

LEKTM



Sponsored by

SPECIAL REPORT

Terapias Domiciliares em Doenças Raras: Regulamentação e acesso no Século XXI



Sumário

Autores e Signatários.....	2
Introdução	4
A inovação farmacêutica impulsiona a expansão do cuidado domiciliar.....	5
As terapias domiciliares estão ganhando relevância no tratamento de doenças raras.....	10
Desenvolvimento do arcabouço regulatório da saúde suplementar não acompanhou a evolução tecnológica.....	14
O caminho para mudanças passa por uma discussão ampla e colaborativa.....	16
É preciso agir agora enquanto construímos o futuro.....	25
Conclusão e próximos passos.....	28
Referências Bibliográficas.....	29

Sobre a L.E.K. Consulting

Somos a L.E.K. Consulting, uma consultoria estratégica global que trabalha com líderes empresariais para obter vantagem competitiva e ampliar o crescimento. Nossos insights são catalisadores que remodelam a trajetória dos negócios de nossos clientes, descobrindo oportunidades e capacitando-os a dominar seus momentos de verdade. Desde 1983, nossa prática global — abrangendo as Américas, Ásia-Pacífico e Europa — orienta líderes em todos os setores, desde corporações globais a empresas empreendedoras emergentes e investidores de private equity. Quer saber mais? Visite www.lek.com. L.E.K. Consulting é uma marca registrada da L.E.K. Consulting LLC. Todos os outros produtos e marcas mencionados neste documento são propriedade de seus respectivos proprietários. © 2025 L.E.K. Consulting LLC

Autores e Signatários



Maurício França | Sócio | m.franca@lek.com



Rafael Freixo | Sócio | r.freixo@lek.com



Danilo Simões | Consultor | d.simoese@lek.com

Os autores gostariam de agradecer aos profissionais abaixo por suas contribuições para este relatório:

Antonie Daher - Presidente - Febrararas

Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira – Fundador e Diretor Executivo – Unidos pela Vida

Dr. Miyuki Goto - Assessor Técnico - Associação Médica Brasileira (AMB)

Introdução

Este artigo é resultado de uma série de discussões conduzidas em um *Advisory Board* que reuniu especialistas do setor de saúde para debater a incorporação de terapias domiciliares para doenças raras na saúde suplementar brasileira. O grupo analisou os potenciais benefícios desse modelo de cuidado, os desafios regulatórios, econômicos e operacionais para sua implementação, bem como as oportunidades para ampliar o acesso de forma sustentável e alinhada às necessidades do sistema de saúde brasileiro. Para garantir um ambiente de diálogo aberto e imparcial, as discussões foram conduzidas sob confidencialidade, com as informações sendo agregadas e apresentadas sem atribuição a participantes individuais.

Ao longo do debate, ficou evidente a necessidade de aprofundar a compreensão sobre o tema, tanto em relação à sua relevância para a sociedade quanto às lacunas da legislação vigente. Além disso, foi reforçada a importância de construir caminhos para a modernização da cobertura de novas tecnologias de uso domiciliar na saúde suplementar, equilibrando acesso, sustentabilidade financeira e inovação.

Este artigo se destina a quem vive com doenças raras, profissionais do setor de saúde, reguladores, gestores de operadoras de saúde, organizações não-governamentais e demais *stakeholders* envolvidos na formulação de políticas e na tomada de decisões sobre terapias de alta complexidade. Com um caráter técnico e científico, o texto busca fornecer uma visão estruturada sobre os desafios e oportunidades da adoção de terapias domiciliares para doenças raras, contribuindo para o avanço do debate e a elaboração de soluções viáveis para o sistema suplementar de saúde.

A inovação farmacêutica impulsiona a expansão do cuidado domiciliar

Historicamente, o cuidado aos pacientes foi centralizado no ambiente hospitalar, aproveitando ganhos de escala proporcionados pela infraestrutura compartilhada, pela disponibilidade de equipes médicas especializadas e pelo acesso imediato a exames e intervenções emergenciais. Além disso, protocolos rigorosos de prevenção e controle de infecções foram implementados para minimizar riscos e garantir um ambiente seguro para procedimentos complexos.

No entanto, esse modelo passou a enfrentar desafios significativos. O aumento da demanda elevou os custos das internações, enquanto a escassez de leitos e a sobrecarga dos profissionais de saúde limitaram a capacidade de atendimento. Além disso, apesar dos protocolos de controle, o ambiente hospitalar expõe os pacientes a um maior risco de infecções adquiridas durante a internação, especialmente em casos de longos períodos de hospitalização.

Diante desse cenário, a expansão dos cuidados domiciliares vem ganhando tração como uma alternativa cada vez mais adotada, impulsionada por benefícios clínicos e econômicos. Nesse contexto, medicamentos orais e subcutâneos desempenham um papel essencial na viabilização dessa transição, tornando o cuidado mais acessível e financeiramente sustentável [1].

Cuidado domiciliar como fonte de valor para o cuidado e para a saúde complementar

A descentralização dos tratamentos antes restritos ao ambiente hospitalar, com a transferência para espaços ambulatoriais ou domiciliares, baseia-se em três principais fundamentos: (i) proporcionar maior conforto aos pacientes e seus familiares, (ii) aliviar a sobrecarga operacional dos prestadores de serviços de saúde e (iii) otimizar custos.

O ambiente domiciliar favorece o envolvimento da família no cuidado, oferecendo suporte emocional essencial para a recuperação. Além disso, possibilita um acompanhamento mais personalizado, com rotinas ajustadas às necessidades individuais, reduzindo o estresse e a ansiedade típicos da hospitalização. Esse modelo também fortalece o conhecimento sobre a condição e o autocuidado, melhorando a adesão ao tratamento. Outro benefício relevante é a menor exposição a infecções hospitalares, já que fora do ambiente hospitalar os pacientes estão

menos suscetíveis a patógenos circulantes [2]. Como resultado, esses fatores contribuem para melhores desfechos clínicos e maior qualidade de vida para pacientes e seus familiares.

O deslocamento de terapias e procedimentos para o lar viabiliza a otimização dos recursos hospitalares, reduzindo a necessidade de equipes dedicadas – um impacto relevante diante do crescente déficit de profissionais de saúde, especialmente enfermeiros [3]. Além disso, ao liberar leitos para pacientes cujo tratamento exige infraestrutura hospitalar, a atenção domiciliar melhora a alocação de recursos e aumenta a eficiência operacional do sistema, conferindo maior produtividade ao sistema de saúde.

Apesar da relevância do envolvimento familiar e alívio da sobrecarga operacional de prestadores, a possibilidade de redução de custos é um dos principais fatores impulsionando esse movimento. Internações hospitalares demandam infraestrutura complexa e recursos intensivos, resultando em despesas elevadas. Esses custos vão além da manutenção de equipamentos e da aquisição de insumos, incluindo gastos com equipes médicas especializadas e suporte 24 horas. Um estudo apresentado no XVIII Congresso Internacional de Custos indicou economias de cerca de 30% em casos de alta complexidade e até 80% em casos de baixa complexidade, principalmente devido à adoção de tecnologias de monitoramento remoto [4].

No passado, a utilização de terapias domiciliares era limitada por barreiras fisiológicas e técnicas

Até pouco tempo atrás, os medicamentos orais e subcutâneos eram considerados vias secundárias de administração terapêutica. Em doenças de maior complexidade, a via intravenosa foi por muito tempo a opção preferida, sob a justificativa de oferecer biodisponibilidade superior e administração direta à circulação sistêmica, garantindo um efeito mais previsível.

Os benefícios da via oral, como maior conforto para o paciente e redução de custos para o sistema devido à autoadministração, contrastavam com barreiras fisiológicas e técnicas [5]. Fisiologicamente, a absorção completa dos fármacos orais pelo trato gastrointestinal e pelos tecidos subcutâneos eram as principais barreiras. Enquanto as infusões atingem imediatamente a corrente sanguínea e são distribuídas ao local de ação, os medicamentos orais, por exemplo passam por múltiplos estágios: atravessam o ambiente ácido do estômago, sofrem degradação digestiva, atravessam o revestimento intestinal e passam pelo metabolismo de primeira passagem no fígado antes de finalmente alcançar os tecidos-alvo. Esse

processo é especialmente desafiador para medicamentos biológicos, cujas moléculas grandes dificultam a passagem pela barreira lipídica das células intestinais, enquanto sua natureza hidrofílica os torna suscetíveis à degradação enzimática e ao metabolismo hepático intenso [6]. Sob ponto de vista técnico, garantir a estabilidade do fármaco frente a calor e umidade, desenvolver formulações com liberação controlada e incorporar moléculas grandes e complexas em comprimidos ou cápsulas sem comprometer a eficácia eram barreiras críticas [7]. Muitos medicamentos, especialmente biológicos, são instáveis fora do ambiente hospitalar e exigem formulações altamente precisas [8]. Enquanto isso, em medicamentos injetáveis, moléculas grandes podem apresentar instabilidade sem comprometer sua eficácia, o que simplifica o processo produtivo [9].

