técnicos nas contribuições da consulta pública.

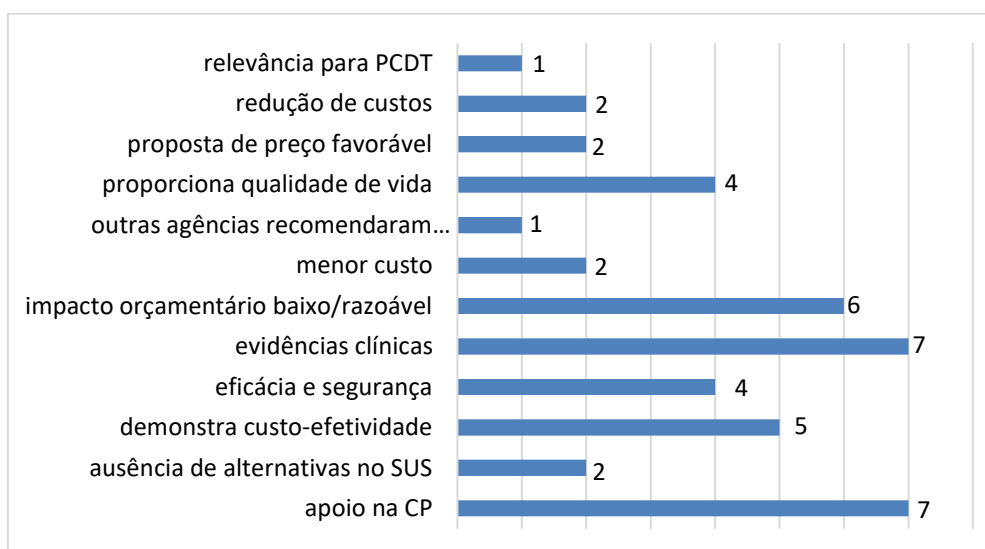
748/2022	Foram recebidas 1.008 contribuições, sendo 347 técnico-científicas e 661 de experiência ou opinião. Incertezas quanto à superioridade frente às terapias já disponíveis (fingolimode e natalizumabe), ausência de evidência de benefício clínico adicional relevante, custo elevado e ausência de argumentos técnicos novos nas contribuições da consulta pública.
753/2022	Foram recebidas 296 contribuições, sendo 151 técnico-científicas e 145 de experiência ou opinião. as evidências não mostram benefício claro, na avaliação econômica há problemas no uso dos pressupostos utilizados e que mesmo potencialmente subestimada, o valor da razão de custo-utilidade incremental é elevado e o impacto orçamentário incremental é expressivo.
768/2022	Foram recebidas 421 contribuições, sendo 152 técnico-científicas e 269 de experiência ou opinião. evidência científica boa e favorável ao carfilzomibe, porém, a RCEI e o impacto orçamentário foram considerados muito altos para o tratamento de uma doença que já tem outras opções terapêuticas disponíveis no SUS.
791/2022	Foram recebidas 121 contribuições, sendo 7 técnico-científicas e 114 de experiência ou opinião. Falta de evidências de efetividade clínica relevantes em desfechos críticos, incertezas metodológicas nos estudos apresentados, elevado impacto orçamentário, e ausência de novos argumentos técnicos nas contribuições da consulta pública.
799/2023	Foram recebidas 524 contribuições, sendo 115 técnico-científicas e 437 de experiência ou opinião. Embora a demanda envolva proposta de tratamento para uma condição clínica rara deve ser considerada a razão de custo-efetividade e o impacto orçamentário da tecnologia.
810/2023	Foram recebidas 2.066 contribuições, sendo 372 técnico-científicas e 1.694 de experiência ou opinião. Considerou-se as limitações e as incertezas das evidências, particularmente no que se refere à proposição do preço pelo demandante, ao parâmetro de falha terapêutica e ao pressuposto de fracionamento das doses. Foi destacada a extrapolação do limiar de custo-efetividade adotado pelo Ministério da Saúde, além de preocupações operacionais relacionadas à organização dos serviços para a sua implementação.
862/2023	Foram recebidas 130 contribuições, sendo 46 técnico-científicas e 84 de experiência ou opinião. Apesar das propostas de alteração da população alvo para viabilizar o impacto orçamentário, a tecnologia permaneceu com alto custo incremental em comparação ao cuidado padrão. A opção sugerida pelo fabricante de excluir os pacientes intolerantes/não responsivos ao danazol diverge da população definida no escopo deste documento. Além disso, na consulta pública houve informação de aumento de preço da tecnologia pela empresa fabricante.
872/2024	Foram recebidas 53 contribuições, sendo 41 técnico-científicas e 12 de experiência ou opinião. Aprovação da incorporação das novas apresentações (100 mg e 1000 mg) com base na ação da tecnologia na modificação do curso da doença, a ampliação do tratamento, a comodidade posológica do medicamento nas apresentações avaliadas e as facilidades de manejo em pacientes pediátricos, houve apoio expressivo na consulta pública.
873/2024	Foram recebidas 18 contribuições, sendo 11 técnico-científicas e 7 de experiência ou opinião. A incorporação foi recomendada com base nos benefícios clínicos e impacto orçamentário favorável.

874/2024	Foram recebidas 9 contribuições, sendo 1 técnico-científica e 8 de experiência ou opinião. Recomendação favorável à incorporação com base no impacto orçamentário que sugere uma economia relacionada à redução de necessidade de transfusões sanguíneas e terapia de quelação de ferro. Necessidade de estabelecer atualização do PCDT.
903/2024	Foram recebidas 15 contribuições. Mesmo com nova proposta comercial, considerou-se a manutenção da elevada razão de custo-efetividade incremental.
913/2024	Foram recebidas 334 contribuições. Escassez de dados sobre eficácia e segurança comparativa dos tratamentos. Inadequado o modelo de custo-minimização e a economia de recursos apresentada.
922/2024	Foram recebidas 973 contribuições. Há evidência de eficácia e perfil de segurança, mas ambas as métricas apresentam incerteza em relação a sua magnitude (tamanho do efeito), dado que há somente um único ensaio clínico e que mostra um largo intervalo de confiança dos resultados. Valor de custo efetividade incompatível com limiar de custo-efetividade recomendado pelas diretrizes atuais.

Fonte: elaborado pela autora (2025)

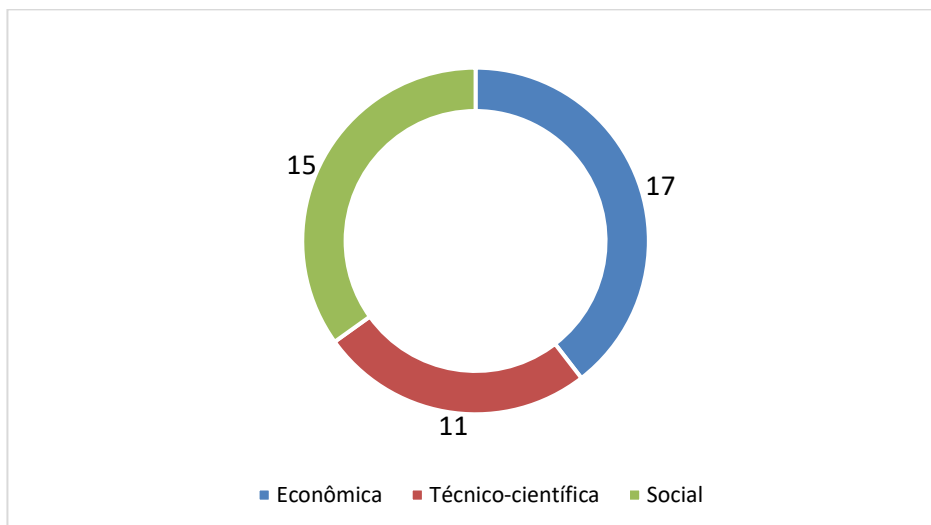
A seguir, o gráfico demonstra os fatores que mais se repetiram nas 17 decisões que mantiveram a recomendação preliminar favorável à incorporação:

Figura 10 – Manutenção do parecer preliminar favorável à incorporação



Fonte: elaborado pela autora (2025)

Quando categorizados em três dimensões: econômica, técnico-científica e social, nota-se que a dimensão econômica é dominante:

Figura 11 – Fatores de manutenção da decisão por dimensão

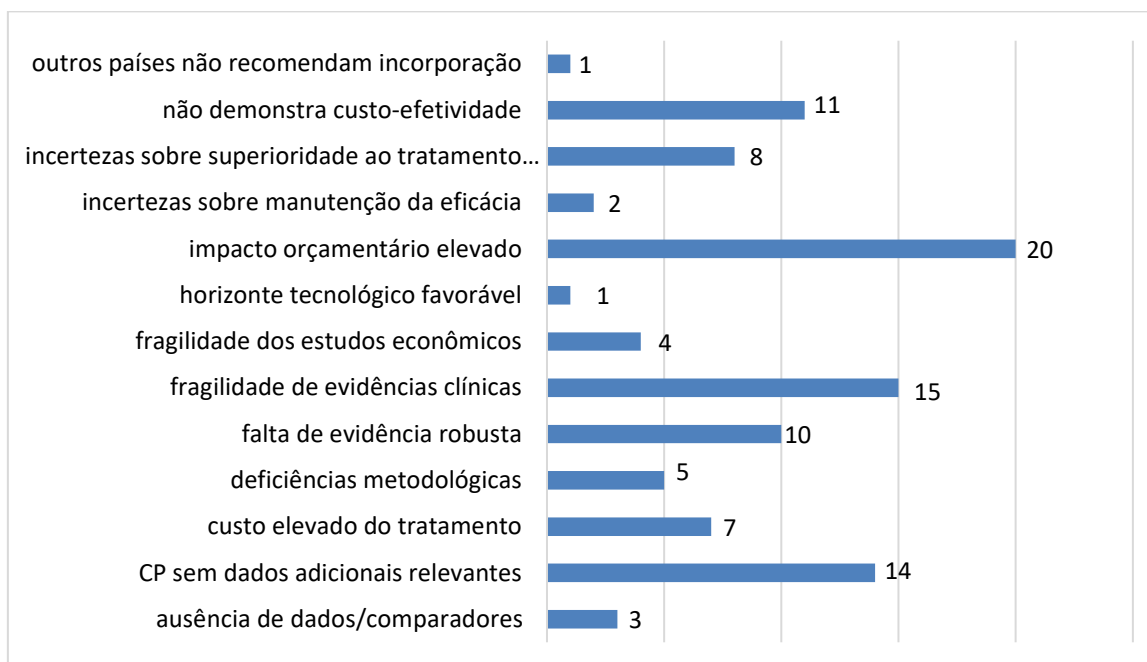
Fonte: elaborado pela autora (2025)

Ao analisar os fatores que motivaram a recomendação de incorporação nas 17 decisões, observa-se que em 11 decisões está presente o fator econômico relacionado ao impacto orçamentário favorável.

Por outro lado, ao analisar as decisões preliminares não favoráveis à incorporação que foram mantidas como decisão final, também é possível observar que os fatores econômicos também foram determinantes, conforme demonstrado na nuvem de palavras e gráfico a seguir:

Figura 12 – Fatores temáticos para manutenção do parecer preliminar

Fonte: elaborado pela autora (2025)

Figura 13 – Fatores para manutenção do parecer preliminar não favorável à incorporação

Fonte: elaborado pela autora (2025)

A análise da frequência dos argumentos utilizados para justificar a manutenção das decisões de não incorporação revelou que o fator mais recorrente foi o impacto orçamentário elevado. Tal prevalência demonstra a relevância que a viabilidade econômica e o controle de gastos públicos assumem nos processos decisórios da CONITEC, sobretudo no contexto de doenças raras, em que os tratamentos tendem a ter valores significativamente superior.

Muito embora 15 processos tenham obtido um volume significativo de contribuições na consulta pública (acima de 500 contribuições), não houve renegociação de preço para reavaliação do impacto orçamentário, como ocorreu em 20 processos que tiveram a decisão preliminar alterada após consulta pública, que serão analisados adiante.

A predominância desse argumento evidencia a preocupação com a sustentabilidade orçamentária do SUS como um dos pilares da decisão. Mesmo em cenários de doenças graves e com baixa prevalência, a incorporação de tecnologias sem garantia de custo-efetividade ou sem definição clara de preço tem sido reiteradamente recusada. Em muitos casos, a ausência de uma proposta formal de preço foi, por si só, suficiente para impedir o avanço da recomendação.

Essa tendência não exclui a importância dos argumentos clínicos, mas mostra que, na ausência de um modelo econômico viável ou de negociações de preço compatíveis com o cenário do SUS, as evidências clínicas perdem força frente às barreiras orçamentárias. Tal configuração reforça a dimensão econômico-política das decisões em saúde, em que os princípios de universalidade e integralidade enfrentam os limites impostos pela alocação racional dos recursos disponíveis.

O predomínio de argumentos econômicos frente aos clínicos, sobretudo em contextos em que não há negociação de preço ou modelo econômico viável, reflete uma tendência observada em diferentes jurisdições de ATS. No NICE (Reino Unido), embora o critério de custo-efetividade seja central, mecanismos institucionais ampliam as oportunidades de revisão: Campbell et al. (2017) identificaram que 74,3% das recomendações em procedimentos intervencionistas foram alteradas após a consulta pública, enquanto Longworth et al. (2013) mostraram que, diante de incertezas clínicas e econômicas, o instituto pode emitir múltiplos ciclos de Documentos de Consulta de Avaliação (Appraisal Consultation Document - ACD) - que corresponde à recomendação preliminar - permitindo negociações com fabricantes e ajustes favoráveis.

Na Alemanha, a experiência do G-BA ilustra como as audiências públicas e o procedimento de comentários podem modificar substancialmente o parecer técnico do IQWiG. Segundo Ruof et al. (2014), em 17 casos analisados, o G-BA deliberou de forma diferente da recomendação do IQWiG, atribuindo peso a evidências ou análises adicionais apresentadas no processo.