A tecnologia farmacêutica expandiu as fronteiras do cuidado domiciliar

Avanços tecnológicos superaram limitações físico-químicas e fisiológicas dos fármacos orais, permitindo maior estabilidade, absorção, e direcionamento terapêutico (**Figura 1**).

Nanopartículas, formulações lipídicas e intensificadores de permeação aprimoraram a absorção dos medicamentos, enquanto pró-fármacos, versões quimicamente modificadas dos compostos ativos, otimizaram solubilidade e biodisponibilidade, viabilizando concentrações menores e mais localizadas. O desenvolvimento de revestimentos entéricos e polímeros sensíveis ao pH protege os medicamentos durante a passagem pelo trato digestivo, garantindo liberação controlada no local-alvo. Melhorias no *design* molecular, como aumento da lipofilicidade e redução do tamanho das moléculas, também facilitaram a penetração em tecidos-alvo. Além dos avanços na formulação, inovações na manufatura farmacêutica aprimoraram a produção e estabilidade dos medicamentos. Tecnologias como *spray-drying*, extrusão a quente e liofilização aumentaram a eficiência dos fármacos, enquanto a manufatura contínua trouxe maior controle de qualidade e redução da variabilidade dos lotes.

Esses avanços possibilitaram o desenvolvimento de agentes orais eficazes para doenças complexas, incluindo o câncer. Atualmente, 5% dos agentes quimioterápicos estão disponíveis em formulações orais e essas terapias representam 20% a 25% dos fármacos em desenvolvimento para doenças raras, indicando uma tendência crescente no investimento em medicamentos orais [10]. A introdução dos antineoplásicos orais transformou a oncologia, com evidências demonstrando que, em alguns casos, essas terapias são mais eficazes do que a quimioterapia intravenosa

tradicional. Além da oncologia, a evolução dos medicamentos orais tem impactado outras condições graves. O upadacitinibe, por exemplo, tornou-se, em 2023, o primeiro medicamento oral aprovado pela FDA (*Food and Drug Administration*) para o tratamento da doença de Crohn moderada a grave, oferecendo uma alternativa a pacientes que não responderam aos bloqueadores do fator de necrose tumoral.

A superação dessas barreiras tecnológicas permitiu que doenças tradicionalmente tratadas em ambiente hospitalar pudessem ser gerenciadas em domicílio, reduzindo internações prolongadas, custos assistenciais e impacto na qualidade de vida dos pacientes. Com um número crescente de medicações orais e subcutâneas em desenvolvimento, o cuidado domiciliar não é mais uma alternativa limitada, mas uma estratégia consolidada para ampliar o acesso e otimizar a assistência em doenças complexas.

"...precisamos quebrar um paradigma, assim como aconteceu na quimioterapia. No passado, acreditávamos que o tratamento precisava ser altamente invasivo para ser eficaz. A ideia era que só funcionava o que ia direto na veia, enquanto tudo que era oral parecia placebo, algo básico, de baixa tecnologia. Medicamentos orais ainda são vistos no mesmo patamar de um comprimido para dor de cabeça. É como se não conseguissem imaginar que há alta tecnologia por trás dessas formulações, projetadas para atingir alvos específicos. Ainda precisamos romper essa visão ultrapassada de que o oral é sempre inferior..."

– Médico especialista em avaliação de tecnologias de saúde

Figura 1

Evolução da administração de drogas via oral

Drogas orais eram consideradas "menos complexas" dadas dificuldades intrínsecas à tecnologia...

...contudo, com avanço tecnológico, a via oral se tornou não só viável, como preferível

Biodisponibilidade

- !! Ambiente ácido do estômago, degradação digestiva, revestimento intestinal e metabolismo de primeira passagem no fígado dificultam absorção
- !! Particularmente difícil para moléculas grandes e / ou hidrofílicas, como medicamentos biológicos
- !! Dificuldades não existentes com infusionais, que entram diretamente na corrente sanguínea



- ✓ **Novas tecnologias de transporte** baseadas em nanopartículas, formulações lipídicas e intensificadores de permeação
- ✓ **Pró-farmacos**, versões quimicamente modificadas dos compostos ativos, projetados para otimizar solubilidade e absorção pré-metabolismo
- ✓ **Aumento de terapias alvo** que, tipicamente, requerem concentrações menores e localizadas

Manufatura e forma farmacêutica

- !! Sensibilidade ao calor e umidade, condições presentes na produção de comprimidos ou cápsulas
- !! Processos ineficazes para garantir estabilidade e liberação consistente do fármaco ao longo do tempo



- ✓ **Novas tecnologias de fabricação** como "spray-drying", extrusão a quente, liofilização e revestimentos poliméricos avançados
- ✓ **Manufatura contínua**, que permite maior controle de qualidade e variabilidade

Drug delivery local-específico

- !! Dificuldades para entregar agentes terapêuticos a locais específicos do corpo, como o cérebro ou o cólon, devido a barreiras biológicas



- ✓ **Design molecular aprimorado**, como aumento de lipofilicidade e redução de tamanho das moléculas
- ✓ **Revestimentos entéricos ou polímeros sensíveis ao pH** que protegem os medicamentos no estômago e no intestino delgado, liberando-os apenas no local alvo

Fonte: PubMed, Sindusfarma,UFF, Anvisa, Ulisboa, entrevistas, e análises de mercado L.E.K.

As terapias domiciliares estão ganhando relevância no tratamento de doenças raras

Uma doença rara é definida como uma enfermidade que afeta 65 indivíduos a cada 100 mil [11] [12], sendo que cerca de 80% das doenças raras identificadas têm origens genéticas. A identificação precoce dessas doenças ainda é um grande desafio, já que o diagnóstico muitas vezes é tardio ou impreciso, o que compromete a eficácia do tratamento.

O desenvolvimento de terapias para doenças raras é particularmente desafiador, pois suas causas nem sempre são totalmente compreendidas e o número reduzido de pacientes impacta diretamente a viabilidade de estudos clínicos, tornando-os mais custosos e dificultando a validação de novas terapias. Além disso, a raridade dessas condições reduz o incentivo para investimentos na área, restringindo o avanço de tratamentos inovadores e personalizados. Com isso, os pacientes enfrentam uma oferta limitada de opções terapêuticas especificamente desenvolvidas para suas condições – a maioria depende de medicamentos de uso amplo voltados apenas para o controle dos sintomas, sem abordar diretamente a causa da enfermidade.

Diante desse cenário, é fundamental considerar todas as inovações farmacêuticas disponíveis, incluindo medicamentos orais e subcutâneos de uso exclusivo domiciliar, que não apenas ampliem o acesso ao tratamento, mas também possibilitem o cuidado no lar.

O lar é um espaço de cuidado contínuo para quem vive com doenças raras

Doenças raras geralmente são diagnosticadas na infância, impactando não apenas a saúde do paciente, mas também seu desenvolvimento socioemocional e familiar. Crianças com essas condições frequentemente enfrentam desconforto físico, dor e hospitalizações recorrentes, o que compromete sua rotina escolar e dificulta a socialização. Esse cenário pode levar a sentimentos de isolamento, dificuldades acadêmicas e baixa autoestima, prejudicando sua interação com colegas – desafios que, quando não abordados precocemente, tendem a persistir na vida adulta. Além disso, estudos indicam que esses pacientes apresentam níveis significativamente mais altos de depressão, ansiedade e outras comorbidades psicológicas em comparação a crianças saudáveis [13].

"...o paciente com doença rara vive uma realidade muito diferente. A família não está focada em ganhos financeiros, mas em sobrevivência, em autonomia. Os pais dessas crianças são extremamente qualificados para falar sobre essa jornada porque enfrentam desafios diários que vão muito além do tratamento em si—o deslocamento constante, a dependência de terceiros, o impacto social e emocional. Esse é um debate que precisa ser visto com mais credibilidade e empatia. Não se trata apenas de acesso a uma terapia específica, mas de um impacto mais amplo para a sociedade. Precisamos parar de olhar apenas para o ganho individual e começar a enxergar o todo..."

– Advogado com experiência em regulação da saúde

A carga emocional e física recai também sobre a família. Muitas pessoas com doenças raras possuem limitações físicas ou cognitivas que as tornam dependentes do cuidado contínuo de terceiros, dificultando sua autonomia e restringindo sua participação em contextos sociais. Esse nível de dependência pode levar a um impacto profundo na saúde mental dos pais e cuidadores, que lidam com diagnósticos longos e a busca constante por opções de tratamento. Como consequência, é comum que negligenciem sua própria saúde física e mental, apresentando níveis elevados de estresse e ansiedade – estudos apontam que pais de crianças com doenças raras apresentam o indicador Qualidade de Vida Relacionada à Saúde (HRQOL) reduzido, sendo comuns sintomas de transtorno de estresse pós-traumático (PTSD), isolamento social e solidão [17].

Neste contexto do fardo emocional, as famílias precisam reorganizar completamente suas rotinas para atender às demandas do tratamento. O dia a dia passa a incluir a supervisão contínua da criança, deslocamentos frequentes para consultas médicas e sessões de tratamento, além da administração de cuidados específicos em casa. O impacto financeiro também é significativo, já que os custos com o bem-estar do paciente podem ser exorbitantes, levando muitas famílias a enfrentarem dificuldades para garantir todo o suporte necessário. Esse cenário não afeta apenas os pais, mas também irmãos saudáveis, que frequentemente têm suas necessidades emocionais e oportunidades de desenvolvimento comprometidas devido à atenção concentrada no irmão com a doença [17].

Além disso, o tratamento em casa reduz a necessidade de deslocamentos frequentes, que podem ser particularmente desgastantes para aqueles com mobilidade reduzida ou que requerem apoio contínuo. Ademais, o ambiente familiar proporciona maior conforto emocional, permitindo uma rotina escolar mais estável e interações sociais menos restritas, ajudando a mitigar os impactos psicológicos

do isolamento. Para as famílias, o tratamento domiciliar representa menos tempo em hospitais, aliviando o fardo físico e emocional dos cuidadores e reduzindo o isolamento social, ao permitir um melhor equilíbrio entre a assistência ao paciente e a manutenção de suas próprias rotinas e responsabilidades [17].

Diante desses desafios, a descentralização do tratamento para o ambiente domiciliar surge como uma alternativa que pode beneficiar tanto os pacientes quanto suas famílias

"...em doenças comuns, a administração domiciliar representa conveniência e adesão ao tratamento. Já em doenças raras, onde o impacto sistêmico é devastador e múltiplas especialidades são necessárias, a possibilidade de terapias domiciliares pode redefinir a jornada do paciente. Muitas dessas doenças comprometem severamente a mobilidade e a qualidade de vida, tornando deslocamentos frequentes para infusões hospitalares um fardo adicional. Com novas terapias, incluindo opções combinadas e tecnologias curativas de última geração, o tratamento domiciliar não apenas melhora o manejo clínico, mas pode ser um fator decisivo para controle da doença e independência funcional. O oral não exige internação, apenas alguns exames para monitoramento. O que importa é o impacto que ele traz na qualidade de vida. Estamos caminhando para tratamentos menos custosos e, ao mesmo tempo, com resultados melhores..."

– Líder de associação de pacientes com doenças raras

Pipeline global de desenvolvimento aponta para um futuro com mais terapias domiciliares para raras

Entre 2014 e 2024, o número de novos estudos clínicos voltados para vias orais e subcutâneas cresceu 45% ao ano, enquanto pesquisas para outras vias de administração avançaram apenas 2,8% ao ano (**Figura 2**). Em 2024, os estudos clínicos focados nessas terapias chegaram a 885, representando 21% do total, um salto expressivo em comparação aos 1% registrados em 2014. Esse crescimento evidencia o avanço das medicações orais e subcutâneas, que têm superado limitações históricas e se consolidado como foco central no desenvolvimento de novas abordagens terapêuticas.

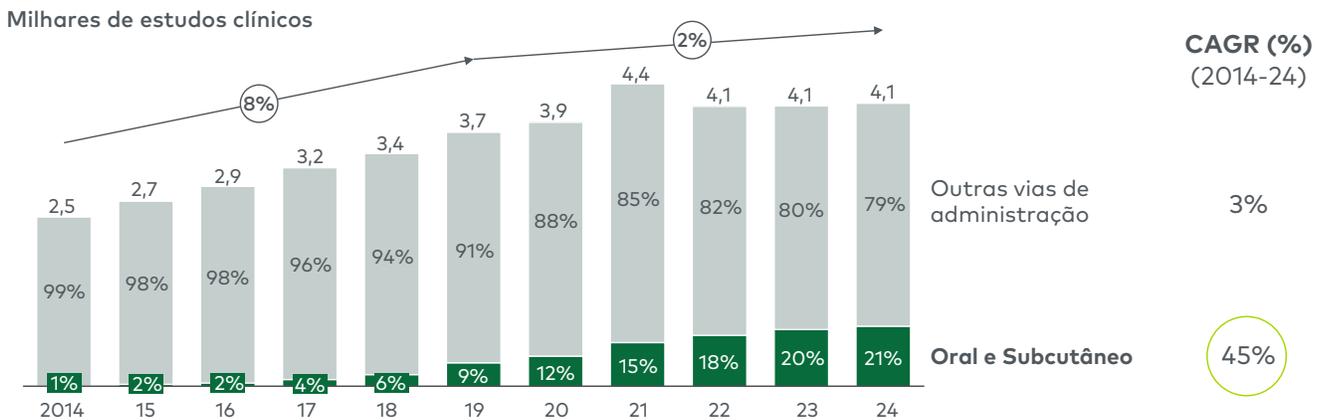
Olhando para o futuro, estima-se que, até 2029, cerca de 250 novas moléculas orais e subcutâneas concluam Fase III e possam estar prontas para entrar o mercado (**Figura 3**). Esse número pode ser ainda maior quando consideradas as terapias em Fase II, uma vez que a ANVISA, por meio da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) nº 205/2017 [14], permite a aprovação de medicamentos para doenças raras com base em estudos de Fase II concluídos e Fase III em andamento.

"...atualmente, existem aproximadamente 850 moléculas em desenvolvimento para doenças raras, excluindo oncologia e estudos clínicos voltados para a mesma molécula. Entre essas, cerca de 65% são formuladas para administração oral, enquanto o restante abrange opções subcutâneas. Esses avanços demonstram que, embora a oncologia tenha tido progressos significativos nos últimos anos, o foco em doenças raras também está crescendo, trazendo novas possibilidades terapêuticas. Olhando para o futuro, há cerca de 250 produtos em fase III, com expectativa de lançamento nos próximos anos..."

– Líder de associação de pacientes com doenças raras

Figura 2

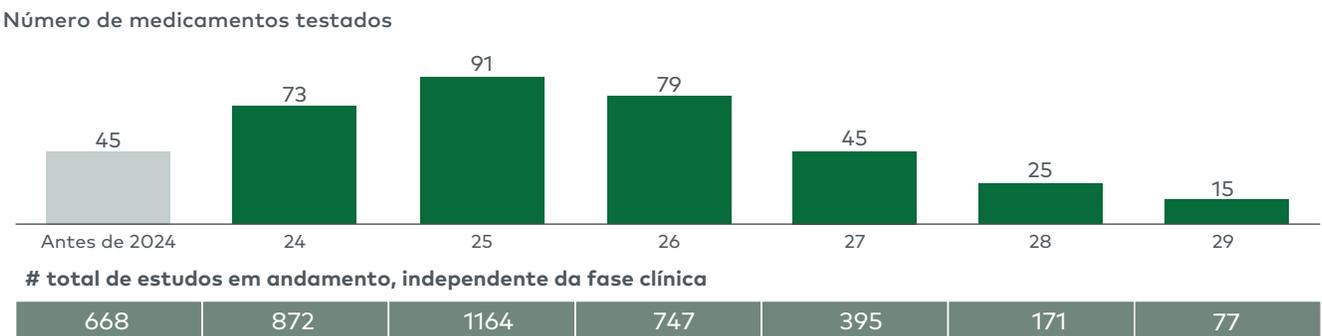
Estudos clínicos para doenças raras não oncológicas por via de administração, por ano de início (2014-24)



Fonte: Citeline (Trialtrove)

Figura 3

Medicamentos orais e subcutâneos em andamento na Fase III para doenças raras não oncológicas, por ano de conclusão esperado (2024)



Fonte: Citeline (Trialtrove, Pharmaprojects)

Desenvolvimento do arcabouço regulatório da saúde suplementar não acompanhou a evolução tecnológica

A saúde suplementar desempenha um papel fundamental no sistema de saúde brasileiro, atendendo mais de 50 milhões de beneficiários e cobrindo desde consultas e exames até tratamentos de alta complexidade. Regulamentado pela Lei nº 9.656/1998 [15], o setor passou a seguir diretrizes padronizadas para contratos e cobertura mínima obrigatória.

Antes da regulamentação, a falta de normas claras permitia exclusões arbitrárias de doenças, reajustes descontrolados e restrições rígidas a exames e consultas, comprometendo a previsibilidade para e o cuidado com os consumidores. A criação da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) trouxe maior controle e fiscalização, além de estabelecer um modelo de cobertura mínima para garantir maior estabilidade ao setor. Nesse contexto, a instituição do Plano Referência representou um avanço ao padronizar a cobertura ambulatorial e hospitalar, incluindo atendimentos preventivos, urgências e emergências, coibindo a comercialização de planos excessivamente restritivos.