Já na Austrália, o impacto das contribuições sociais mostra-se mais restrito. O PBAC mantém desde 2014 um portal de comentários de pacientes e cuidadores (*consumer comments*), mas, como observam Kim et al. (2021), há pouca evidência de que essas contribuições alterem as recomendações finais, o que aproxima esse cenário da realidade da CONITEC, em que as consultas públicas têm papel relevante de legitimação, mas impacto limitado na reversão de pareceres.

Nas doenças raras, o peso relativo dos fatores econômicos tende a ser ainda mais acentuado, em razão da elevada incerteza clínica e do alto custo por paciente. Annemans et al. (2017) ressaltam que os métodos tradicionais de ATS não captam adequadamente essas especificidades e defendem a incorporação de dimensões adicionais de valor, como a gravidade da condição e a ausência de alternativas terapêuticas. De modo convergente,

Cavaller-Bellaubi et al. (2023a) destacam que os medicamentos órfãos desafiam os critérios convencionais de custo-efetividade e exigem processos que articulem viabilidade econômica e valores sociais, sob pena de reforçar desigualdades no acesso.

Apesar desse predomínio de critérios econômicos, experiências como as da CADTH (Canadá) e do ICER (EUA) mostram que a integração estruturada de contribuições de pacientes pode agregar valor qualitativo ao processo. No caso canadense, Berglas et al. (2016) demonstram que o *patient input* (contribuições de pacientes) é incorporado aos relatórios, trazendo informações sobre impacto na vida diária e necessidades não atendidas, ainda que raramente leve à reversão de recomendações. Já o estudo de Gerlach et al. (2020) sobre o ICER revela que, entre 463 comentários analisados em sete relatórios de evidências, 18% foram provenientes de pacientes ou grupos de pacientes, frequentemente apontando lacunas de dados e questionando a adequação metodológica dos modelos. Embora essas contribuições não tenham modificado conclusões centrais, forneceram contexto sobre benefícios e experiências não capturados em ensaios clínicos, ampliando a compreensão dos avaliadores e fortalecendo a legitimidade social do processo.

No conjunto, os achados sugerem que a CONITEC atua de forma consistente com a lógica dominante de outras agências de ATS, em que critérios econômicos e a robustez metodológica das evidências prevalecem sobre demandas sociais quando há conflito entre esses domínios. Entretanto, a literatura internacional aponta que a transparência na consideração das contribuições públicas e a possibilidade de negociação com proponentes são fatores que podem aumentar o potencial de reversão de decisões negativas, sobretudo no campo das doenças raras.

A predominância do argumento econômico evidencia a centralidade da sustentabilidade orçamentária do SUS como um dos pilares da decisão da CONITEC. Mesmo em cenários de doenças graves e com baixa prevalência, a incorporação de tecnologias sem garantia de custo-efetividade ou sem definição clara de preço tem sido reiteradamente recusada.

Em alguns casos, a ausência de um acordo sobre o preço foi, por si só, suficiente para impedir o avanço da recomendação — situação também documentada em outras agências de ATS. No Canadá, análises comparativas mostram que a CADTH e o pCODR (pan-Canadian Oncology Drug Review - processo especializado dedicado à avaliação de

medicamentos para câncer no Canadá) frequentemente condicionam decisões positivas a acordos de preço ou mecanismos de compartilhamento de risco, permitindo que tecnologias inicialmente não custo-efetivas alcancem recomendação favorável; já no Reino Unido, o NICE tende a recusar a incorporação quando não há descontos ou modelos econômicos compatíveis com o limiar aceito, mesmo diante de algum benefício clínico. Essa diferença estrutural entre as duas jurisdições levou a taxas significativamente distintas de recomendação positiva para medicamentos oncológicos — 48% no NICE contra até 95% no processo canadense — e reflete o peso central da negociação de preço na superação de barreiras econômicas (CHABOT, 2014; BERGLAS et al., 2016; GAGNON, 2011; LONGWORTH et al., 2013). Tais evidências corroboram que, em contextos de alto custo e incerteza, a presença de mecanismos institucionais para viabilizar acordos econômicos pode alterar substancialmente o desfecho das decisões, aspecto ainda pouco explorado no cenário da CONITEC.

No caso britânico, destaca-se ainda o papel dos *patient access schemes* (acordos de acesso do paciente) e dos descontos confidenciais como ferramentas para viabilizar recomendações favoráveis em contextos de alto custo (ANNEMANS, 2017; JOMMI, 2021b).

Embora os critérios econômicos se destaquem, a literatura mostra que outros elementos, como incertezas clínicas e evidências insuficientes, frequentemente reforçam a decisão negativa. No NICE, por exemplo, análises de casos revelam que a imaturidade dos dados de sobrevida a longo prazo e a baixa robustez metodológica nos ensaios clínicos foram motivos recorrentes de não incorporação, mesmo na presença de benefício clínico de magnitude incerta (CAMPBELL et al., 2016; ALLEN, 2017). Essa associação entre preço elevado e incerteza clínica também é observada em outras jurisdições, como nos processos do IQWiG e do G-BA, na Alemanha, e do PBAC, na Austrália, configurando um padrão internacional (ROLLET, 2013; DIMITROVA, 2022; KANEYASU et al., 2025).

Essa tendência não elimina a importância dos argumentos clínicos, mas demonstra que, na ausência de um modelo econômico viável ou de negociações de preço compatíveis com o orçamento do SUS, as evidências clínicas tendem a perder força frente às barreiras orçamentárias. Isso reforça a dimensão econômico-política das decisões em saúde, nas quais os princípios de universalidade e integralidade enfrentam os limites impostos pela

alocação racional de recursos. Nesse sentido, Teerawattananon et al. (2021) identificam, em pesquisa global, que os principais entraves ao uso da ATS incluem falta de dados, limitações de capacidade técnica e a percepção de que a avaliação coloca um “preço na vida”, o que revela como fatores políticos e culturais podem restringir a adoção de tecnologias mesmo quando há evidências clínicas. De modo convergente, Cavaller-Bellaubi et al. (2023a) e Foltanova (2022) destacam que, no campo das doenças raras, a incerteza clínica e os custos elevados intensificam a centralidade dos critérios econômicos, pressionando sistemas de saúde a negociar soluções que equilibrem sustentabilidade e equidade.

A conjunção entre custo-efetividade desfavorável e incerteza clínica constitui, assim, o núcleo argumentativo mais recorrente para a manutenção de decisões negativas em diferentes jurisdições. Annemans et al. (2017) assinalam que os métodos convencionais de avaliação raramente conseguem refletir as especificidades das doenças raras, demandando critérios expandidos que incorporem gravidade, raridade e impacto na qualidade de vida. Na mesma direção, Dupont e Van Wilder (2010) demonstram que, na Europa, a fragilidade da evidência clínica frequentemente limita o acesso a medicamentos órfãos, mesmo quando a necessidade social é clara. Já Gutierrez et al. (2015) reforçam que o financiamento sustentável desses fármacos na Europa exige modelos de avaliação que superem a lógica exclusiva da custo-efetividade, reconhecendo múltiplos critérios de valor. Esses achados apontam que, no Brasil, a CONITEC enfrenta dilema semelhante: a tensão entre sustentabilidade econômica e equidade no acesso a terapias para doenças raras.

Tamachiro *et al.* (2022) analisaram 514 solicitações de incorporação de medicamentos submetidas à CONITEC entre 2012 e 2020, com o objetivo de discutir em que medida a atuação da indústria farmacêutica interfere na sustentabilidade do SUS. O estudo mostrou que a indústria foi responsável por uma parcela expressiva das demandas, especialmente de medicamentos de alto custo, e que suas solicitações apresentaram maior taxa de indeferimento em comparação a outros demandantes. Para os autores, esse cenário revela uma pressão estrutural da indústria nos processos decisórios, que tensiona os critérios técnico-científicos da comissão e expõe os desafios de equilibrar inovação terapêutica com justiça distributiva e sustentabilidade orçamentária no sistema público de saúde.

5.4.2 DECISÕES PRELIMINARES ALTERADAS APÓS CONSULTA PÚBLICA

A tabela a seguir apresenta os processos em que a decisão preliminar de não incorporação foi alterada para parecer favorável à incorporação, após a análise das contribuições recebidas nas consultas públicas:

Tabela 5 – Decisões preliminares alteradas

Relatório	Resumo - Fatores	Argumentos principais
217/2016	Perspectiva de que não surgirão evidências melhores do que as atuais e de que o medicamento já está incorporado à prática clínica.	A Consulta Pública recebeu 235 contribuições, sendo 12 técnico-científicas e 223 de experiência ou opinião. Não há evidências relevantes, porém não há perspectiva de evidências melhores do que as atuais. O medicamento já está incorporado na prática clínica por melhorar a função pulmonar nesse grupo de pacientes.
257/2017	Apresentação de genérico com economia comparativa e orçamentária ao SUS, e melhora da adesão relatada por pacientes	A consulta pública recebeu 134 contribuições técnico-científicas e 636 de experiência/opinião, destacando benefícios clínicos em pacientes com falha terapêutica às drogas injetáveis. Além disso, considerou-se a disponibilidade de um medicamento genérico e análises reforçando economia comparativa frente ao natalizumabe, com estimativa de economia orçamentária no SUS. A mobilização social e o argumento de escalonamento terapêutico mais efetivo foram decisivos.
259/2017	Nova análise demonstrou não inferioridade e proposta de preço compatível com comparadores	A consulta pública recebeu 56 contribuições técnico-científicas e 807 de experiência/opinião, reforçando a não inferioridade clínica frente às betainterferonas e ao glatirâmer. Além disso, houve nova proposta de preço compatível com comparadores do SUS. Experiências internacionais (NICE, PBAC, CADTH) também influenciaram, já que várias agências haviam incorporado mediante negociação de preço ou risco compartilhado. Esses elementos levaram à mudança de posição da CONITEC.
286/2017	Revisão dos dados clínicos e nova proposta de preço mais competitiva	A consulta pública recebeu 1.813 contribuições (361 técnico-científicas e 1.452 de experiência/opinião). As manifestações reforçaram evidências adicionais de efetividade e segurança, além de uma nova proposta de preço equivalente ao fingolimode. Foi demonstrado potencial de economia ao SUS em análises de impacto orçamentário. A forte mobilização social e a renegociação de preço foram decisivas para a incorporação.

402/2018	Consulta e audiência mostraram gravidade e falta de alternativas. Revisão dos dados clínicos e negociação de preço	Forte mobilização na consulta pública. Recebidas 919 contribuições, sendo 63 técnico-científicas e 856 sobre experiência/opinião, com maioria absoluta contrária à decisão preliminar. Argumentos sobre risco de desfechos graves sem tratamento durante gestação e necessidade de alternativas para pacientes responsivos. Houve também negociação de preço. O plenário deliberou pela incorporação condicionada ao PCDT.
404/2018	Demonstração de redução de transfusões e proposta econômica compatível	Foram recebidas 661 contribuições, sendo 97 técnico-científicas e 564 sobre experiência/opinião. Revisão de evidências indicou benefício clínico relevante (aumento de plaquetas, redução de sangramentos) em pacientes refratários. A consulta pública trouxe contribuições majoritariamente contrárias à não incorporação. Considerou-se ainda experiência internacional e impacto orçamentário aceitável frente ao perfil de gravidade da doença.
411/2018	Gravidade da MPS IVA, ausência de alternativas justificaram a incorporação e nova proposta de preço com redução de 25%.	Foram recebidas 1.331 contribuições, sendo 114 técnico-científicas e 1.217 sobre experiência/opinião. Apesar de evidências frágeis e custo-efetividade desfavorável, a decisão foi revertida após forte pressão de pacientes e associações na consulta pública e após nova proposta de preço, representando 25% de redução. A gravidade da doença, ausência de alternativas terapêuticas no SUS e alinhamento com experiências internacionais (com restrições) pesaram na decisão final.
412/2018	Manifestações familiares reforçaram necessidade de acesso à única opção disponível e nova proposta de preço com redução de 25%.	Foram recebidas 128 contribuições técnico-científicas e 1.138 sobre experiência/opinião (somatório incorreto no relatório). Evidências clínicas frágeis, mas consulta pública e mobilização social destacaram ausência de opções no SUS e necessidade de acesso. Nova proposta de preço com redução de 25%. Considerou-se também experiências internacionais e o alto impacto da doença, o que levou à incorporação excepcional, mesmo diante de custo elevado e incerteza de efetividade.
413/2018	Mobilização social contrária à decisão preliminar, ausência de alternativas. Negociação para redução do preço.	Foram recebidas 2.510 contribuições, sendo 375 técnico-científicas e 2.135 sobre experiência/opinião, com 95% contrárias à decisão preliminar. Ausência de alternativas terapêuticas e impacto clínico relevante. Embora o custo fosse considerado muito alto, a CONITEC deliberou pela incorporação excepcional em razão da magnitude social e clínica da demanda e da mobilização dos paciente. Condição à negociação para redução de preço.
418/2018	Nova proposta de preço e reinterpretção das evidências clínicas	Foram recebidas 697 contribuições, sendo 19 técnico-científicas e 678 sobre experiência/opinião. A consulta pública trouxe ampla discordância da decisão preliminar, destacando eficácia já consolidada em comparadores e conveniência posológica (menor frequência de aplicação). Houve também proposta de preço compatível com alternativas já disponíveis no SUS, favorecendo custo-efetividade.