Apesar desses avanços, algumas restrições ainda persistem. O Artigo 10, inciso VI excluiu da cobertura obrigatória os medicamentos para uso domiciliar – aqueles administrados por via oral ou subcutânea, quando de aplicação exclusiva domiciliar. Essa exclusão refletia o cenário tecnológico da época, em que medicamentos orais eram associados à baixa complexidade e a baixo custo. Contudo, os avanços na engenharia molecular, biofarmacotécnica e sistemas de liberação controlada possibilitaram a transição de medicamentos de alta complexidade para administração oral e subcutânea, eliminando a necessidade de infusões intravenosas em ambiente hospitalar.

No entanto, a regulamentação da saúde suplementar não acompanhou essa transição tecnológica, permanecendo estruturada sob a premissa de que medicamentos domiciliares não requerem cobertura obrigatória, desconsiderando sua equivalência terapêutica com tratamentos ambulatoriais e/ou hospitalares. Como resultado, a sociedade civil, em especial aquelas pessoas com doenças raras, encontra barreiras significativas para obter acesso as essas terapias

medicamentosas inovadoras, mesmo quando existem análogos intravenosos já contemplados nos planos de saúde.

A manutenção do arcabouço regulatório atual implicará em perda de acesso a terapias inovadoras

Se, no passado, as terapias medicamentosas mais inovadoras estavam majoritariamente restritas à via intravenosa, o avanço tecnológico e a crescente relevância das formulações orais e subcutâneas trazem novos desafios de acesso a médio e longo prazos.

A defasagem regulatória compromete progressivamente o acesso dos pacientes às terapias medicamentosas mais eficazes e seguras. Com a indústria farmacêutica priorizando a vias de administração mais simples em detrimento das infusões intravenosas, a ausência de cobertura para medicações orais e subcutâneas de uso exclusivo domiciliar limita as alternativas disponíveis. Sem uma atualização regulatória, as pessoas com doenças raras, que antes tinham o acesso garantido a tratamentos inovadores, enfrentarão barreiras crescentes para continuar seus cuidados.

“...se a gente não adequar a regulação à evolução tecnológica, vamos enfrentar uma perda progressiva de cobertura. O sistema precisa acompanhar as transformações do mercado, e não barrá-las...”

– Médico especialista em políticas de saúde

Além do impacto no acesso, a atual regulação privilegia um grupo de medicações e, conseqüentemente, impede que novas terapias medicamentosas, muitas vezes mais custo-efetivas, sejam incorporadas ao mercado privado, limitando, eventualmente, a concorrência. Ainda, sabemos que muitas vezes os custos das terapias cobertas tendem a permanecer elevados, impactando não apenas os pacientes, mas também operadoras e empregadores que arcam com os custos dos planos de saúde.

“...o problema não é a entrada de novas opções, mas quando as mudanças resultam na perda de cobertura para os pacientes. Garantir acesso contínuo aos tratamentos é fundamental para a estabilidade do sistema e a segurança dos pacientes...”

– Gestor com experiência em diversas operadoras de saúde

Nesse contexto, torna-se essencial debater o papel do cuidado domiciliar, dos tratamentos orais e subcutâneos e da evolução do arcabouço regulatório, garantindo que os pacientes continuem tendo acesso a tratamentos inovadores sem comprometer a sustentabilidade do sistema de saúde suplementar.

As tentativas de mudança no Congresso Nacional avançam lentamente

Apesar da urgência do tema, as iniciativas legislativas para atualizar a Lei nº 9.656/1998, expandindo a cobertura de medicamentos domiciliares para doenças raras, avançam lentamente. O PL 2.288/2023 [16], que inicialmente buscava incluir tratamentos domiciliares de uso oral para doenças raras nos planos de saúde privados, foi pensando ao PL 105/2022 [17]. O substitutivo aprovado na Comissão de Saúde incorporou essa cobertura, prevendo a inclusão desses tratamentos na assistência a pessoas com doenças raras e deficiências.

"...o que aconteceu com o PL 105/2022 foi juntar propostas completamente distintas—agruparam 16 projetos, incluindo questões que não têm relação direta, como restrições à rescisão de contratos. Agora, tudo está tramitando junto. Enquanto isso, o movimento em direção ao oral continua crescendo, e a ANS provavelmente será atropelada novamente. A sociedade já está fazendo esse movimento, mas, desta vez, parece que o PL vai avançar antes da agência. Não vejo um cenário onde a ANS consiga liderar essa mudança antes que o legislativo imponha uma decisão..."

– Advogado com experiência em regulação da saúde

A discussão sobre medicamentos domiciliares não se limita às doenças raras. O PL 4871/2023 [18], inicialmente pensado ao PL 2.288/2023, propõe a inclusão de medicamentos para doenças imunomediadas, como artrite reumatoide e psoríase. Atualmente, está pensando ao PL 105/2022, que incorporou as discussões sobre cobertura de tratamento domiciliares. Esse cenário demonstra que, à medida em que o debate sobre terapias domiciliares avança, novas áreas terapêuticas inevitavelmente entram na discussão, ampliando as pressões sobre o sistema de saúde suplementar.

"...quando falamos de tratamento domiciliar, abrimos um novo horizonte de possibilidades—e, com isso, surgem preocupações. Se começamos a cobrir medicamentos orais para algumas condições, o que acontece com os psiquiátricos e tarja preta? O seguro não vai pagar? E por quê? Qual é o critério que define quais medicamentos devem ser cobertos e quais não?..."

– Gestor com experiência em diversas operadoras de saúde

Além da fragmentação do debate legislativo, o ritmo do Congresso Nacional é incompatível com a velocidade da inovação científica. Novas terapias surgem em ciclos cada vez mais curtos, enquanto a legislação demora anos para ser atualizada. O resultado é um ambiente de incerteza regulatória e judicialização crescente, em que os pacientes dependem de decisões judiciais para obter acesso a tratamentos já disponíveis em outros países.

A inclusão de antineoplásicos orais na saúde suplementar estabelece um precedente regulatório valioso

A evolução da regulação dos medicamentos antineoplásicos orais na saúde suplementar demonstra que mudanças estruturadas e bem fundamentadas são possíveis. A aceitação do modelo domiciliar ocorreu de forma progressiva e coordenada, impulsionada pela mobilização da indústria e pelo amplo debate técnico. O avanço começou no setor público com a Lei nº 12.880/2013 [19], que viabilizou a quimioterapia oral domiciliar. Posteriormente, a ANS ampliou essa cobertura com a RN nº 387/2015 [20], tornando obrigatória a inclusão desses medicamentos nos planos de saúde. Esse movimento foi consolidado com a Lei nº 14.307/2022 [21], que passou a priorizar medicamentos orais aprovados pela Anvisa em relação às versões intravenosas, reforçando a importância da modernização regulatória.

Assim como no caso dos antineoplásicos, a inclusão de medicamentos orais e subcutâneos para o tratamento de doenças raras, na cobertura da saúde suplementar, dependerá de um processo estruturado, mobilização do setor e embasamento técnico robusto, viabilizando que mais pacientes possam se beneficiar de terapias inovadoras em ambiente domiciliar.

"...a experiência com o PL do câncer mostrou que a mudança regulatória só veio depois que o próprio mercado já havia evoluído. A indústria já havia sido mobilizada; foi feito um grande levantamento das novas terapias que estavam migrando do intravenoso para o oral. Quando a regulamentação veio, 70% do mercado já usava. Não foi uma imposição da agência regulatória, foi a consolidação de uma transformação já em curso. O mesmo caminho precisa ser seguido agora. A regulamentação deve acompanhar a evolução do pipeline e não travar o acesso. Não se trata de criar uma nova cobertura, mas de garantir que pacientes continuem recebendo os tratamentos mais modernos, substituindo infusões hospitalares por alternativas domiciliares quando elas já são uma realidade clínica. ..."

– Especialista em regulação e gestão de saúde

O caminho para mudanças passa por uma discussão ampla e colaborativa

Diante do impasse legislativo, a atualização regulatória por meio de Resoluções Normativas da ANS surge como um potencial caminho, permitindo uma adaptação mais ágil às necessidades do mercado e dos pacientes. No entanto, o debate sobre medicamentos domiciliares para doenças raras deve ir além da simples ampliação pontual do Rol, assegurando que os avanços científicos e tecnológicos sejam incorporados de forma estruturada e sustentável.

Para isso, é fundamental que a discussão envolva não apenas operadoras e reguladores, mas também centros especializados e sociedades médicas, que desempenham um papel essencial na definição de critérios técnicos para o uso adequado dessas terapias. Além disso, associações de pacientes e representantes da sociedade civil deveriam ser adicionados ao debate, garantindo que a regulamentação reflita não apenas interesses econômicos e clínicos, mas também as necessidades reais dos pacientes.

"...não sei se essa mudança vai acontecer via PL. Esse é o pior dos cenários—seguimos fazendo recortes, primeiro para medicação oral X, depois para medicação oral Y, e nenhum desses projetos realmente avança. Mas o mercado vai pressionar a ANS para essa decisão. Existe um movimento global chamado Moving Care Home, e o mundo está migrando para medicamentos autoaplicáveis. Esse movimento foi tão forte que até o FDA teve que se posicionar e criar regulações específicas. Aqui, vai acontecer a mesma coisa. A ANS vai precisar olhar para a regulação e entender como estruturar essa mudança. No fim, essa terá que ser uma decisão regulatória, não legislativa. O mercado vai apontar o caminho, e a ANS vai precisar agir. Projetos isolados não resolvem o problema..."

– Especialista em regulação e gestão de saúde

"...a dificuldade não é só convidar os stakeholders para a mesa – é garantir que eles realmente se engajem. Todos estão sobrecarregados e, se a mudança não for percebida como urgente, não será prioridade para ninguém..."

– Especialista em regulação e gestão de saúde

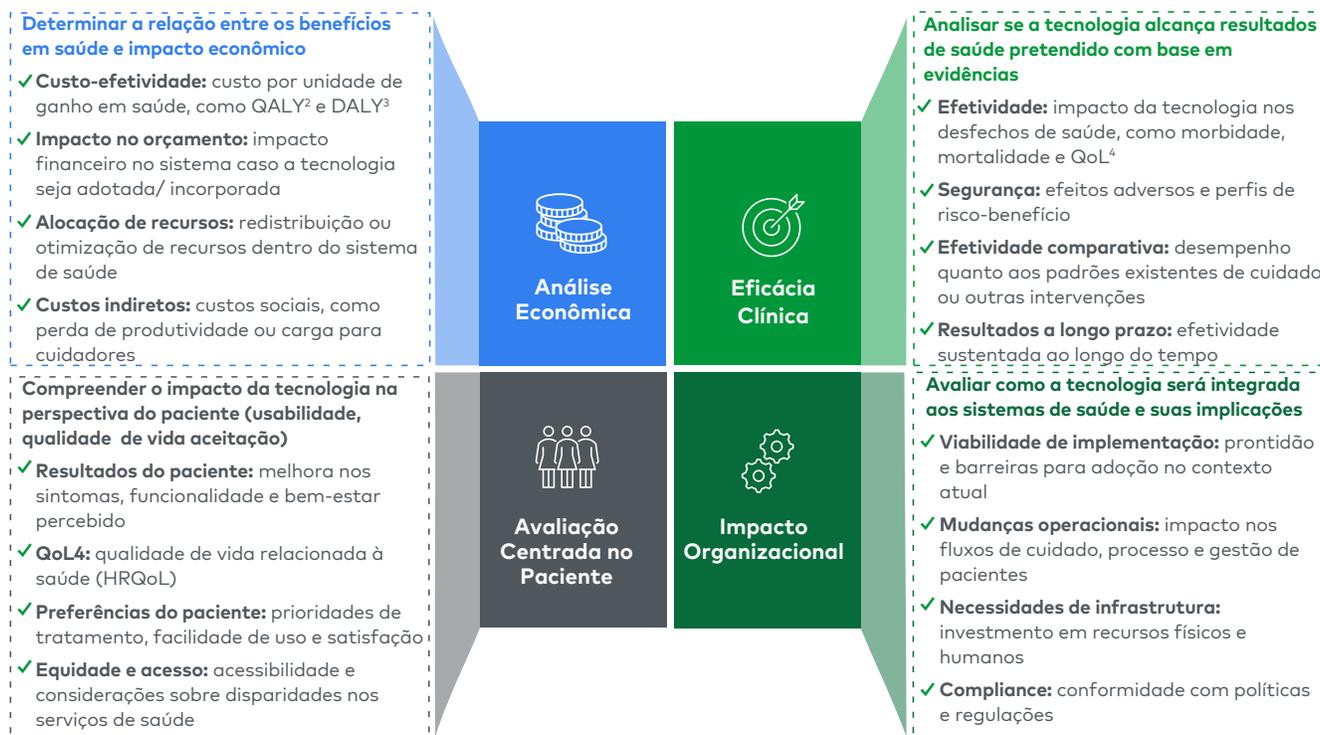
Diante desse cenário, surge a necessidade de estruturar grupos de trabalho funcionais focados em doenças raras, viabilizando um debate técnico aprofundado, baseado em evidências alinhado com as necessidades do setor. Entre as potenciais frentes a serem debatidas, três se destacam: (i) revisão das diretrizes para avaliação de novas tecnologias em saúde; (ii) estruturação do ambiente ideal para tratamento de cada doença; (iii) avaliação de alternativas para o financiamento de novas terapias.

Ampliação do processo e ATS na saúde suplementar - um mecanismo de custo-efetividade

A avaliação de tecnologias em saúde (ATS) é a principal ferramenta para garantir que novas terapias sejam incorporadas de maneira sustentável, pois permite avaliar as diferentes alternativas terapêuticas disponíveis para cada condição, considerando seus benefícios clínicos e econômicos, além dos impactos para o sistema e para os pacientes de forma integrada, independente da via de administração ou ambiente de administração (Figura 4).

Figura 4

Dimensões de ATS¹



Notas: 1) Health Technology Assessment; 2) Quality-Adjusted Life Year; 3) Disability-Adjusted Life Year; 4) Qualidade de vida
 Fonte: Pesquisas, entrevistas e análises L.E.K.

No entanto, o modelo atual de ATS na saúde suplementar é incompleto, pois não engloba a análise de medicamentos domiciliares, o que impede uma análise compreensiva das alternativas terapêuticas disponíveis, que poderiam, inclusive, gerar economias para o sistema.

"...na avaliação econômica dos dossiês de ATS para o Rol, qualquer comparativo é desconsiderado quando a tecnologia não está elegível. Talvez esse seja o ponto que precisa ser revisto. A RN no 555/2022 [dispõe sobre o rito processual de atualização do Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde] não possui um mecanismo para integrar uma análise concorrencial, o que limita a forma como essas novas tecnologias [orais e subcutâneas] são avaliadas..."

– Médico especialista em avaliação de tecnologias de saúde

Avaliações recentes da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) reforçam a importância da ATS, tanto em termos econômicos quanto de impacto para a sociedade civil. Entre 2019 e 2023, foram realizadas cerca de 450 análises, das quais 10% envolveram medicamentos orais e subcutâneos. Desses, 27% foram incorporados por benefícios financeiros, 33% por benefícios clínicos, mesmo com custos mais altos, e 41% tiveram recomendações negativas [22], evidenciando o rigor na análise do impacto clínico e econômico de cada terapia.

Para ilustrar o processo de decisão da Conitec, o risdiplam (oral) [23] e o isavuconazol (oral) [24] foram aprovados por benefícios financeiros, pois suas versões orais apresentaram menor custo total em comparação às alternativas que possuíam outras vias de administração. Já o mepolizumabe (subcutâneo) [25] e o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (oral) [26] foram incorporados com base em benefícios clínicos, apesar dos custos mais elevados. Por outro lado, o givosirana (subcutâneo) [27] e o lomitapide (oral) [28] não demonstraram custo-efetividade e, portanto, não foram incluídos.

"... a própria ATS da ANS focar apenas na versão infusional não faz sentido. Isso representa uma oportunidade perdida para que a sociedade assuma um papel mais ativo, avaliando todas as alternativas e garantindo credibilidade ao processo. No cenário atual, cada parte tenta se proteger, mas a ANS não limita tecnologias para restringir o acesso, e sim para manter o sistema sustentável. O setor privado opera como um clube de adesão voluntário, e foi eleita uma agência para definir critérios justos. Quando decisões individuais atropelam esse processo, a previsibilidade acaba..."

– Advogado com experiência em regulação da saúde

Como na Conitec, existe o potencial de ampliar o papel de ATS na saúde suplementar, garantindo que diferentes alternativas sejam avaliadas sob múltiplas lentes para determinar sua cobertura, independente da via de administração.

Ainda, sob a ótica de princípios microeconômicos, a aprovação de um maior número de terapias fortalece a concorrência, pressionando a redução de preços e ampliando o acesso. Nesse contexto, a ATS vai além da análise de custo-efetividade, assumindo um papel estratégico na construção de um modelo mais sustentável e eficiente para a incorporação de novas tecnologias.

Maior utilização de centros especializados - otimização das jornadas e da alocação de recursos

Para que os pacientes de doenças raras no país sejam acompanhados de forma eficaz, é essencial fortalecer a estrutura de diagnóstico no país, com medidas como: (i) a ampliação do acesso a centros de referência, garantindo que pacientes sejam diagnosticados precocemente e que as operadoras tenham clareza em relação à relevância do tratamento proposto, (ii) o fortalecimento da capacitação de médicos generalistas acelera a detecção de doenças raras e (iii) o incentivo à realização de exames genéticos, especialmente para doenças hereditárias, aprimorando a precisão diagnóstica e o direcionamento terapêutico.