448/2019	Relatos de efetividade e mobilização social na consulta pública	Foram recebidas 746 contribuições, sendo 10 técnico-científicas e 736 sobre experiência/opinião. Apesar de evidências clínicas limitadas, a gravidade da doença, ausência de alternativas terapêuticas e forte mobilização social na consulta pública levaram à mudança. Considerou-se a relevância de oferecer suporte nutricional essencial aos pacientes.
609/2021	Demonstração de benefício em subgrupos e nova proposta de preço	Foram recebidas 379 contribuições, sendo 70 técnico-científicas e 309 sobre experiência/opinião. Contribuições da consulta pública reforçaram eficácia comparável ao natalizumabe, com ganhos em posologia e perfil de uso. Houve também nova proposta de preço e análise de impacto orçamentário mostrando viabilidade. A mobilização de pacientes e médicos especialistas pesou na decisão.
642/2021	Primeira alternativa oral da via da prostaciclina com adesão superior e nova proposta de preço	Foram recebidas 359 contribuições, sendo 72 técnico-científicas e 287 sobre experiência/opinião. Consulta pública trouxe manifestações sobre necessidade terapêutica em pacientes refratários. Embora o custo fosse elevado, houve negociação de preço e revisão de custo-efetividade, aliadas à gravidade da condição e comodidade posológica, que levaram à incorporação.
706/2022	Manifestações destacaram gravidade, ausência de opções, nova proposta de preço com desconto relevante	Na Consulta Pública foram recebidas 2.303 contribuições, sendo 446 técnico-científicas e 1.857 sobre experiência/opinião. Houve audiência pública. Consulta pública e audiência pública destacaram a gravidade da doença ultrarrara e a inexistência de alternativas. Uma nova proposta de preço com desconto relevante foi apresentada, alterando a avaliação de custo-efetividade. O fator decisivo foi a pressão social somada à negociação econômica.
844/2023	Mobilização social, eficácia robusta e nova proposta de preço	Foram recebidas 3.140 contribuições, sendo 201 técnico-científicas e 2.928 sobre experiência/opinião (após retirada de duplicatas). O expressivo volume de contribuições de pacientes e associações ressaltou benefícios clínicos robustos (função pulmonar, qualidade de vida). Houve também proposta de desconto no preço, tornando a incorporação viável. A decisão final alinhou-se a diretrizes internacionais e reconheceu a relevância social e clínica da tecnologia.
855/2023	Via oral em pulsos, eficácia em alta atividade e nova proposta de preço com custo-minimização	Foram recebidas 3.226 contribuições, sendo 568 técnico-científicas e 2.658 sobre experiência/opinião. Apesar das incertezas clínicas na comparação indireta com natalizumabe, a tecnologia mostrou-se alternativa terapêutica viável com posologia mais conveniente (oral, ciclos curtos). A consulta pública reuniu forte mobilização de pacientes, destacando riscos do natalizumabe (LEMP) e ganhos de qualidade de vida com a cladribina. Houve também proposta de preço com desconto significativo, e referências a experiências internacionais de incorporação (NICE, Canadá, Austrália) reforçaram a decisão.

860/2023	Eficácia clínica, uso hospitalar emergencial e adequação econômica com nova proposta de preço com desconto	Foram recebidas 338 contribuições, sendo 52 técnico-científicas e 286 sobre experiência/opinião. Evidências clínicas mostraram eficácia na redução do tempo de melhora e menor risco de complicações em crises graves de angioedema hereditário. A consulta pública trouxe contribuições técnico-científicas e experiências de pacientes enfatizando risco de morte por asfixia sem tratamento adequado. Nova proposta de preço com desconto. Embora o impacto orçamentário fosse relevante, considerou-se a gravidade da condição rara e a inexistência de alternativas equivalentes no SUS.
861/2023	Administração subcutânea domiciliar e eficácia reconhecida internacionalmente, com nova proposta de preço	Foram recebidas 315 contribuições, sendo 28 técnico-científicas e 287 sobre experiência/opinião. Tecnologia subcutânea, de fácil administração domiciliar, considerada complementar ao C1-INH IV. A consulta pública destacou experiências de pacientes e médicos sobre a rapidez no alívio das crises e a maior autonomia do paciente. O preço foi renegociado em relação à avaliação de 2015, melhorando a relação de custo-utilidade. A decisão final incorporou o medicamento como opção adicional no PCDT de angioedema hereditário.
864/2024	Eficácia em refratários, segurança e proposta de preço mais acessível, com redução do custo do tratamento	Foram recebidas 1.235 contribuições, sendo 505 técnico-científicas e 730 sobre experiência/opinião. Apesar da incerteza em comparações com outros biológicos, o fármaco mostrou eficácia superior ao placebo, eficácia em pacientes refratários e perfil de segurança aceitável. A consulta pública trouxe forte mobilização de pacientes e médicos especialistas, destacando falta de opções após falha de anti-TNFs. Houve negociação de preço (incluindo proposta de fornecimento sem custo da fase de indução), o que melhorou a análise econômica e viabilizou a incorporação.
875/2024	Mesma eficácia do eculizumabe com menos aplicações e custo equivalente, após nova proposta de preço	Foram recebidas 488 contribuições, sendo 171 técnico-científicas e 317 sobre experiência/opinião. O medicamento demonstrou eficácia comparável ao eculizumabe, com vantagens em posologia (intervalo de infusão mais longo). Na consulta pública, pacientes e associações enfatizaram benefícios clínicos e de adesão. O fator decisivo foi a nova proposta de preço na CP, que alterou a análise de custo-minimização e reduziu impacto orçamentário em relação ao cenário atual com eculizumabe.
888/2024	Exame de fácil acesso, menos invasivo e custo-efetivo	Foram recebidas 266 contribuições, sendo 161 técnico-científicas e 105 sobre experiência/opinião. A consulta pública destacou relevância da calprotectina como biomarcador não invasivo, reduzindo necessidade de colonoscopias frequentes. Evidências mostraram boa correlação com atividade inflamatória intestinal. Considerou-se também viabilidade de implementação e impacto orçamentário manejável. O processo foi marcado pela forte defesa de especialistas e pacientes.

904/2024	Eficaz em refratários, melhora da qualidade de vida e competitividade com alternativas do SUS, após nova proposta de preço	Foram recebidas 75 contribuições (especificação da categoria ausente). Consulta pública reuniu pacientes e médicos que relataram falha de resposta a análogos de somatostatina de 1ª geração. As contribuições ressaltaram melhora clínica em casos refratários. Nova proposta comercial da empresa e evidências adicionais de custo-efetividade favoreceram a decisão final.
----------	--	---

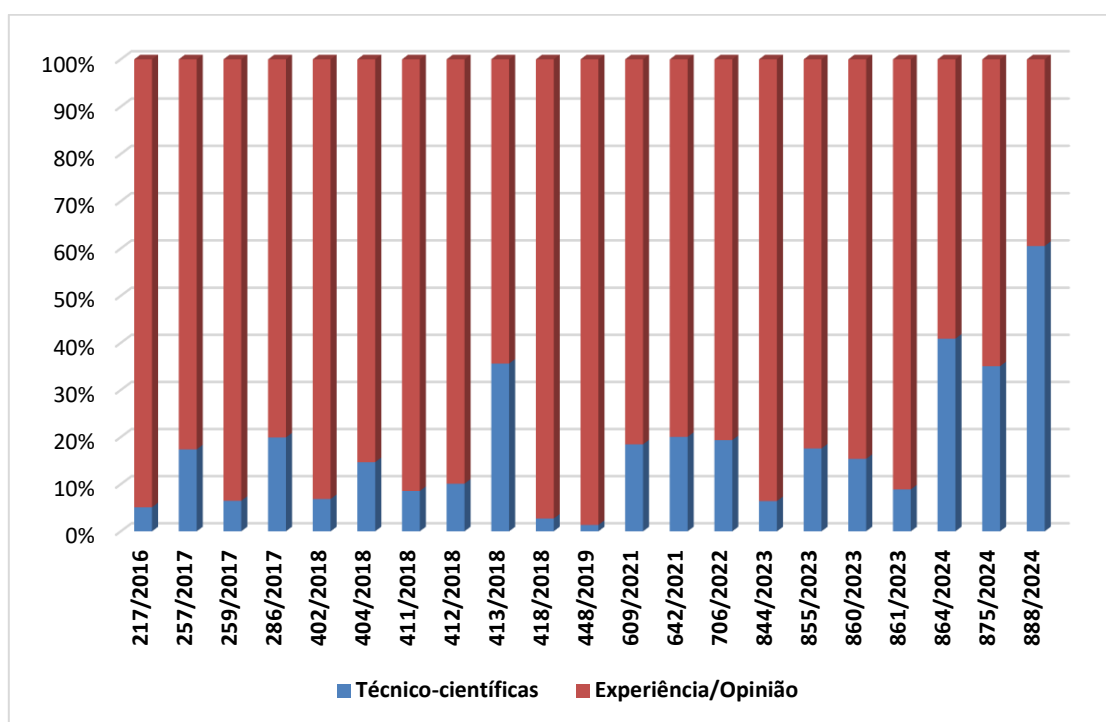
Fonte: elaborado pela autora (2025)

Os dados demonstram que 20 relatórios apresentaram fatores econômicos para a mudança de parecer. Em todos os casos, a renegociação de preço ou adequação orçamentária foi decisiva para a incorporação.

Esses dados também demonstram que, ainda que majoritariamente as decisões finais estejam fundamentadas em fatores econômicos, há casos significativos em que as contribuições da sociedade influenciaram diretamente a decisão final da CONITEC, especialmente quando articuladas a evidências clínicas adicionais, argumentos econômicos e manifestações organizadas por associações de pacientes ou profissionais de saúde, demonstrando forte mobilização social.

Os gráficos abaixo demonstram o perfil das contribuições - excluído o relatório 904/2024 por não conter a especificação das categorias - em que fica evidente o grande volume de contribuições sobre experiência ou opinião, que é a categoria composta por pacientes, familiares, cuidadores e interessados no tema.

Figura 14 – Perfil das Contribuições por relatório com decisão final alterada



Fonte: elaborado pela autora (2025)

Figura 15 – Contribuições por categoria



Fonte: elaborado pela autora (2025)

Nos processos analisados, a mudança de parecer da CONITEC esteve frequentemente associada à incorporação de contribuições provenientes da participação

social estruturada, sobretudo nas consultas públicas e nas contribuições que trazem a perspectiva do paciente. Em diversos casos, a apresentação de novos dados clínicos, relatos de uso em vida real e informações adicionais sobre impacto orçamentário demonstraram como esses instrumentos podem alterar a forma de enquadrar o problema e sustentar uma decisão favorável à incorporação. Esse padrão encontra paralelo na experiência do NICE, onde o processo de avaliação de tecnologia única (single technology appraisal) prevê etapas formais de consulta pública — por meio de documentos preliminares e finais — e a participação de pacientes especialistas e representantes leigos nos comitês. Esse arranjo permite que suas contribuições influenciem diretamente o debate sobre gravidade da condição, relevância social e custo-efetividade das tecnologias avaliadas (NICE, 2022; Hale, 2023).

Na Austrália, o PBAC mantém mecanismos de participação social, como os *consumer comments* (comentários de pacientes e cuidadores) e o *Life Saving Drugs Program* (Programa de Medicamentos que Salvam Vidas), que possibilitam a manifestação de pacientes e cuidadores. Relatório recente do Department of Health and Aged Care indica que, ainda que essas contribuições nem sempre resultem na reversão de pareceres, elas são consideradas na formulação de acordos de acesso gerenciado e em negociações específicas de preço e fornecimento, compondo assim o processo deliberativo do comitê (Department of Health and Aged Care, 2024).

No contexto europeu, a EUnetHTA 21 e a implementação da nova regulação europeia de Avaliação de Tecnologias em Saúde (HTAR) marcam um avanço em direção à harmonização dos processos. Conforme analisam Urbina et al. (2024), essa transição institucionalizou a produção das Avaliações Clínicas Conjuntas (*Joint Clinical Assessments* - JCAs) e desenvolveu diretrizes metodológicas específicas para o envolvimento de pacientes e profissionais de saúde como *stakeholders* (atores sociais). Esse arranjo reflete uma tendência de ampliar a transparência e o peso da participação social nos processos de ATS, especialmente em doenças raras, reduzindo assimetrias e reforçando a legitimidade das decisões.

Esses arranjos institucionais revelam como diferentes sistemas de ATS têm buscado ampliar a legitimidade de suas decisões, abrindo espaço para a voz de pacientes, cuidadores e outros atores sociais. Sob a ótica da bioética, a incorporação das contribuições sociais nos processos de ATS transcende a dimensão técnica e assume

caráter normativo. A bioética da proteção (SCHRAMM, 2000) lembra que sujeitos em maior vulnerabilidade, como pacientes com doenças raras, demandam atenção diferenciada do Estado, não podendo ser invisibilizados em nome da racionalidade econômica. Garrafa e Porto (2002) reforçam, pela bioética de intervenção, que a neutralidade técnica é insuficiente diante de desigualdades estruturais, impondo a adoção de mecanismos ativos de inclusão. Nessa mesma direção, Hossne (2006) defende que os princípios bioéticos devem ser entendidos como referenciais flexíveis, capazes de dialogar com contextos concretos e necessidades sociais. A solidariedade (BASTOS et al., 2021), por sua vez, emerge como categoria central, implicando o compartilhamento coletivo dos custos da raridade e evitando que o ônus recaia apenas sobre pacientes e famílias. Finalmente, Almeida (2010) propõe compreender a vulnerabilidade como princípio ético universal, vinculando-a à obrigação de cuidado e à promoção de justiça sanitária. Assim, a abertura dos processos decisórios à participação social não se limita a fortalecer a legitimidade democrática, mas constitui um dever ético de proteção e equidade, especialmente em cenários de maior fragilidade.

Complementarmente, é preciso reconhecer que, sob a ótica da bioética, esses arranjos institucionais não podem ser compreendidos apenas como mecanismos procedimentais de consulta, mas como expressões de justiça, equidade e proteção diante das vulnerabilidades que marcam as doenças raras. A bioética da proteção impõe garantir que pacientes em situação de fragilidade tenham sua voz efetivamente considerada no processo deliberativo (CAMPELLO et al., 2018). Essa perspectiva se articula à proposta de Costa e Lionço (2006), para quem a cidadania em saúde só se efetiva quando acompanhada de condições reais de participação e equidade, superando desigualdades estruturais que limitam a autonomia. Como lembra Pessini (2005), a bioética precisa transcender o enfoque biomédico e responder aos dilemas sociais contemporâneos, como a tensão entre custo e dignidade no cuidado de doenças raras. Santos, Bruna (2020) acrescenta que a equidade é princípio central, exigindo que os desiguais sejam tratados de modo diferenciado, enquanto Ventura et al. (2015) alertam que arranjos que flexibilizam a universalidade da saúde ampliam desigualdades e comprometem a justiça sanitária. Desse modo, abrir espaço para a participação social nos processos de ATS não é apenas uma estratégia de legitimidade democrática, mas um imperativo ético orientado pelos princípios de proteção, equidade e solidariedade.

Embora a análise de custo-efetividade seja um instrumento central nos processos de avaliação de tecnologias em saúde, ela não é suficiente para capturar toda a complexidade associada às doenças raras. Evidências recentes mostram que o impacto dessas condições ultrapassa o indivíduo afetado, atingindo intensamente familiares e cuidadores, que enfrentam sobrecarga psicossocial, redução da qualidade de vida e prejuízos em vínculos sociais e ocupacionais (Atkins; Padgett, 2024). Nesse sentido, limitar-se a critérios econômicos desconsidera dimensões de equidade fundamentais, sobretudo quando se trata de populações em situação de vulnerabilidade, que necessitam de suporte ampliado e reconhecimento institucional. Assim, torna-se necessário que instâncias como a CONITEC incorporem abordagens mais abrangentes, integrando instrumentos de equidade que contemplem não apenas a relação custo-benefício, mas também os efeitos psicossociais e sociais das tecnologias em saúde para pessoas com doenças raras e suas famílias.

Embora a análise dos 75 relatórios evidencie quais fatores motivaram a manutenção ou alteração das decisões preliminares, foi igualmente necessário examinar em que medida as vulnerabilidades dos pacientes com doenças raras foram mobilizadas como elementos relevantes no processo decisório. Os resultados mostram que tais vulnerabilidades — físicas, funcionais, psicossociais, econômicas e de acesso — emergem com frequência nas contribuições das consultas públicas e são reconhecidas pela CONITEC como parte do contexto da doença. Contudo, sua influência sobre a mudança de posição institucional é indireta e condicionada: elas ganham peso sobretudo quando articuladas a dois outros elementos decisivos, (i) novas evidências clínicas que reduzam a incerteza e (ii) propostas econômicas ou renegociações de preço que tornem a tecnologia viável para o sistema. Dessa forma, a vulnerabilidade não opera como critério autônomo de decisão; ela atua como amplificadora de relevância social e como justificativa moral complementar, mas sua capacidade de mudar recomendações depende de convergência com elementos técnico-econômicos. Nos casos em que esses dois últimos fatores não se apresentaram de forma robusta, as vulnerabilidades foram reconhecidas, porém não foram suficientes para alterar o sentido do julgamento.

5.5 FONTES E CONTEÚDO DAS CONTRIBUIÇÕES QUE INFLUENCIARAM A MUDANÇA DE DECISÃO

A análise qualitativa das contribuições apresentadas nas consultas públicas dos processos que tiveram mudança de decisão preliminar para incorporação evidenciou a relevância de fontes múltiplas e argumentos diversos. Os dados extraídos indicam que as contribuições partiram de diferentes perfis de participantes, como pacientes e familiares, profissionais de saúde, sociedades médicas e representantes da indústria farmacêutica, compondo um mosaico de argumentos técnicos, econômicos e sociais.

No caso do relatório 257/2017, referente ao Fingolimode para esclerose múltipla remitente-recorrente (EMRR), as contribuições foram decisivas para a revisão do parecer inicial. As manifestações enfatizaram a necessidade de revisão do PCDT, a existência de medicamento genérico registrado na Anvisa com menor custo e o apelo à modernização da linha de cuidado da EMRR. As fontes dessas contribuições incluíram profissionais de saúde, sociedades médicas e familiares de pacientes, evidenciando uma pressão social qualificada, embasada tanto na experiência do cuidado quanto em argumentos técnico-científicos.

A diversidade das fontes e a consistência dos argumentos — especialmente aqueles que traziam propostas econômicas viáveis, reinterpretação das evidências clínicas, apelos por equidade e adequação terapêutica — foram elementos comuns nos processos em que houve reversão da recomendação. Essa constatação reforça o papel das consultas públicas como instrumento de escuta ativa e deliberação ampliada, que, embora não altere o caráter técnico da análise, pode qualificar o processo decisório, especialmente quando há fragilidade de evidências ou controvérsia científica.

Tabela 6 – Contribuições por relatório e fonte

Relatório	Contribuição	Fonte da contribuição
257/2017	Revisar urgentemente o PCDT de EMRR para adequar à realidade clínica atual, atualizando a posição das drogas de acordo com os perfis de segurança, eficácia e custo-efetividade.	Profissionais de saúde

257/2017	A proposta de que o fingolimode seja posicionado como segunda linha é incoerente com a prática clínica e com os posicionamentos internacionais. A sua eficácia e segurança o colocam como opção de primeira linha em muitos países. A manutenção do interferon e do acetato de glatirâmer como opções preferenciais não corresponde às evidências científicas mais recentes.	Sociedades médicas
257/2017	Há necessidade de modernização da linha de cuidado da EMRR no SUS, incorporando medicamentos orais e com melhor adesão.	Pacientes e familiares
257/2017	Já existe medicamento genérico registrado na ANVISA, o que pode reduzir o custo do tratamento no SUS e viabilizar sua incorporação.	Profissionais e representantes da sociedade
259/2017	A teriflunomida tem eficácia semelhante aos medicamentos já disponíveis no SUS, como interferons e glatirâmer, com a vantagem da administração oral.	Profissional de saúde
259/2017	Existem estudos demonstrando a não inferioridade da teriflunomida em relação aos imunomoduladores injetáveis. Além disso, a conveniência da posologia pode melhorar a adesão.	Sociedade médica
259/2017	Com o preço proposto mais compatível com os medicamentos já disponíveis, como a betainterferona, o custo-benefício se torna mais favorável.	Representante da indústria ou sociedade organizada
286/2017	Os estudos clínicos mais recentes demonstram que o fumarato de dimetila é eficaz na redução da taxa de surtos e na progressão da incapacidade, com perfil de segurança aceitável.	Profissional de saúde
286/2017	Considerando as novas análises de custo-efetividade e a eficácia comparável a medicamentos injetáveis já ofertados no SUS, a incorporação do fumarato de dimetila é vantajosa.	Entidade técnica ou avaliador
286/2017	A introdução de tratamento oral como o fumarato pode melhorar significativamente a adesão ao tratamento, reduzindo custos indiretos ao SUS.	Paciente ou cuidador
402/2018	A sapropterina representa a única possibilidade terapêutica específica para pacientes com deficiência de BH4, condição rara e altamente limitante.	Profissional de saúde

402/2018	Diversos estudos demonstram a eficácia da sapropterina em melhorar o controle da fenilalanina em pacientes respondedores, reduzindo a carga dietética.	Sociedade médica ou associação de pacientes
402/2018	O impacto orçamentário estimado é aceitável quando se considera o número restrito de pacientes e os benefícios clínicos relevantes.	Gestor ou avaliador técnico
404/2018	O impacto orçamentário foi superestimado na avaliação inicial. A revisão com dados atualizados reduz significativamente o custo incremental.	Profissional de saúde ou entidade consultora
404/2018	Pacientes refratários às demais opções terapêuticas têm no eltrombopague a única alternativa para evitar esplenectomia, com qualidade de vida significativamente melhor.	Associação de pacientes
404/2018	A manifestação da comunidade científica e dos pacientes foi amplamente favorável à incorporação do medicamento, destacando sua efetividade em casos refratários.	Sociedade médica ou entidade representativa
405/2018	O romiplostim representa uma opção terapêutica importante para pacientes com púrpura trombocitopênica imune crônica refratária, especialmente aqueles que não respondem ou não toleram tratamentos convencionais.	Profissional de saúde
405/2018	A incorporação no SUS reduzirá a necessidade de esplenectomia, melhorando a qualidade de vida e diminuindo riscos associados ao procedimento cirúrgico.	Sociedade médica/científica
405/2018	Pacientes relatam impacto positivo no controle da doença, com menos sangramentos e hospitalizações, reforçando a relevância do acesso ao medicamento.	Paciente/associação de pacientes
411/2018	A alfaelossulfase é a única alternativa terapêutica específica para MPS IVA e pode melhorar significativamente a capacidade funcional e qualidade de vida dos pacientes.	Profissional de saúde
411/2018	A ausência de tratamento específico condena os pacientes à progressão inexorável da doença, com grave comprometimento físico e social. O acesso ao medicamento deve ser garantido.	Associação de pacientes

411/2018	O modelo de compartilhamento de risco é viável e foi adotado em outros países para doenças raras, possibilitando acesso com controle de custos.	Técnico ou gestor público
411/2018	A decisão anterior desconsidera o princípio da equidade no SUS, pois os pacientes com MPS IVA não dispõem de outra opção terapêutica eficaz.	Defensor público ou entidade da sociedade civil
412/2018	A galsulfase é a única alternativa terapêutica específica para pacientes com MPS VI, e tem mostrado benefícios funcionais importantes em pacientes tratados precocemente.	Profissional de saúde
412/2018	Apesar de rara, a MPS VI é altamente incapacitante. O acesso ao tratamento é fundamental para promover qualidade de vida e reduzir hospitalizações.	Associação de pacientes ou familiares
412/2018	A proposta de realizar reavaliações periódicas para continuidade do tratamento garante o uso racional da tecnologia, evitando desperdício e otimizando os resultados clínicos.	Gestor ou avaliador técnico
412/2018	Negar a incorporação de uma tecnologia com benefício comprovado para uma população tão restrita contraria o princípio da equidade e do cuidado integral no SUS.	Defensor público ou entidade de controle social
413/2018	O eculizumabe reduz a hemólise intravascular, melhora a sobrevida e diminui eventos trombóticos, sendo considerado tratamento transformador na HPN.	Profissional de saúde
413/2018	A incorporação permitirá acesso a tratamento único disponível, fundamental para pacientes graves que hoje não têm alternativa terapêutica eficaz.	Paciente/associação de pacientes
413/2018	Apesar do alto custo, é possível estabelecer protocolos de uso restrito e negociações de preço que tornem a incorporação viável ao SUS.	Técnico/gestor de saúde
418/2018	O acetato de glatirâmer é amplamente utilizado em outros países e apresenta eficácia semelhante à betainterferona, com perfil de segurança favorável.	Profissional de saúde
418/2018	A nova proposta de preço torna o medicamento competitivo em relação às tecnologias já disponíveis no SUS, sendo uma alternativa custo-efetiva.	Representante da indústria ou entidade técnica

418/2018	A maior oferta de opções terapêuticas com eficácia comprovada é fundamental para garantir a adesão e o sucesso do tratamento da esclerose múltipla.	Paciente ou familiar
418/2018	A incorporação do acetato de glatirâmer atende à equidade e amplia o arsenal terapêutico no SUS, com impacto orçamentário controlado.	Gestor ou técnico em saúde pública
448/2019	A fórmula isenta de metionina é essencial para o tratamento da homocistinúria. Sem ela, é impossível manter o controle metabólico adequado.	Profissional de saúde
448/2019	A FMIM é insubstituível para crianças com homocistinúria. É um insumo vital, e não uma escolha terapêutica opcional.	Familiars de pacientes
448/2019	A proposta de preço apresentada pela empresa torna viável a incorporação, especialmente considerando o número pequeno de pacientes e o impacto orçamentário limitado.	Gestor ou avaliador econômico
448/2019	A participação social nesta consulta foi maciça e demonstrou claramente o apoio à incorporação da FMIM, com argumentos técnicos e humanos muito sólidos.	Associação de pacientes ou entidade da sociedade civil
490/2019	A vacinação é medida preventiva essencial para reduzir risco de doença meningocócica em pacientes imunocomprometidos pelo uso do eculizumabe.	Profissional de saúde
490/2019	Pacientes e familiares destacam a insegurança diante do risco aumentado de meningite e defendem que a vacinação pelo SUS é fundamental para reduzir desigualdades de acesso.	Paciente/associação de pacientes
490/2019	O fabricante reforça a importância da vacinação contra sorogrupo B, argumentando que sua exclusão comprometeria a proteção integral dessa população.	Indústria farmacêutica
609/2021	O alentuzumabe é uma opção de segunda linha importante para pacientes com EMRR que não respondem adequadamente a outras terapias disponíveis no SUS.	Profissional de saúde
609/2021	A nova proposta de preço apresentada pela empresa é compatível com os imunomoduladores já incorporados, o que torna sua inclusão viável economicamente.	Representante da empresa ou área técnica

609/2021	A incorporação do alentuzumabe oferece ao paciente uma opção terapêutica de ação prolongada, o que pode melhorar a adesão e reduzir custos indiretos.	Sociedade médica ou técnica
609/2021	A inclusão de novas terapias amplia o acesso e garante maior personalização no tratamento da esclerose múltipla.	Associação de pacientes
642/2021	O selexipague é a única alternativa oral para o tratamento específico da via da prostaciclina, com impacto positivo na adesão e qualidade de vida.	Profissional de saúde
642/2021	Estudos mostram que o selexipague reduz significativamente o risco de progressão clínica da HAP, especialmente quando associado a outras classes de medicamentos.	Sociedade médica ou especialista
642/2021	A nova proposta de preço enviada está mais alinhada aos demais medicamentos disponíveis para HAP no SUS, tornando sua incorporação viável.	Gestor ou entidade técnica
642/2021	A incorporação do selexipague representa avanço importante no tratamento da HAP, que ainda tem poucas opções terapêuticas no SUS.	Associação de pacientes ou familiares
706/2022	A alfacerliponase é a única opção de tratamento modificador da doença para pacientes com CLN2. Sem ela, o prognóstico é devastador e a progressão, irreversível.	Profissional de saúde
706/2022	A experiência internacional comprova que, mesmo com limitações, a alfacerliponase pode retardar a progressão da doença e melhorar a qualidade de vida.	Técnico ou especialista
706/2022	Famílias vivem em desespero pela ausência de alternativas. A negativa do SUS representa a negação da única esperança para seus filhos.	Familiar ou paciente
706/2022	O modelo de compartilhamento de risco proposto é fundamental para viabilizar o acesso com sustentabilidade para o sistema de saúde.	Representante da indústria ou gestor público
844/2023	Esse é o único tratamento que modifica a história natural da fibrose cística em pacientes com a mutação F508del. Negar o acesso compromete o prognóstico de toda uma geração.	Profissional de saúde ou associação médica