"...não é só o tratamento. O maior problema estrutural das doenças raras é justamente a dificuldade de diagnóstico: a maior parte dos médicos não consegue identificar a condição. O paciente passa por múltiplos profissionais, rodando o sistema de saúde até que alguém consiga levantar essa hipótese. Nos centros especializados, a chance de diagnóstico é maior, mas ainda assim, há incerteza. Como a ANS pode legislar sobre algo que ainda não conseguimos diagnosticar de forma eficiente? Sem um diagnóstico precoce, não conseguimos utilizar adequadamente terapias de alto custo, e quando o paciente finalmente chega para ser tratado, muitas vezes já carrega sequelas irreversíveis. Discutir doenças raras exige olhar além do tratamento – é preciso repensar a formação médica e a estrutura do sistema..."

– Médico especialista em políticas de saúde

Além do diagnóstico, é fundamental expandir os centros especializados em cuidados, garantindo um acompanhamento contínuo e integrado para pacientes com doenças raras. Modelos inovadores de redes interligadas de atendimento integral demonstram o potencial de otimizar o acesso, acelerar o diagnóstico e garantir um tratamento especializado e coordenado. Esses centros de referência oferecem assistência ágil e multidisciplinar, destacando-se por uma abordagem abrangente

da jornada do paciente, avaliando cada etapa do manejo clínico conforme as especificidades de cada condição rara. Uma visão integrada permite não apenas a capacitação médica e a sensibilização para a detecção precoce, mas também a implementação de protocolos eficientes que maximizam a alocação de recursos, aprimoram os desfechos clínicos e reduzem significativamente os custos do cuidado.

O financiamento desses centros pode ser viabilizado por uma combinação de doações privadas, convênios com o SUS e acordos com operadoras de saúde. Doações provenientes de indivíduos e instituições representam uma fonte essencial para a manutenção das atividades. Convênios com o SUS permitem o atendimento de pacientes encaminhados pela rede pública, enquanto acordos com planos de saúde viabilizam o tratamento de beneficiários de operadoras conveniadas. A priorização do atendimento baseado em critérios técnicos e médicos garante equidade no acesso ao tratamento.

"...já temos atualmente casos de modelos eficientes no atendimento a pacientes com doenças raras, oferecendo diagnósticos em tempo recorde e a um custo reduzido de aproximadamente 3 mil reais por paciente ao mês. O atendimento é totalmente gratuito, viabilizado por meio de doações, garantindo acesso a quem precisa. Além disso, a estrutura conta com equipes multiprofissionais que discutem caso a caso de forma integrada, eliminando a necessidade de judicialização. No entanto, a falta de centros especializados em outras regiões do país ainda é um desafio, levando a um cenário onde muitas doenças raras são tratadas apenas em suas consequências, e não em sua causa...

– Líder de associação de pacientes com doenças raras

Ao consolidar uma rede especializada e interconectada, a expansão desses centros de referência não só amplia o acesso ao tratamento, mas também contribui para a sustentabilidade do sistema de saúde, reduzindo a fragmentação do atendimento e custos evitáveis, como hospitalizações prolongadas e terapias ineficazes. A adoção de estratégias centradas no paciente e na articulação entre múltiplos níveis de atenção representa um avanço essencial para viabilizar um modelo de cuidado mais acessível, eficiente e de maior qualidade para indivíduos com doenças raras, permitindo a incorporação de novas tecnologias sem aumento de custo para o sistema.

Novos modelos de financiamento – o papel do compartilhamento de riscos na saúde suplementar

O alto custo das novas terapias para doenças raras impõe desafios significativos para a saúde suplementar. Nos planos coletivos, as operadoras buscam equilibrar o risco assistencial ao atrair novos beneficiários, mas a inclusão de pacientes com doenças raras pode impactar a previsibilidade atuarial, especialmente em contratos com menor diluição de risco. Já nos planos individuais, a principal barreira está na limitação regulatória para reajustes, o que pode desencorajar a aceitação de novos beneficiários com alto custo potencial. Dessa forma, embora a responsabilidade pela sustentabilidade do sistema de saúde seja compartilhada entre diferentes atores, o risco financeiro das terapias medicamentosas para doenças raras está atualmente concentrado nas operadoras de saúde e, por consequência, nos beneficiários.

Para equilibrar a viabilidade financeira com a ampliação do acesso, o compartilhamento pode ser um tema essencial que poderia ser viabilizado por: (i) fundos coletivos entre operadoras; e (ii) modelos de contratos baseados em valor (*value-based contracts*) entre operadoras e farmacêuticas.

A estruturação de um fundo coletivo para doenças raras, financiado por todas as operadoras de saúde com contribuições proporcionais a critérios como receita, número de beneficiários ou outra métrica de porte, permitiria distribuir de forma equitativa o impacto financeiro dessas terapias. Esse mecanismo teria a função de distribuir o risco de doenças raras entre as operadoras.

"...o problema das doenças ultrarraras é particularmente relevante, pois muitas operadoras são pequenas e possuem menos de 20 mil vidas seguradas. Muitas vezes, essas empresas não enfrentam casos de doenças ultra raras, mas, se acontecerem, não há escala suficiente para garantir a cobertura. A criação de um fundo de compartilhamento ajudaria a viabilizar a cobertura, possibilitando um modelo mais sustentável..."

– Médico especialista em avaliação de tecnologias de saúde

Os modelos de contratos baseados em valor [29] transferem parte da responsabilidade pelo sucesso da terapia para as farmacêuticas que o desenvolveram, já que os pagamentos por medicamentos de alto custo são condicionados à demonstração de eficácia com base em critérios previamente estabelecidos. Nos Estados Unidos, por exemplo, de acordo com dados públicos, entre 2009 e 2022, foram firmados 80 acordos desse tipo com farmacêuticas, sendo nove destinados a medicamentos para doenças raras [30]. Para viabilizar essa abordagem, descontos são tipicamente usados para que farmacêuticas devolvam

recursos em forma de produtos, caso os medicamentos não alcancem os resultados esperados; contudo, é essencial definir métricas padronizadas para avaliação dos tratamentos e investir em infraestrutura adequada para monitorar os resultados.

No Brasil, o Ministério da Saúde estabeleceu um acordo de compartilhamento de risco em 2019 para a incorporação do nusinersena no SUS para Atrofia Muscula Espinhal (AME) tipos II e III, visando equilibrar custo, dar acesso e estabelecer a necessidade de coleta de dados de vida real. Porém, o acordo foi encerrado antes mesmo de sua implementação devido à ausência de regras contratuais específicas, falta de cláusulas de desempenho, e indefinição de critérios como valor mínimo e máximo do medicamento, elegibilidade dos pacientes e continuidade do compartilhamento de risco em caso de judicialização [31]. Em 2022, um novo acordo foi anunciado para a terapia gênica onasemnogeno abeparvoveque, com pagamentos condicionados à performance do medicamento; contudo, apesar do prazo de 180 dias para sua disponibilização no SUS já ter expirado, a terapia ainda não está acessível aos pacientes, refletindo os desafios da implementação de tais acordos.

"...a transparência é essencial para que esse modelo funcione. Precisamos de mais informações sobre os desfechos clínicos, como indicadores hospitalares e sobrevida. No câncer de mama, por exemplo, em um cenário a sobrevida pode ser de cinco anos, enquanto em outro pode ser de apenas um ano. Dados claros e bem estruturados podem mitigar a insegurança de quem toma as decisões e garantir que os tratamentos sejam realmente eficazes..."

– Gestor com experiência em diversas operadoras de saúde

É preciso agir agora enquanto construímos o futuro

Enquanto a regulamentação sobre terapias medicamentosas domiciliares avança, um possível caminho inicial para ampliar o acesso de forma estruturada poderia ser a incorporação de medicamentos orais e subcutâneos de uso exclusivo domiciliar para doenças raras que já possuem tratamentos cobertos na saúde suplementar. Esse modelo permitiria avaliar a transição de forma segura, sem criar um impacto desproporcional para operadoras de saúde, ao substituir terapias já previstas no Rol.

"...talvez um primeiro passo seja revisar como garantimos que as terapias que já têm tratamentos funcionais possam passar por um ATS mais ágil, considerando evidências de vida real e impacto econômico..."

– Médico especialista em políticas de saúde

Atualmente, das 87 drogas orais em Fase III para doenças raras, 23 são indicadas para 15 patologias que já possuem tratamentos aprovados na saúde suplementar [32]. Esse cenário representa uma oportunidade regulatória clara, pois, ao não viabilizar a cobertura dessas alternativas, pacientes podem ter seu acesso ao tratamento limitado ou recorrer à judicialização para garanti-lo, gerando custos imprevisíveis para as operadoras. Como essas doenças possuem poucas opções terapêuticas, caso um medicamento com melhor perfil de eficácia e de segurança esteja disponível, ele naturalmente será prescrito pelos médicos. Nesse contexto, estruturar um processo regulatório adequado para a incorporação dessas alternativas reduziria a fragmentação do acesso, evitaria litígios e garantiria maior previsibilidade financeira para o sistema de saúde suplementar, ao mesmo tempo em que ampliaria o acesso a tratamentos menos invasivos e mais alinhados à realidade dos pacientes.

"...se quisermos encontrar soluções sustentáveis, precisamos criar um projeto-piloto bem estruturado. Não podemos simplesmente defender direitos sem oferecer soluções concretas que funcionem para todos os lados..."

– Líder de associação de pacientes com doenças raras

Como o número de pacientes impactados é reduzido, a incorporação dessas alternativas representaria um impacto financeiro controlado para operadoras de saúde, ao mesmo tempo em que ampliaria o acesso a tratamentos menos invasivos e mais adequados à realidade dos pacientes. Esse modelo mitiga o incremento de risco das operadoras, pois substitui um tratamento já previsto, garantindo a continuidade do cuidado e permitindo uma transição segura baseada em evidências. Além disso, esse modelo fomenta uma maior concorrência entre medicamentos, possivelmente reduzindo preços.

"...se estamos falando de substituição, não se trata de um dinheiro novo. A operadora já paga por esse tratamento, já incorporou esse risco. O que muda é o formato, e se a ATS for clara, há segurança para essa transição. O que a operadora quer é reduzir custos e priorizar os temas certos. Se uma alternativa domiciliar substitui a intravenosa com eficácia comprovada, ela deveria ser coberta imediatamente..."

– Gestor com experiência em diversas operadoras de saúde

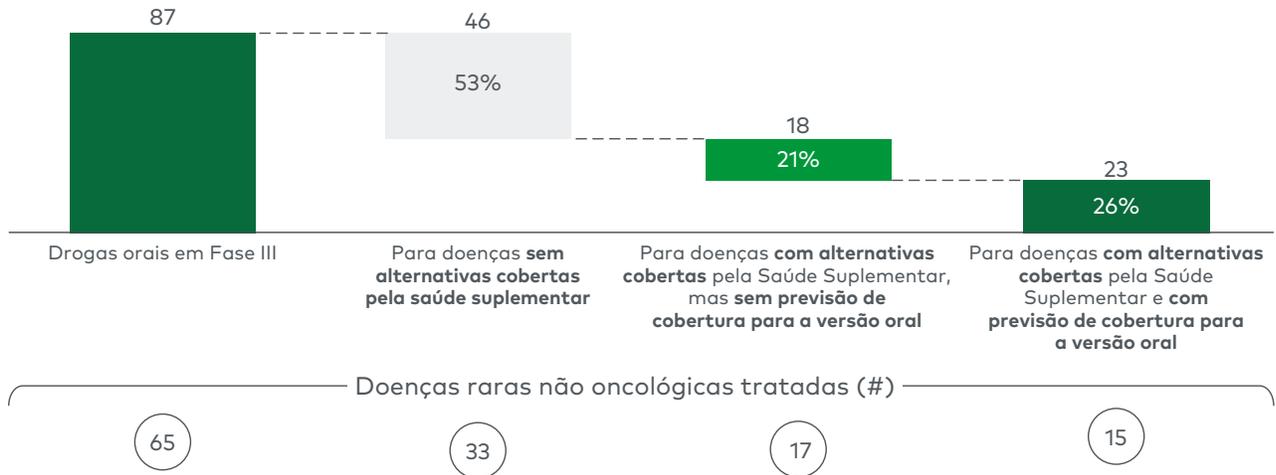
Sem um modelo regulatório adequado, essas novas terapias correm o risco de permanecer inacessíveis, mantendo os pacientes dependentes de tratamentos mais onerosos e em ambiente hospitalar, mesmo quando há alternativas viáveis. Algumas doenças, como doença de Gaucher, esclerose lateral amiotrófica, psoríase eritrodérmica, e hipertensão pulmonar, já possuem formulações orais avançadas em desenvolvimento, com potencial para substituir as infusões atualmente utilizadas **(Figura 5)**.

A criação de um sandbox regulatório, alavancando propostas recentes da ANS, poderia ser uma alternativa viável para o setor testar e analisar a viabilidade de se considerar a incorporação de medicamentos de uso domiciliar de forma mais sistemática no processo de ATS. Esse modelo permitiria avaliar os impactos clínicos, econômicos e operacionais dessas terapias dentro de um ambiente controlado, possibilitando ajustes antes de uma adoção mais ampla. Ao garantir previsibilidade regulatória e embasar decisões com evidências de vida real, o setor pode avançar na modernização do acesso, sem comprometer a sustentabilidade do sistema, criando uma base sólida para futuras expansões regulatórias.

Figura 5

Drogas orais em Fase III, por status de aprovação de intravenosos e cobertura pela saúde suplementar (2025)

Número de drogas orais



Fonte: Pesquisas, entrevistas e análises L.E.K.

Conclusão e próximos passos

A incorporação de terapias domiciliares na saúde suplementar é uma evolução necessária para garantir acesso contínuo a tratamentos inovadores sem comprometer a sustentabilidade do sistema. A exclusão de medicamentos orais e subcutâneos de uso exclusivamente domiciliar da cobertura obrigatória já não condiz com os avanços científicos e tecnológicos, criando barreiras danosas para pacientes que poderiam se beneficiar de opções mais acessíveis e menos invasivas. A discussão não deve se limitar à ampliação indiscriminada da cobertura, mas sim à construção de um modelo de cuidado especializado, com um arcabouço regulatório mais dinâmico e novas abordagens de financiamento. A experiência internacional já demonstrou que a modernização da regulação não apenas melhora o acesso, mas também permite uma alocação mais eficiente de recursos, reduzindo custos sistêmicos e otimizando a gestão do cuidado.

Contudo, a transição para um novo modelo de cuidado é lenta, o que pode resultar na perda de cobertura de terapias medicamentosas inovadoras, inclusive para pacientes já em tratamento. Nesse sentido, é fundamental adotar medidas de curto prazo enquanto se constrói um modelo mais abrangente. Um primeiro passo viável seria priorizar a avaliação de alternativas domiciliares para doenças que já contam com tratamentos cobertos pelo Rol da ANS. Esse enfoque reduz riscos para operadoras de saúde, preserva a previsibilidade regulatória e permite uma transição gradual e segura para modelos mais modernos de cuidado. Além disso, ao garantir que pacientes em tratamento não sejam prejudicados pela defasagem regulatória, a saúde suplementar pode evoluir de forma sustentável, acompanhando a inovação, sem gerar impactos desproporcionais para o equilíbrio financeiro do sistema.

A construção de um novo olhar para pacientes de doenças raras é crítica. Primeiramente, sob o ponto de vista assistencial, é prioridade assegurar que esses pacientes tenham acesso ao que há de mais avançado. Mas um novo olhar também é crucial sob o ponto de vista econômico, dada a necessidade de viabilizar um modelo de financiamento que seja sustentável para o sistema suplementar. Para isso, um debate amplo e estruturado entre reguladores, entidades médicas, operadoras de planos de saúde, indústria farmacêutica e sociedade civil é essencial para viabilizar um arcabouço regulatório mais eficiente, alinhando eficácia clínica e sustentabilidade econômica.