844/2023	O Brasil está atrasado em relação a países da América Latina que já disponibilizam esse medicamento. A não incorporação reforça a desigualdade.	Representante de paciente
844/2023	A nova proposta de preço, mais alinhada à realidade orçamentária, associada ao benefício clínico robusto, torna a incorporação justificável.	Área técnica/ econômica
844/2023	A mobilização social sem precedentes, com milhares de manifestações, mostra a urgência da incorporação. É uma demanda da sociedade com base em evidência.	Sociedade civil organizada
855/2023	A cladribina representa uma alternativa eficaz com conveniência posológica (uso oral em pulsos), favorecendo a adesão e qualidade de vida.	Profissional de saúde
855/2023	A nova proposta de preço torna a cladribina competitiva em relação a terapias já incorporadas, especialmente no cenário de alta atividade da EM.	Técnico/ econômico
855/2023	O tratamento em pulsos orais é especialmente relevante para pacientes com dificuldades de acesso ou comorbidades que limitam o uso de imunomoduladores injetáveis.	Associação de pacientes ou familiar
855/2023	A inclusão amplia o leque de opções terapêuticas para EM altamente ativa, permitindo personalização e racionalização do tratamento no SUS.	Sociedade médica
860/2023	O inibidor de C1 esterase é o tratamento mais efetivo e seguro para crises de AEH, com início rápido de ação e segurança comprovada.	Profissional de saúde
860/2023	Em outros países, o acesso a esse medicamento é garantido há anos. A falta dele no Brasil compromete a vida dos pacientes em situações de emergência.	Familiar ou paciente
860/2023	A proposta de preço revista foi adequada e torna o produto compatível com o orçamento do SUS, principalmente ao ser destinado a uso hospitalar em crises.	Técnico ou gestor de saúde
860/2023	O medicamento tem aprovação internacional e é essencial para salvar vidas durante as crises agudas, sendo um insumo imprescindível nos protocolos.	Sociedade médica ou associação técnica

861/2023	O icatibanto permite o controle rápido das crises, com aplicação subcutânea pelo próprio paciente, o que reduz internações e mortes.	Profissional de saúde
861/2023	Pacientes relatam melhora significativa da autonomia e redução do sofrimento com o uso do icatibanto durante crises.	Paciente ou familiar
861/2023	A proposta de preço compatível, aliada ao benefício de uso domiciliar, torna o medicamento vantajoso para o sistema de saúde.	Técnico ou gestor público
861/2023	Trata-se de uma tecnologia consolidada, usada há anos em diversos países, com eficácia e segurança comprovadas.	Entidade científica ou sociedade médica
864/2024	O uestequinumabe oferece uma nova alternativa terapêutica para pacientes refratários ou intolerantes às opções atualmente disponíveis no SUS.	Profissional de saúde
864/2024	O perfil de segurança e a posologia do medicamento são favoráveis e promovem maior adesão e qualidade de vida ao paciente.	Paciente ou familiar
864/2024	A nova proposta de preço reduz substancialmente o impacto orçamentário, tornando a incorporação compatível com os recursos do SUS.	Técnico/ econômico
864/2024	A diversidade terapêutica é fundamental no manejo da retocolite ulcerativa, e o uestequinumabe tem evidências robustas de eficácia clínica.	Sociedade médica ou científica
875/2024	O ravulizumabe apresenta eficácia equivalente ao eculizumabe, com vantagem significativa na posologia, permitindo aplicações menos frequentes e melhor adesão.	Profissional de saúde ou sociedade médica
875/2024	O menor número de aplicações anuais representa alívio para os pacientes e redução dos custos indiretos, além de menor ocupação de serviços de infusão.	Técnico/ econômico
875/2024	A nova proposta de preço equaliza o custo por paciente ao do tratamento atual, tornando a incorporação financeiramente sustentável.	Gestor de saúde

875/2024	Trata-se de uma evolução tecnológica que melhora a qualidade de vida sem comprometer o sistema de saúde; é essencial garantir acesso.	Paciente ou entidade da sociedade civil
888/2024	A calprotectina fecal é um exame não invasivo, barato e altamente sensível para detectar inflamação intestinal, evitando colonoscopias desnecessárias.	Profissional de saúde
888/2024	O exame permite monitoramento mais frequente e confortável para os pacientes, melhorando a adesão ao tratamento e a qualidade de vida.	Associação de pacientes ou familiar
888/2024	O custo do exame é baixo e sua utilização racionaliza o uso de exames de imagem e procedimentos invasivos, com impacto positivo para o SUS.	Técnico/econômico
888/2024	Há evidência consolidada na literatura científica internacional sobre a acurácia diagnóstica e valor preditivo da calprotectina fecal em doença inflamatória intestinal.	Sociedade médica ou científica
904/2024	A pasireotida é eficaz em pacientes resistentes às demais medicações da classe, sendo uma necessidade clínica não atendida.	Profissional de saúde
904/2024	A introdução do medicamento no SUS permitirá maior controle da doença em pacientes refratários e melhora significativa da qualidade de vida.	Paciente ou associação de pacientes
904/2024	A nova proposta de preço apresentada torna a tecnologia competitiva com as opções existentes e viável para o sistema público.	Técnico ou gestor de saúde
904/2024	A opção terapêutica é essencial para ampliar o acesso e a individualização do tratamento da acromegalia no SUS.	Sociedade médica ou científica

Fonte: elaborado pela autora (2025)

A análise das contribuições que levaram à mudança de parecer na CONITEC mostra que não se trata apenas da abertura de um canal participativo, mas da diversidade de atores sociais e de tipos de insumo mobilizados. Predominam argumentos de natureza econômica, como propostas de preço e revisões de impacto orçamentário, seguidos pela

apresentação de novas evidências clínicas e pela solicitação de alterações em protocolos clínicos (PCDT). Essa heterogeneidade de fontes, composta por profissionais de saúde, sociedades médicas e pacientes/familiares, evidencia que diferentes perfis de participação conseguem introduzir elementos relevantes ao debate. Experiências internacionais apontam para tendência semelhante: no NICE, a presença de pacientes especialistas e representantes clínicos contribui para ampliar o enquadramento da avaliação ao incluir argumentos de caráter econômico, clínico e contextual (NICE, 2022; Hale, 2023). No CADTH, pesquisas mostram que contribuições de pacientes podem, quando articulados a dados de efetividade ou a negociações econômicas, favorecer recomendações condicionais (Berglas, 2016; Jenei e Meyers, 2023). Já no PBAC, os *consumer comments* e programas específicos canalizam contribuições de pacientes, cuidadores e sociedades clínicas para ajustes nas condições de cobertura e na definição de subgrupos elegíveis (Department of Health and Aged Care, 2024).

Assim, os achados desta amostra não apenas demonstram que a participação social pode alterar o resultado de uma avaliação na CONITEC, mas também a alinham a um padrão internacional onde a interação entre atores diversos e múltiplos tipos de contribuição é um vetor concreto de mudança decisória em tecnologias para doenças raras.

Para além da descrição dos conteúdos apresentados nas consultas públicas, observa-se que a forma como esses elementos são mobilizados pela CONITEC não ocorre de modo linear. Ainda que pacientes, familiares e organizações tragam informações fundamentais sobre carga da doença, cotidiano terapêutico, impacto emocional e social, tais aspectos ganham relevância decisória apenas quando dialogam com evidências clínicas emergentes, condições econômicas favoráveis ou maior clareza metodológica sobre eficácia e custo-efetividade. Assim, as contribuições sociais funcionam como um componente interpretativo do processo deliberativo, ampliando a compreensão do contexto da doença, mas não redefinindo por si próprias a direção da decisão.

Os achados revelam, portanto, que as vulnerabilidades dos pacientes exercem influência real, porém não determinante, no processo decisório da CONITEC. Quando há alta incerteza clínica, impacto orçamentário expressivo ou fragilidade metodológica nos estudos, os argumentos relativos à gravidade da condição, ausência de alternativas terapêuticas ou sofrimento acumulado não se mostram suficientes para alterar a

recomendação. Por outro lado, nos casos em que ocorreu mudança de parecer, identificou-se que as vulnerabilidades ganham maior força persuasiva quando reforçam evidências clínicas adicionais ou quando são acompanhadas de ajustes econômicos capazes de reduzir a incerteza e tornar a tecnologia viável ao sistema de saúde. Assim, o papel das vulnerabilidades é condicional e relacional: elas qualificam o debate, aumentam a sensibilidade ética e moral das decisões e revelam dimensões não capturadas pela análise técnico-econômica, mas seu peso final depende da articulação com os demais critérios instituídos de ATS.

Do ponto de vista da abordagem Ciência, Tecnologia e Sociedade (CTS), a participação social não deve ser compreendida apenas como etapa procedimental, mas como elemento constitutivo do próprio processo de produção das decisões em saúde (BAZZO; LINSINGEN; PEREIRA, 2003; BIJKER, 2010). Nesse sentido, as contribuições oriundas das consultas públicas não apenas agregam informações, mas também tensionam, qualificam e reorientam a interpretação dos dados técnicos, evidenciando o caráter sociotécnico das decisões da CONITEC (BIJKER et al., 1987).

Entretanto, a análise realizada indica que, embora a participação seja formalmente institucionalizada, ainda há limitações na forma como suas contribuições são incorporadas e devolvidas à sociedade. A ausência de mecanismos mais explícitos de feedback sobre como as contribuições influenciaram ou não as decisões finais, podem fragilizar a percepção de efetividade do processo participativo (FACEY et al., 2010; OLIVEIRA; ELER, 2022).

Sob a perspectiva CTS, a devolutiva às contribuições não se restringe à transparência, mas constitui elemento fundamental para o fortalecimento da legitimidade e da coprodução do conhecimento (JASANOFF, 2019). Ao explicitar como as contribuições sociais são consideradas, o processo decisório não apenas se torna mais transparente, mas também reforça o engajamento social e a confiança nas instituições (DRUMMOND et al., 2013). A participação social não deve ser compreendida como elemento meramente consultivo, mas como potencial vetor de transformação no processo deliberativo (CASTRO; ELIAS, 2018).

6. CONSIDERAÇÕES FINAIS

As análises desenvolvidas ao longo deste trabalho permitem afirmar que a incorporação de tecnologias em saúde para doenças raras no Brasil se dá em um campo de tensões entre evidências científicas, restrições orçamentárias e demandas sociais. A partir do estudo de 83 relatórios técnicos da CONITEC, foi possível demonstrar que a participação social, embora reconhecida e normatizada, apresenta limitações quanto à sua efetividade no resultado das deliberações. As contribuições de pacientes, familiares e associações, quando estruturadas, mostraram-se capazes de reconfigurar a compreensão do problema e, em alguns casos, alterar a decisão preliminar. Entretanto, os critérios econômicos, sobretudo o impacto orçamentário, permaneceram como fatores predominantes nas recomendações de não incorporação.

A análise das vulnerabilidades trouxe à luz dimensões frequentemente invisibilizadas no processo técnico, incluindo a dependência de cuidadores, as sequelas psicossociais, as barreiras de acesso e as consequências sociais das doenças raras. Esses elementos, quando considerados, contribuiriam para um entendimento mais amplo sobre a magnitude do problema e reforçaram a necessidade de que decisões em saúde não se restrinjam a parâmetros estritamente utilitaristas ou economicistas. A bioética mostrou-se um referencial valioso para sustentar a prioridade de grupos em situação de maior vulnerabilidade, reafirmando a equidade como princípio estruturante do Sistema Único de Saúde.

Do ponto de vista teórico, a tese contribui para os Estudos de Ciência, Tecnologia e Sociedade ao evidenciar a construção social das decisões da CONITEC, nas quais interagem atores institucionais, pacientes, indústria farmacêutica e movimentos sociais, em uma arena marcada por assimetrias de poder e conhecimento. Do ponto de vista prático, reforça a importância de aprimorar os mecanismos de participação social, garantindo capacitação adequada, retorno transparente das contribuições e metodologias que integrem de modo consistente a experiência dos pacientes às análises técnicas.

Entre as limitações do estudo, destaca-se o recorte temporal de 2015 a 2024 e a ênfase em documentos técnicos, que não permitem capturar plenamente os bastidores políticos e institucionais do processo decisório. Futuras pesquisas poderiam aprofundar a comparação internacional, explorar metodologias participativas inovadoras e investigar

como a equidade pode ser operacionalizada de forma mais explícita nos relatórios de ATS.

A análise global dos 83 processos examinados permite responder à pergunta central desta pesquisa: em que medida as vulnerabilidades dos pacientes com doenças raras influenciam a mudança da decisão preliminar para a decisão final da CONITEC? Os resultados mostram que tais vulnerabilidades exercem influência concreta, mas limitada, no processo decisório. Elas ampliam a compreensão sobre a gravidade da doença, revelam dimensões cotidianas invisíveis às avaliações estritamente técnicas e conferem legitimidade social às recomendações. No entanto, não operam como critério autônomo de decisão. Sua capacidade de alterar pareceres depende da convergência com outros elementos decisórios, notadamente a apresentação de novas evidências clínicas, a redução de incertezas metodológicas e a existência de propostas econômicas ou renegociações de preço que tornem a tecnologia viável ao sistema público. Assim, as vulnerabilidades atuam como componentes interpretativos e éticos que enriquecem o processo deliberativo, mas sua força normativa permanece condicionada às lógicas estruturantes da ATS. Esses achados indicam a necessidade de fortalecer mecanismos institucionais que permitam incorporar de forma mais sistemática princípios de equidade, justiça social e proteção — especialmente em contextos de doenças raras — de modo que as vulnerabilidades deixem de ser apenas reconhecidas e passem a ser efetivamente consideradas no julgamento final das tecnologias em saúde.

Conclui-se que o fortalecimento de uma ATS orientada pela equidade, pela proteção das populações vulneráveis e pela integração efetiva da participação social constitui um caminho essencial para que as decisões da CONITEC avancem na direção de maior legitimidade, justiça e sustentabilidade no âmbito das doenças raras.

A partir dos achados desta pesquisa, é possível apontar algumas recomendações voltadas ao aprimoramento do processo de participação social na CONITEC. Em primeiro lugar, destaca-se a importância de fortalecer mecanismos de devolutiva às contribuições recebidas nas consultas públicas, de modo a explicitar de forma mais clara como essas contribuições foram consideradas no processo decisório. Tal medida pode ampliar a transparência e reforçar a legitimidade do processo participativo.

Em segundo lugar, sugere-se o desenvolvimento de estratégias que qualifiquem a participação social, incluindo a ampliação de instrumentos de apoio aos participantes, de modo a favorecer contribuições mais estruturadas e alinhadas aos critérios técnicos da avaliação.

Além disso, recomenda-se o avanço na institucionalização de critérios que incorporem dimensões sociais e éticas, especialmente no que se refere à equidade e às vulnerabilidades, de forma mais sistemática no processo decisório.

Por fim, destaca-se a necessidade de fortalecimento contínuo dos mecanismos participativos, reconhecendo que a participação social, quando efetiva, não apenas contribui para a legitimidade das decisões, mas pode atuar como elemento transformador na construção de políticas públicas mais sensíveis às necessidades de grupos em situação de vulnerabilidade.

7. REFERÊNCIAS

ABELSON, J. et al. Public and patient involvement in health technology assessment: a framework for action. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, v. 32, n. 4, p. 256-264, 2016. DOI: <https://doi.org/10.1017/S0266462316000362>.

ACIOLE, G. G. Algumas questões para o debate do controle social no Sistema Único de Saúde. *Saúde em Debate*, v. 27, n. 63, p. 63-73, 2003. Disponível em: <https://scholar.google.com.br/citations?user=e2uc0QYAAAAJ&hl=en>. Acesso em: 25 mar. 2024.

ACIOLE, G. G. Das dimensões pedagógicas para a construção da cidadania no exercício do controle social. *Interface – Comunicação, Saúde, Educação*, v. 11, n. 23, p. 409-426, set./dez. 2007.

ALLEN, N. Health Technology Assessment (HTA) Case Studies. *Value in Health*, Amsterdam, v. 20, n. 3, p. 316-323, 2017. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.jval.2016.11.006>.

ALMEIDA, L. D. de. Suscetibilidade: novo sentido para a vulnerabilidade. *Revista Bioética*, v. 18, n. 3, p. 537-548, 2010.

ANDREOLETTI, G.; MORONI, L.; CHIFFI, D.; ELGABSI, A. Responsible Research and Innovation and the management of uncertainty. *Science and Engineering Ethics*, v. 28, n. 3, p. 1-17, 2022. DOI: <https://doi.org/10.1007/s11948-022-00393-4>.

ANGELIS, A. A critical appraisal of NICE's new methods manual. *Value in Health*, v. 26, n. 12, 2023. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.jval.2023.08.014>.

ANNEMANS, L. et al. Recommendations from the European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases (ORPH-VAL). *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 12, p. 50, 2017. DOI: <https://doi.org/10.1186/s13023-017-0601-9>.

ARISTÓTELES. *Ética a Nicômaco*. Tradução de António de Castro Caeiro. São Paulo: Atlas, 2009.

ATKINS, J. C.; PADGETT, C. R. Living with a rare disease: psychosocial impacts for parents and family members – a systematic review. *Journal of Child and Family Studies*, v. 33, p. 617-636, 2024. DOI: <https://doi.org/10.1007/s10826-024-02790-6>.

AULER, D. Alfabetização científico-tecnológica: um novo “paradigma” para o ensino de ciências. *Ensaio Pesquisa em Educação em Ciências*, v. 9, n. 1, p. 1-16, 2007. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/epec/a/8VgbtwbpXjJck3fqCZy6RtQ/>. Acesso em: 7 ago. 2025.

AUSTRALIA. Department of Health and Aged Care. *Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) processes and the Life Saving Drugs Program*. Canberra: Australian Government, 2024.

AUSTRÁLIA. Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC). *PBAC Guidelines – Section 3A: Cost-effectiveness analysis*. Canberra, 2023. Disponível em: <https://pbac.pbs.gov.au/section-3a-cost-effectiveness-analysis.html>. Acesso em: 7 ago. 2025.

BARCIFONTAINE, C. de P. de; TRINDADE, M. A. Bioética, saúde e realidade brasileira. *Revista Bioética*, Brasília, v. 27, n. 3, [s. p.], jul./set. 2019. DOI: <https://doi.org/10.1590/1983-80422019273327>.

BARDIN, L. *Análise de conteúdo*. Lisboa: Edições 70, 2011.

BASTOS, T. R.; SGANZERLA, A.; PESSINI, L.; GARRAFA, V. Solidariedade como princípio bioético: uma reflexão contemporânea. *Revista Bioética*, v. 29, n. 1, p. 98-106, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1590/1983-80422021291461>.

BAZZO, W. A. Quase três décadas de CTS no Brasil!: sobre avanços, desconfortos e provocações. *Revista Brasileira de Ensino de Ciência e Tecnologia*, v. 11, n. 2, p. 260-278, 2018.

BAZZO, W. A.; LINSINGEN, I. von; PEREIRA, L. T. do V. (orgs.). *Introdução aos estudos CTS (Ciência, Tecnologia e Sociedade)*. São Paulo: Editora da Universidade Federal de Santa Catarina, 2003. Disponível em: https://wp.ufpel.edu.br/walter/files/2023/06/1__Introduo_aos_estudos_CTS_Bazzo_et_al.pdf. Acesso em: 30 ago. 2025.

BEAUCHAMP, T. L.; CHILDRESS, J. F. *Principles of biomedical ethics*. 7. ed. New York: Oxford University Press, 2013.

BERGER, P. L.; LUCKMANN, T. *A construção social da realidade: tratado de sociologia do conhecimento*. Rio de Janeiro: Vozes, 2004.

BERGLAS, S. et al. Patients' perspectives can be integrated in health technology assessments: an exploratory analysis of CADTH Common Drug Review. *Research Involvement and Engagement*, London, v. 2, 2016. DOI: <https://doi.org/10.1186/s40900-016-0036-9>.

BERTELSEN, N. et al. Patient engagement and patient experience data in regulatory review and health technology assessment: a global landscape review. *Therapeutic Innovation & Regulatory Science*, v. 58, p. 63-78, 2023. DOI: <https://doi.org/10.1007/s43441-023-00573-7>.

BIGLIA, L. V.; MENDES, S. J.; LIMA, T. de M.; AGUIAR, P. M. Incorporações de medicamentos para doenças raras no Brasil: é possível acesso integral a estes pacientes?

Ciência & Saúde Coletiva, v. 26, n. 11, p. 5547-5560, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-812320212611.26722020>.

BIJKER, W. E. Como é feita a tecnologia? – Essa é a questão! *Cambridge Journal of Economics*, v. 34, p. 63-73, 2010. DOI: <https://doi.org/10.1093/cje/bep068>.

BIJKER, W. E. Como e por que a tecnologia é importante? *Redes*, v. 11, n. 21, p. 19-53, 2005. Disponível em: <http://ridaa.unq.edu.ar/handle/20.500.11807/578>. Acesso em: 1 maio 2024.

BIJKER, W. E.; HUGHES, T. P.; PINCH, T. (org.). *The social construction of technological systems: new directions in the sociology and history of technology*. Cambridge, MA: MIT Press, 1987.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras [...]. *Diário Oficial da União*, Brasília, DF, 12 fev. 2014.

BROTTO, A.; ROSANELI, C. Vulnerabilidades de cuidadores familiares de pacientes com doenças raras: uma revisão integrativa. *Psicologia, Saúde & Doenças*, v. 22, n. 2, p. 659-673, 2021.

CADTH. *Guidance for providing patient input*. Ottawa: CADTH, 2020. Disponível em: <https://www.cadth.ca/guidance-providing-patient-input>. Acesso em: 9 ago. 2025.

CADTH. *Guidelines for the Economic Evaluation of Health Technologies: Canada*. 4. ed. Ottawa: CADTH, 2017. Disponível em: <https://www.cda-amc.ca/guidelines-economic-evaluation-health-technologies-canada-0>. Acesso em: 7 ago. 2025.

CAMPBELL, B. et al. Public consultation changes guidance on the use of health-care interventions: an observational study. *Health Expectations*, v. 20, n. 2, p. 361-368, 2017. DOI: <https://doi.org/10.1111/hex.12476>.

CAMPELLO, A. P. de A.; MACHADO, F. R.; SCHRAMM, F. R. Bioética da proteção e vulnerabilidade em saúde: uma análise crítica. *Revista Bioética*, v. 26, n. 1, p. 65-74, 2018. DOI: <https://doi.org/10.1590/1983-80422018261245>.

CANADÁ. Health Canada. Notice to industry: Aligned reviews between Health Canada and health technology assessment organizations. Ottawa, 5 nov. 2024. Disponível em: <https://www.canada.ca/en/health-canada/corporate/transparency/regulatory-transparency-and-openness/improving-review-drugs-devices/notice-aligned-reviews-health-canada-health-technology-assessment-organizations.html>. Acesso em: 7 ago. 2025.

CARVALHO, A. I. de. Os Conselhos de Saúde, participação social e reforma do Estado. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 3, n. 1, p. 23-25, 1998. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-812319983102562014>.

CARVALHO, A. I. Saúde e educação de base: algumas notas. *Saúde em Debate*, n. 7, p. 61-65, 1978. Disponível em: <https://docvirt.com/docreader.net/DocReader.aspx?bib=sauededebate&pagfis=3079>. Acesso em: 20 set. 2024.

CARVALHO, R. R. P.; ALBUQUERQUE, A. Desigualdade, bioética e Direitos Humanos. *Revista Bioética (Impr.)*, v. 23, n. 2, p. 227-237, 2015.

CASTRO, R.; ELIAS, F. T. S. Envolvimento dos usuários de sistemas de saúde na Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS): uma revisão narrativa de estratégias internacionais. *Interface – Comunicação, Saúde, Educação*, v. 22, n. 64, p. 97-108, 2018. DOI: <https://doi.org/10.1590/1807-57622016.0549>.

CAVALLER-BELLAUBI, M.; HUGHES-WILSON, W.; KUBINOVÁ, Š.; VAN DE CASTEELE, M.; VAN LENTE, E. J.; DEGORTES, E.; PONTÉN, J.; EICHLER, H. G.; LE CAM, Y.; BOSELLI, S.; BUCSICS, A. Patients, payers and developers of orphan medicinal products: lessons learned from 10 years' multi-stakeholder dialogue on improving access in Europe via MoCA. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 18, n. 1, p. 144, 12 jun. 2023a. DOI: <https://doi.org/10.1186/s13023-023-02774-7>.

CAVALLER-BELLAUBI, M. et al. Patients, payers and developers of orphan medicinal products: lessons learned from 10 years' multi-stakeholder dialogue on improving access in Europe via MoCA. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 18, n. 144, 2023b. DOI: <https://doi.org/10.1186/s13023-023-02774-7>.

CAVALLER-BELLAUBI, M.; HIVERT, V.; FAVRESSE, R.; LE CAM, Y. Framing the European rare diseases field through a structured movement of patient organisations. *Rare Diseases and Orphan Drugs Journal*, v. 3, p. 23, 2024. DOI: <https://doi.org/10.20517/rdodj.2023.58>.

CDA-AMC — Canada's Drug Agency. *Canada's Drug Agency publishes new guidance for rare disease registries in Canada*. Ottawa, 2025. Disponível em: <https://www.cda-amc.ca/news/canadas-drug-agency-publishes-new-guidance-rare-disease-registries-canada>. Acesso em: 10 ago. 2025.

CDA-AMC — Canada's Drug Agency. *Patient and community engagement (framework)*. 2019-. Disponível em: <https://cda-amc.ca/patient-and-community-engagement>. Acesso em: 10 ago. 2025.

CHABOT, I. Oncology drug health technology assessment recommendations: Canadian vs UK comparison. *Clinico Economics and Outcomes Research*, Auckland, v. 6, p. 587-598, 2014. DOI: <https://doi.org/10.2147/CEOR.S67958>.

CHARLES RIVER ASSOCIATES (CRA). *Quantitative and qualitative analysis of differences in German HTA decisions: discrepancies between IQWiG and G-BA assessments*. ISPOR Europe 2019 Poster. Disponível em: <https://media.crai.com/sites/default/files/publications/CRA-ISPOR-Poster-2019-Discrepancies.pdf>. Acesso em: 9 ago. 2025.

CHENG, M. The critical role of patient engagement in patient-centered outcomes research and health technology assessment of rare disease treatments. *The American Journal of Managed Care*, 2024. Disponível em: <https://www.ajmc.com/view/contributor-the-critical-role-of-patient-engagement-in-patient-centered-outcomes-research-and-health-technology-assessment-of-rare-disease-treatments>. Acesso em: 8 ago. 2025.

COECKELBERGH, M. Technology and vulnerability: understanding qualitative vulnerability as a design value. *Science and Engineering Ethics*, v. 19, n. 1, p. 81-102, 2013.

COMISSÃO EUROPEIA. *Joint clinical assessments under Regulation (EU) 2021/2282*. Bruxelas, 2025. Disponível em: https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/implementation-regulation-health-technology-assessment_en. Acesso em: 7 ago. 2025.

CONITEC — Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. *Consultas Públicas – Participa+Brasil. 2022–2025* (atualizado em 04 ago. 2025). Disponível em: <https://www.gov.br/CONITEC/pt-br/assuntos/consultas-publicas>. Acesso em: 10 ago. 2025.

CONITEC — Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. *Portal institucional (participação social; atas e pautas)*. 2025. Disponível em: <https://www.gov.br/CONITEC>. Acesso em: 10 ago. 2025.

CORGOZINHO, M. M.; OLIVEIRA, A. A. S. de. Equidade em saúde como marco ético da bioética. *Saúde e Sociedade*, v. 25, n. 2, p. 431-441, abr. 2016.

CORGOZINHO, M. M.; OLIVEIRA, D. C. Vulnerabilidade social sob a perspectiva da bioética. *Revista Bioética*, Brasília, v. 24, n. 3, p. 503-512, 2016. Disponível em: <https://revistabioetica.cfm.org.br>. Acesso em: 8 ago. 2025.

COSTA, S.; LIONÇO, T. Bioética e cidadania: equidade em saúde e vulnerabilidade social. *Revista Bioética*, v. 14, n. 2, p. 221-234, 2006.

CROISSANT, J.; RESTIVO, S. Social constructionism in science and technology studies. In: JOST, J. T.; HERMAN, J. L. (orgs.). *Handbook of constructionist research*. New York: Guilford Press, 2008. p. 213-229. Disponível em: https://www.academia.edu/594563/Social_constructionism_in_science_and_technology_studies. Acesso em: 30 maio 2022.

CUEVAS, A. Conhecimento científico, cidadania e democracia. *Revista CTS*, v. 4, n. 10, p. 67-83, jan. 2008.

DAGNINO, R. *Tecnologia social: contribuições conceituais e metodológicas* [online]. Campina Grande: EDUEPB, 2014. 318 p. ISBN 978-85-7879-327-2. Disponível em: <http://books.scielo.org>.

DAGNINO, R.; DIAS, R. A política de C&T brasileira: três alternativas de explicação e orientação. *Revista Brasileira de Inovação*, Campinas, SP, v. 6, n. 2, p. 373-403, 2009. DOI: <https://doi.org/10.20396/rbi.v6i2.8648952>. Disponível em: <https://periodicos.sbu.unicamp.br/ojs/index.php/rbi/article/view/8648952>. Acesso em: 17 ago. 2025.

DAVID, T. B. de. Decisão por equidade e decisão com equidade: notas para uma distinção. *Revista Eletrônica Direito e Política*, Itajaí, v. 16, n. 3, 3º quadrimestre, 2021. Disponível em: <http://www.univali.br/direitopolitica>. Acesso em: 26 jul. 2024.

DEPARTMENT OF HEALTH, DISABILITY AND AGEING (Australia). *Health technology assessment policy and methods review — full recommendations (draft)*. Canberra, 2025.

DEPARTMENT OF HEALTH, DISABILITY AND AGEING. *Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC) processes and the Life Saving Drugs Program*. Canberra: Australian Government, 2024.

DIMITROVA, D. et al. Potential barriers of patient involvement in health technology assessment in Central and Eastern European countries. *Frontiers in Public Health*, v. 10, 27 jul. 2022. Sec. Public Health Policy. DOI: <https://doi.org/10.3389/fpubh.2022.922708>.

DOMARADZKI, J.; JABKOWSKI, P.; WALKOWIAK, D. Rare disease, common struggles: quality of life, caregiver burden and financial wellbeing of family caregivers in Poland. *Scientific Reports*, v. 15, n. 1, art. 22678, 2 jul. 2025. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41598-025-08866-7>. Disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC12217616/>. Acesso em: 17 ago. 2025.

DRUMMOND, M.; TARRICONE, R.; TORBICA, A. Assessing the added value of health technologies: reconciling different perspectives. *Value in Health*, v. 16, n. 1 Suppl., p. S7–S13, 2013. Disponível em: <https://doi.org/10.1016/j.jval.2012.10.007>. Acesso em: 29 jan. 2024.

DUPONT, A. G.; VAN WILDER, P. B. Access to orphan drugs despite poor quality of clinical evidence. *British Journal of Clinical Pharmacology*, v. 71, n. 4, p. 488-496, 2010. DOI: <https://doi.org/10.1111/j.1365-2125.2010.03877.x>.

EMA — European Medicines Agency. *Towards a permanent collaboration framework for EMA and Health Technology Assessment bodies*. 2023.

EMA/EUnetHTA 21. *Technical reporting — work plan 2021–2023*. 2023.
EURORDIS. *Juggling care and daily life: the balancing act of the rare disease community*. Paris, 2022. Disponível em: <https://www.eurordis.org>. Acesso em: 8 ago. 2025.

FACEY, K. et al. Patients' perspectives in health technology assessment: a route to robust evidence and fair deliberation. *International Journal of Technology Assessment in Health*

Care, Cambridge, v. 26, n. 3, p. 334-340, 2010. DOI: <https://doi.org/10.1017/S0266462310000395>.

FOLTANOVA, T.; MAJERNÍK, A.; MALIKOVÁ, E.; KOSIROVÁ, S. Availability and accessibility of orphan medicinal products to patients in Slovakia in the years 2010–2019. *Frontiers in Pharmacology*, v. 13, art. 768325, 26 jan. 2022. DOI: <https://doi.org/10.3389/fphar.2022.768325>. Disponível em: <https://www.frontiersin.org/journals/pharmacology/articles/10.3389/fphar.2022.768325/full>. Acesso em: 17 ago. 2025.

FORMENTON, D. et al. Participação social em ciência e tecnologia: uma breve reflexão sob a perspectiva CTS. *Revista Tecnologia e Sociedade*, v. 17, n. 47, 2021.

FORTES, P. A. de C. Reflexão bioética sobre a priorização e o racionamento de cuidados de saúde: entre a utilidade social e a equidade. *Cadernos de Saúde Pública*, Rio de Janeiro, v. 24, n. 3, p. 696-701, mar. 2008. DOI: <https://doi.org/10.1590/S0102-311X2008000300024>.

FREILE-GUTIÉRREZ, B. Participación ciudadana en el contexto de la evaluación de tecnologías sanitarias. *Revista Médica de Chile*, Santiago, v. 142, supl. 1, p. S27-S32, jan. 2014. DOI: <https://doi.org/10.4067/S0034-98872014001300005>. Disponível em: https://www.scielo.cl/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0034-98872014001300005&lng=es&nrm=iso. Acesso em: 17 ago. 2025.

FREITAS, K. M. de et al. Reports and actions developed by nurses in the reach of equity in health. *Research, Society and Development*, v. 10, n. 8, p. e53310817604, 2021. DOI: <https://doi.org/10.33448/rsd-v10i8.17604>. Disponível em: <https://rsdjournal.org/index.php/rsd/article/view/17604>. Acesso em: 26 jul. 2024.

FRIEL, S. Governance, regulation and health equity. In: DRAHOS, P. (ed.). *Regulatory theory: foundations and applications*. Canberra: ANU Press, 2017. p. 573-590. Disponível em: <http://www.jstor.org/stable/j.ctt1q1crtm.45>. Acesso em: 26 jul. 2024.

GAGNON, M. P. et al. Introducing patient perspective in health technology assessment at the local level. *BMC Health Services Research*, v. 9, n. 54, p. 1-7, 2009. DOI: <https://doi.org/10.1186/1472-6963-9-54>.

GAGNON, M. P. et al. Introducing patients' and the public's perspectives to health technology assessment: a systematic review of international experiences. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, v. 27, n. 1, p. 31-42, 2011. DOI: <https://doi.org/10.1017/S0266462310001315>.

GAGNON, M. P. et al. A learning organization in the service of knowledge translation: the case of the Quebec health technology assessment agency. *Implementation Science*, v. 9, n. 12, p. 1-9, 2014. DOI: <https://doi.org/10.1186/1748-5908-9-12>.

GARRAFA, V. et al. Bioética e vigilância sanitária. *Revista de Direito Sanitário*, v. 18, n. 1, p. 121-139, 2017.

GARRAFA, V.; PORTO, D. Bioética, poder e injustiça: por uma ética de intervenção. *O Mundo da Saúde*, São Paulo, v. 26, n. 1, p. 6-15, jan./mar. 2002.

GERLACH, J. A. et al. Analysis of stakeholder engagement in the public comment process of ICER. *Journal of Managed Care & Specialty Pharmacy*, Washington, v. 26, n. 12, p. 1608-1616, 2020. DOI: <https://doi.org/10.18553/jmcp.2020.26.12.1608>.

GÓIS, A. C. L. de et al. Equidade em situações-limite: acesso ao tratamento para pessoas com hemofilia. *Revista Bioética*, v. 30, n. 1, p. 181-194, jan. 2022.

GOLDIM, J. R. Bioética: origens e complexidade. *Revista HCPA*, v. 26, n. 2, p. 86-92, 2006. Disponível em: http://www.hcpa.ufrgs.br/downloads/RevistaCientifica/2006/2006_26_2.pdf. Acesso em: 4 set. 2025.

GOMES, J. F. de F.; ORFÃO, N. H. Desafios para a efetiva participação popular e controle social na gestão do SUS: revisão integrativa. *Saúde em Debate*, Rio de Janeiro, v. 45, n. 131, p. 1199-1213, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1590/0103-1104202113118>.

GRACIA-PÉREZ, M. L.; GIL-LACRUZ, M. Participación y salud: nuevas iniciativas. *Acciones e Investigaciones Sociales*, n. 39, p. 111-131, 2019. DOI: https://doi.org/10.26754/ojs_ais/ais.2019393234.

HALE, G.; MORRIS, J.; BARKER-YIP, J. Flexibility in assessment of rare disease technologies via NICE's single technology appraisal route: a thematic analysis. *Journal of Comparative Effectiveness Research*, e230093, 2023. DOI: <https://doi.org/10.57264/cer-2023-0093>.

HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ – HAS. *About*. Paris, 6 mar. 2024. Disponível em: https://www.has-sante.fr/jcms/c_415958/en. Acesso em: 17 ago. 2025.

HOSSNE, W. S. Bioética – princípios ou referenciais? *O Mundo da Saúde*, São Paulo, v. 30, n. 4, p. 673-676, out./dez. 2006. DOI: <https://doi.org/10.15343/0104-7809.200630.4.20>.

HUGHES-WILSON, W.; PALMA, A.; SCHUURMAN, A.; SIMOENS, S. Paying for the orphan drug system: break or bend? Is it time for a new evaluation system for payers in Europe to take account of new rare disease treatments? *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 7, n. 1, p. 74, 2012. DOI: <https://doi.org/10.1186/1750-117>.

ICER – INSTITUTE FOR CLINICAL AND ECONOMIC REVIEW. *Our approach – Methods & process*. Boston: ICER, 2024. Disponível em: <https://icer.org/our-approach/methods-process/>. Acesso em: 9 ago. 2025.

INSTITUT FÜR QUALITÄT UND WIRTSCHAFTLICHKEIT IM GESUNDHEITSWESEN – IQWiG. *General Methods – Version 7.0*. Colônia (Alemanha), 19 set. 2023. Disponível em: https://www.iqwig.de/methoden/general-methods_version-7-0.pdf. Acesso em: 17 ago. 2025.

ITABORAHY, Alex *et al.* Learning strategies for laypeople to participate in health technology assessment: a scoping review. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, v. 41, n. 1, e26, p. 1-8, 2025. DOI: 10.1017/S0266462325000200.

JASANOFF, S.; VIEIRA, E.; OLIVEIRA SABADINI, G.; MARINHO DO NASCIMENTO, L.; BRANDÃO, L. H. S.; GONTIJO PAIXÃO, R.; RIBEIRO DUARTE, T. (Trad.). Tecnologias da humildade: participação cidadã na governança da ciência. *Sociedade e Estado*, v. 34, n. 2, p. 565-589, 2019. DOI: <https://doi.org/10.1590/s0102-6992-201934020009>. Disponível em: <https://periodicos.unb.br/index.php/sociedade/article/view/26043>. Acesso em: 3 maio 2024.

JENEI, K.; MEYERS, D. Characteristics of clinician input in Canadian funding decisions for cancer drugs: a cross-sectional study based on CADTH reimbursement recommendations. *BMJ Open*, v. 13, e066378, 2023. DOI: <https://doi.org/10.1136/bmjopen-2022-066378>.

JOMMI, C. et al. Patient involvement in health technology assessment: a European overview. *The European Journal of Health Economics*, v. 22, n. 8, p. 1247-1260, 2021a.

JOMMI, C. et al. Price and reimbursement for orphan medicines and managed entry agreements: does Italy need a framework? *Global & Regional Health Technology Assessment*, v. 8, n. 1, p. 114-119, 2021b. DOI: <https://doi.org/10.33393/grhta.2021.2278>. Disponível em: <https://journals.aboutscience.eu/index.php/grhta/article/view/2278>. Acesso em: 17 ago. 2025.

KANEYASU, T. Value and implementation of patient and public involvement and engagement in health technology assessment for Japan: implications from systematic searches. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, v. 41, n. 1, e14, p. 1-11, 2025. DOI: <https://doi.org/10.1017/S026646232500008X>. Disponível em: <https://www.cambridge.org/core/journals/international-journal-of-technology-assessment-in-health-care/article/value-and-implementation-of-patient-and-public-involvement-and-engagement-in-health-technology-assessment-for-japan-implications-from-systematic-searches/4BF28AA2D04BB9996C70BC6CACB4D373>. Acesso em: 17 ago. 2025.

KIM, H.; BYRNES, J. M.; GOODALL, S. Health technology assessment in Australia: the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee and Medical Services Advisory Committee. *Value in Health Regional Issues*, v. 24, p. 6-11, maio 2021. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.vhri.2020.09.001>. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33429153/>. Acesso em: 17 ago. 2025.

LIMA, S. G. G.; BRITO, C.; ANDRADE, C. J. C. O processo de incorporação de tecnologias em saúde no Brasil em uma perspectiva internacional. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 24, n. 5, p. 1709-1722, 2019. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-81232018245.17582017>.

LINSINGEN, I. von. Perspectiva educacional CTS: aspectos de um campo em consolidação na América Latina. *Ciência & Ensino*, Campinas, v. 1, n. esp., p. 1-22, nov. 2007. Disponível em: <http://www.cienciaparaeducacao.org/>. Acesso em: 17 ago. 2025.

LONGWORTH, L. et al. When does NICE recommend the use of health technologies within a programme of evidence development? A systematic review of NICE guidance. *PharmacoEconomics*, v. 31, p. 137-149, 2013. DOI: <https://doi.org/10.1007/s40273-012-0013-6>.

LOPES, A. C. F.; NOVAES, H. M. D.; SOÁREZ, P. C. Participação social na gestão de tecnologias em saúde em âmbito federal no Brasil. *Revista de Saúde Pública*, v. 54, p. 136, 2020.

MILLAR, R. et al. Assessing the performance of health technology assessment (HTA) agencies: developing a multi-country, multi-stakeholder, and multi-dimensional framework to explore mechanisms of impact. *Cost Effectiveness and Resource Allocation*, v. 19, n. 1, art. 37, 2 jul. 2021. DOI: <https://doi.org/10.1186/s12962-021-00290-8>.

MUÑOZ SÁNCHEZ, A. I.; BERTOLOZZI, M. R. Pode o conceito de vulnerabilidade apoiar a construção do conhecimento em saúde coletiva? *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 12, n. 2, p. 319-324, 2007.

NASCIMENTO, T. G.; VON LINSINGEN, I. Articulações entre o enfoque CTS e a pedagogia de Paulo Freire como base para o ensino de ciências. *Convergencia: Revista de Ciências Sociais*, Toluca, v. 13, n. 42, p. 95-116, set./dez. 2006. Disponível em: https://www.scielo.org.mx/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1405-14352006000300006. Acesso em: 17 ago. 2025.

NATIONAL INSTITUTE FOR HEALTH AND CARE EXCELLENCE (NICE). *Guide to the single technology appraisal process*. London: NICE, 2010. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/media/default/about/what-we-do/nice-guidance/nice-technology-appraisals/guide-to-the-single-technology-appraisal-process.pdf>. Acesso em: 9 ago. 2025.

NATIONAL INSTITUTE FOR HEALTH AND CARE EXCELLENCE (NICE). *Guide to the methods of technology appraisal*. London: NICE, 2013. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/process/pmg9/chapter/foreword>. Acesso em: 7 ago. 2025.

NATIONAL INSTITUTE FOR HEALTH AND CARE EXCELLENCE (NICE). *Health technology evaluations: the manual*. London: NICE, 2022. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/process/pmg36>. Acesso em: 10 ago. 2025.

NATIONAL INSTITUTE FOR HEALTH AND CARE EXCELLENCE (NICE). *Patient and public involvement policy*. London: NICE, 2025.

NATIONAL INSTITUTE FOR HEALTH AND CARE EXCELLENCE (NICE). *Technology appraisal guidance: what it is and how it works*. London: NICE, 2024. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance>. Acesso em: 7 ago. 2025.

NOVAES, H. M. D.; SOÁREZ, P. C. Doenças raras, drogas órfãs e as políticas para avaliação e incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde. *Sociologias*, v. 21, n. 51, p. 332-364, 2019. DOI: <https://doi.org/10.1590/15174522-0215121>.

NOVAES, H. M. D.; SOÁREZ, P. C. Health technology assessment (HTA) organizations: dimensions of the institutional and political framework. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 32, n. 14, 2016. DOI: <https://doi.org/10.1590/0102-311X00022315>.

NOVAES, H. M. D.; SOÁREZ, P. C. A avaliação das tecnologias em saúde: origem, desenvolvimento e desafios atuais. *Cadernos de Saúde Pública*, Rio de Janeiro, v. 36, n. 9, e00006820, 2020. DOI: <https://doi.org/10.1590/0102-311X00006820>.

NUNES, C. R. R.; NUNES, A. P. Bioética. *Revista Científica HCPA*, v. 20, p. 615-620, 2000.

OHE – Office of Health Economics. *Advancing rare disease care: challenges and key issues*. London, 2024. Disponível em: <https://www.ohe.org/insights/advancing-rare-disease-care-challenges-and-key-issues>. Acesso em: 8 ago. 2025.

OLIVEIRA, A. M. C.; IANNI, A. M. Z.; DALLARI, S. G. Controle social no SUS: discurso, ação e reação. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 18, n. 8, p. 2329-2338, 2013. DOI: <https://doi.org/10.1590/S1413-81232013000800017>.

OLIVEIRA, A.; ELER, K. Participação social dos pacientes na avaliação de tecnologia em saúde: fundamentação, desafios e reflexões sobre a CONITEC. *Revista de Direitos e Garantias Fundamentais*, v. 23, n. 1, p. 127-154, 2022.

PAIM, J. P.; SILVA, L. M. V. Universalidade, integralidade, equidade e SUS. *Revista BIS*, v. 12, n. 2, p. 109-114, 2010.

PAIM, J. S. Equidade e reforma em sistemas de serviços de saúde: o caso do SUS. *Saúde e Sociedade*, v. 15, n. 2, p. 34-46, 2006.

PALMA, A.; MATTOS, U. A. O. Contribuições da ciência pós-normal à saúde pública e a questão da vulnerabilidade social. *História, Ciências, Saúde – Manguinhos*, v. 8, n. 3, p. 23, 2001.

PEREIRA, I. P. et al. O Ministério Público e o controle social no Sistema Único de Saúde: uma revisão sistemática. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 24, n. 5, p. 1767-1776, 2019. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-81232018245.16552017>.

PÉREZ, M.; GIL-LACRUZ, M. Participación y salud. *Acciones e Investigaciones Sociales*, v. 8, p. 1-15, 2018. DOI: https://doi.org/10.26754/ojs_ais/ais.2018393234.

PÉREZ, S. M. Ética e inteligência artificial: vulnerabilidade e convivência em ambientes tecnológicos. *Revista Iberoamericana de Ciencia, Tecnología y Sociedad*, v. 16, n. 48, p. 133-150, 2021.

PESSINI, L. Bioética das intuições pioneiras – perspectivas nascentes aos desafios da contemporaneidade II. *Revista Brasileira de Bioética*, v. 1, n. 3, p. 63-77, 2005.

PESSINI, L. Bioética: da biomedicina à vida plena. *Revista Bioética*, v. 13, n. 1, p. 7-18, 2005.

PICKAERT, A.-P., em nome da Acute Leukemia Advocates Network. Patient involvement in health technology assessments: lessons for EU joint clinical assessments. *Journal of Market Access & Health Policy*, v. 13, n. 3, p. 38, 2025. DOI: <https://doi.org/10.3390/jmahp13030038>.

PINHEIRO, M. C.; WESTPHAL, M. F.; AKERMAN, M. Equidade em saúde nos relatórios das conferências nacionais de saúde pós-Constituição Federal brasileira de 1988. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 21, n. 2, 2005. DOI: <https://doi.org/10.1590/S0102-311X2005000200011>.

PORTO, F.; MENDES, S. J.; MENDES, A. A equidade e o financiamento em saúde no sistema único de saúde (SUS). *Journal of Management & Primary Health Care*, v. 11, 2019. DOI: <https://doi.org/10.14295/jmphc.v11iSup.837>.

POTTER, V. R. *Bioética: ponte para o futuro*. Tradução de Diego Carlos Zanella. São Paulo: Edições Loyola, 2016.

RAWLS, J. *Uma teoria da justiça*. 2. ed. São Paulo: Martins Fontes, 2002.

RAWSON, N. S. B. Health technology assessment and price negotiation alignment for rare disorder drugs in Canada: who benefits? *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 17, p. 218, 2022. DOI: <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02390-x>.

ROLLET, P.; LEMOINE, A.; DUNOYER, M. Sustainable rare diseases business and drug access: no time for misconceptions. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 8, n. 109, 2013. DOI: <https://doi.org/10.1186/1750-1172-8-109>.

ROSANELI, F. C.; BROTTTO, A. M.; FISCHER, M. L. Doenças raras e barreiras de comunicação: uma análise bioética. *Revista Bioética e Direito*, Barcelona, n. 52, p. 139-154, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1344/rbd2021.52.34155>. Disponível em: http://scielo.isciii.es/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1886-58872021000200009&lng=es&nrm=iso. Acesso em: 19 jan. 2024.

RUOF, J. et al. Early benefit assessment (EBA) in Germany: analysing decisions 18 months after introducing the new AMNOG legislation. *European Journal of Health Economics*, v. 15, n. 6, p. 577-589, 2014. DOI: <https://doi.org/10.1007/s10198-013-0495-y>.

SANTOS, A. F. G.; PEREIRA, J. C. A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Brasil: avanços, desafios e perspectivas. *Revista de Saúde Coletiva*, v. 30, n. 1, p. 1-15, 2020.

SANTOS, B. V. dos. Igualdade, justiça e equidade em saúde: reflexões bioéticas. *Revista Bioética*, v. 28, n. 2, p. 225-233, 2020. DOI: <https://doi.org/10.1590/1983-80422020282378>.

SANTOS, I. L. Igualdade, equidade e justiça na saúde à luz da bioética. *Revista Bioética*, v. 28, n. 2, p. 229-238, 2020.

SCHRAMM, F. R. Bioética da proteção: ferramenta válida para enfrentar problemas morais na era da globalização. *Revista Bioética*, v. 8, n. 2, p. 133-146, 2000.

SCHRAMM, F. R.; ESCOSTEGUY, A. N. Avaliação de tecnologias em saúde e a cultura dos limites. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 16, n. 4, p. 889-896, 2000.

SGANZERLA, A.; ZANELLA, D. C.; GRAESER, V. Potter e o equilíbrio do ecossistema como fundamento da moralidade da bioética. *Revista Iberoamericana de Bioética*, n. 17, p. 1-13, 2021. DOI: <https://doi.org/10.14422/rib.i17.y2021.004>.

SILVA, A. S et al.. Participação social no processo de incorporação de tecnologias em saúde no Sistema Único de Saúde. *Revista de Saúde Pública*, v. 53, p. 109, 2019.

SILVA, J. B. Saúde pública e controle social: uma trajetória de avanços? Desenvolvimento Socioeconômico em Debate, v. 6, n. 2, p. 41, 2020. DOI: 10.18616/rdsd.v6i2.5682. Disponível em: <https://periodicos.unesc.net/ojs/index.php/RDSD/article/view/28>. Acesso em: 24 mar. 2024.

SOARES, J. N.; SIMIONI, R. L. Direitos fundamentais, democracia e o Projeto Genoma Humano: bioética e biopolítica. *Revista Bioética*, v. 26, n. 4, p. 506-513, 2018. DOI: <https://doi.org/10.1590/1983-80422018264268>.

SOUZA, C. M. N.; HELLER, L. O controle social em saneamento e em saúde: análise comparativa com base nos marcos legais federais brasileiros. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 24, n. 1, p. 285-294, 2019. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-81232018241.35012016>. Acesso em: 1 dez. 2023.

TAMACHIRO, S. T.; GONÇALVES, F. A. R.; SIMONE, A. L. M.; AGUIAR, P. M. A indústria farmacêutica interfere na sustentabilidade do sistema de saúde pública no Brasil? Uma reflexão sobre a pressão por incorporação de medicamentos. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 38, n. 7, p. e00233321, 2022. DOI: <https://doi.org/10.1590/0102-311XPT233321>. Acesso em: 15 fev. 2024.

TEERAWATTANANON, Y. et al. Avoiding health technology assessment: a global survey of reasons for not using health technology assessment in decision making. *Cost*

Effectiveness and Resource Allocation, v. 19, n. 1, p. 62, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1186/s12962-021-00308-1>.

UNIÃO EUROPEIA. *EUnetHTA21 – Service contract*. Bruxelas, 2024-2025. Disponível em: https://health.ec.europa.eu/.../eunetha21-service-contract_en. Acesso em: 7 ago. 2025.

UNIÃO EUROPEIA. *Regulamento (UE) 2021/2282 do Parlamento Europeu e do Conselho, de 15 de dezembro de 2021, relativo à avaliação de tecnologias da saúde*. JO L 458, 22 dez. 2021. Disponível em: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32021R2282>. Acesso em: 7 ago. 2025.

URBINA, I.; ADAMS, R.; FERNANDEZ, J.; WILLEMSSEN, A.; HEDBERG, N.; RÜTHER, A. Advancing cooperation in Health Technology Assessment in Europe: insights from the EUnetHTA 21 project amidst the evolving legal landscape of European HTA. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, v. 40, n. 1, e75, p. 1-8, 2024. DOI: <https://doi.org/10.1017/S0266462324004689>.

VÁZQUEZ, J. et al. Societal preferences in health technology assessments for rare diseases and orphan drugs: a systematic literature review of new analytic approaches. *Value in Health Regional Issues*, 2024. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.vhri.2024.101026>.

VENTURA, M.; SIMAS, L.; PEPE, V. L. E.; SCHRAMM, F. R. Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde no Brasil. *Revista Bioética*, v. 23, n. 2, p. 391-403, 2015. DOI: <https://doi.org/10.1590/1983-80422015232067>.

VICENTE, G.; CUNICO, C.; LEITE, S. N. Transformando incertezas em regulamentação legitimadora? As decisões das agências NICE e CONITEC para doenças raras. *Ciência & Saúde Coletiva*, Rio de Janeiro, v. 26, n. 11, p. 5533-5546, nov. 2021. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-812320212611.34542020>. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/csc/a/n9bDQMSzVLcdMZcnRF6Qqhm/>. Acesso em: 12 fev. 2024.

VIEIRA, F. S. et al. Diagnóstico e tratamento de doenças raras no Brasil: desafios e perspectivas. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 28, n. 5, p. 1549-1560, 2023. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-81232023285>.

WHITEHEAD, M. The concepts and principles of equity and health. *International Journal of Health Services*, v. 22, n. 3, p. 429-445, 1992. DOI: <https://doi.org/10.2190/986L-LHQ6-2VTE-YRRN>.

YUBA, T. Y. *Política Nacional de Gestão de Tecnologias em Saúde: um estudo de caso da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS*. 2018. Tese (Doutorado) – Faculdade de Medicina, Universidade de São Paulo, São Paulo, 2018.

ZAMBON, V. D.; OGATA, M. N. Controle social do Sistema Único de Saúde: o que pensam os conselheiros municipais de saúde. *Revista Brasileira de Enfermagem*, v. 66,

n. 6, p. 921-927, 2013. DOI: <https://doi.org/10.1590/S0034-71672013000600017>. Acesso em: 24 mar. 2024.