Referências Bibliográficas

- ¹**AMERICAN JOURNAL OF MANAGED CARE.** The hidden costs of moving care home. *American Journal of Managed Care*, 2023. Disponível em: <https://www.ajmc.com/view/the-hidden-costs-of-moving-care-home>. Acesso em: **3 fev. 2025**.
- ²**MUSSI, C. M.; et al.** Visita domiciliar melhora conhecimento, autocuidado e adesão na insuficiência cardíaca: ensaio clínico randomizado HELEN-I. *Revista Latino-Americana de Enfermagem*, Ribeirão Preto, v. 21, esp., p. [09 telas], jan./fev. 2013. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/rlae/a/P49LDKvRgjZpKFyYkfYrBXG/?format=pdf&lang=pt>. Acesso em: **7 fev. 2025**.
- ³**CONSELHO FEDERAL DE ENFERMAGEM.** ICN declara escassez de trabalhadores da enfermagem como emergência global. 2024. Disponível em: <https://www.cofen.gov.br/icn-declara-escassez-de-trabalhadores-da-enfermagem-como-emergencia-global/>. Acesso em: 5 fev. 2025.
- ⁴**CARVALHO, D. R.; GUERRA, V. N.; OLIVEIRA, R. M. A.** A estratégia de home care para redução de custos de internação hospitalar: o caso de uma operadora de plano de saúde. In: CONGRESSO INTERNACIONAL DE CUSTOS, 18.; CONGRESSO BRASILEIRO DE CUSTOS, 30., 2023, Natal. *Associação Brasileira de Custos*, 2023. Disponível em: <https://anaiscbc.emnuvens.com.br/anais/article/download/5068/5080/5219>. Acesso em: **12 fev. 2025**.
- ⁵**CAFFAREL-SALVADOR, E.; ABRAMSON, A.; LANGER, R.; TRAVERSO, G.** Oral delivery of biologics using drug-device combinations. *Current Opinion in Pharmacology*, v. 36, p. 8-13, out. 2017. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.coph.2017.07.003>. Acesso em: **10 fev. 2025**.
- ⁶**MSD MANUALS.** Absorção de fármacos. *Manual MSD para Profissionais de Saúde*, 2024. Disponível em: <https://www.msdmanuals.com/pt/profissional/farmacologia-cl%C3%ADnica/farmacocin%C3%A9tica/absor%C3%A7%C3%A3o-de-f%C3%A1rmacos>. Acesso em: **5 fev. 2025**.
- ⁷**THE PHARMACEUTICAL JOURNAL.** Recent advances in the oral delivery of biologics. *The Pharmaceutical Journal*, 2019. Disponível em: <https://pharmaceutical-journal.com/article/research/recent-advances-in-the-oral-delivery-of-biologics>. Acesso em: **1 fev. 2025**.
- ⁸**SHUGARTS, S.; BENET, L. Z.** The role of transporters in the pharmacokinetics of orally administered drugs. *Pharmaceutical Research*, v. 26, n. 9, p. 2039-2054, 2009. DOI: <https://doi.org/10.1007/s11095-009-9920-0>. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/19568696/>. Acesso em: **8 fev. 2025**.
- ⁹**HOMAYUN, B.; LIN, X.; CHOI, H. J.** Challenges and recent progress in oral drug delivery systems for biopharmaceuticals. *Pharmaceutics*, v. 11, n. 3, p. 129, 2019. Disponível em: <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6471246/>. Acesso em: **11 fev. 2025**.
- ¹⁰**BIRNER, S.** The advent of new oral chemotherapy agents. *Clinical Journal of Oncology Nursing*, v. 7, n. 6, p. 5-9, 2003. Disponível em: <https://www.ons.org/pubs/article/3021/preview-download>. Acesso em: **6 fev. 2025**.
- ¹¹**ORGANIZAÇÃO MUNDIAL DA SAÚDE.** Doenças Raras. Disponível em: <https://www.who.int/standards/classifications/frequently-asked-questions/rare-diseases>. Acesso em: **14 fev. 2025**.
- ¹²**BRASIL. Ministério da Saúde.** Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Dispõe sobre a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS. *Diário Oficial da União: seção 1*, Brasília, DF, 31 jan. 2014. Disponível em: https://bvms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html. Acesso em: **9 fev. 2025**.
- ¹³**WITT, S.; et al.** Living with a rare disease – experiences and needs in pediatric patients and their parents. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 18, n. 242, 2023. Disponível em: <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-023-02837-9>. Acesso em: **13 fev. 2025**.
- ¹⁴**CGM Advogados. ANVISA: Registro de medicamentos para doenças raras – Alteração RDC 205/2017.** 2023. Disponível em: <https://cgmadv.com/anvisa-registro-de-medicamentos-para-doencas-raras-alteracao-rdc-205-2017/>. Acesso em: **6 mar. 2025**.
- ¹⁵**BRASIL.** Lei nº 9.656, de 3 de junho de 1998. Dispõe sobre os planos e seguros privados de assistência à saúde. *Diário Oficial da União: seção 1*, Brasília, DF, 4 jun. 1998. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/19656.htm. Acesso em: **7 fev. 2025**.
- ¹⁶**BRASIL.** Projeto de Lei nº 2.288, de 2023. Altera a Lei nº 9.656, de 3 de junho de 1998, para dispor sobre a cobertura de medicamentos de uso oral para doenças raras pelos planos de saúde. *Câmara dos Deputados*, Brasília, DF, 2023. Disponível em: <https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/fichadetramitacao?idProposicao=2359271>. Acesso em: **5 fev. 2025**.
- ¹⁷**BRASIL.** Projeto de Lei do Senado nº 133, de 2020. Altera a Lei nº 9.656, de 3 de junho de 1998, para dispor sobre a cobertura de medicamentos e serviços produzidos no Brasil pelos planos de saúde. *Senado Federal*, Brasília, DF, 2020. Disponível em: <https://www25.senado.leg.br/web/atividade/materias/-/materia/154298>. Acesso em: **3 fev. 2025**.
- ¹⁸**BRASIL.** Projeto de Lei nº 3.079, de 2023. Dispõe sobre [descrever brevemente o conteúdo do projeto, se necessário]. *Câmara dos Deputados*, Brasília, DF, 2023. Disponível em: <https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/fichadetramitacao?idProposicao=2394360>. Acesso em: **7 fev. 2025**.

- ¹⁹**BRASIL.** Lei nº 12.880, de 12 de novembro de 2013. Altera a Lei nº 9.656, de 3 de junho de 1998, para dispor sobre a cobertura obrigatória de tratamento de câncer pelos planos de saúde. *Diário Oficial da União: seção 1*, Brasília, DF, 13 nov. 2013. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2013/lei/l12880.htm. Acesso em: **10 fev. 2025**.
- ²⁰**AGÊNCIA NACIONAL DE SAÚDE SUPLEMENTAR (Brasil).** Resolução Normativa nº 387, de 28 de outubro de 2015. Dispõe sobre a cobertura de procedimentos pelos planos de saúde e estabelece diretrizes para a incorporação de novas tecnologias. *Diário Oficial da União: seção 1*, Brasília, DF, 29 out. 2015. Disponível em: https://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/ans/2015/res0387_28_10_2015.html. Acesso em: **12 fev. 2025**.
- ²¹**BRASIL.** Lei nº 14.307, de 3 de março de 2022. Altera a Lei nº 9.656, de 3 de junho de 1998, para dispor sobre a cobertura obrigatória de medicamentos orais contra o câncer pelos planos de saúde. *Diário Oficial da União: seção 1*, Brasília, DF, 4 mar. 2022. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2022/lei/l14307.htm. Acesso em: **5 fev. 2025**.
- ²²**BRASIL.** Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec). Avaliação de Tecnologias em Saúde. *Ministério da Saúde*, Brasília, DF. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude>. Acesso em: **9 fev. 2025**.
- ²³**INSTITUTO NACIONAL DE ATENÇÃO MULTIDISCIPLINAR ÀS ENFERMIDADES RARAS (INAME).** Risdipam é aprovado pelo FDA. 2020. Disponível em: <https://iname.org.br/risdiplam-e-aprovado-pelo-fda/#:-:text=No%20m%C3%AAs%20de%20conscientiza%C3%A7%C3%A3o%20da,crian%C3%A7as%20maiores%20de%202%20meses>. Acesso em: **8 fev. 2025**.
- ²⁴**ZHOU, Q.; GIRI, P. K.; NELSON, R. et al.** Oral small-molecule drugs for spinal muscular atrophy: Advances, challenges, and future directions. *Frontiers in Pharmacology*, v. 12, 2021. Disponível em: <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8145181/>. Acesso em: **9 fev. 2025**.
- ²⁵**AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA).** Aprovado medicamento inédito para asma. 2017. Disponível em: [https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2017/aprovado-medicamento-inedito-para-asma#:-:text=Um%20novo%20tratamento%20para%20a,feira%20\(21%2F8\)](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2017/aprovado-medicamento-inedito-para-asma#:-:text=Um%20novo%20tratamento%20para%20a,feira%20(21%2F8)). Acesso em: **10 fev. 2025**.
- ²⁶**GRUPO BRASILEIRO DE ESTUDOS EM FIBROSE CÍSTICA (GBEFC).** FDA aprova medicamento para tratar mutação mais comum da fibrose cística. 2023. Disponível em: <https://portalgbecf.org.br/site/pagina.php?idpai=9&id=237#:-:text=A%20Food%20and%20Drug%20Administration,mais%20comum%20da%20fibrose%20c%C3%ADstica>. Acesso em: **7 fev. 2025**.
- ²⁷**TRIBUNAL REGIONAL FEDERAL DA 3ª REGIÃO (TRF3).** Nota Técnica sobre Givosirana para coproporfiria hereditária. *NATJUS*, 2021. Disponível em: https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas_tecnicas/NT_Givosirana-Coproporfiria_hereditaria_02-03-21.pdf. Acesso em: **6 fev. 2025**.
- ²⁸**NATIONAL CENTER FOR BIOTECHNOLOGY INFORMATION (NCBI).** Givosiran. *StatPearls Publishing*, 2020. Disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK560849/>. Acesso em: **12 fev. 2025**.
- ²⁹**L.E.K. CONSULTING.** How value-based contracts bring value to biopharma. Disponível em: <https://www.lek.com/insights/ei/how-value-based-contracts-bring-value-biopharma>. Acesso em: **6 fev. 2025**.
- ³⁰**FOR HEALTH CONSULTING.** Explorando a tendência de contratos baseados em valor nos Estados Unidos. 2024. Disponível em: <https://forhealthconsulting.umassmed.edu/exploring-the-trend-of-value-based-contracts-in-the-united-states/>. Acesso em: **12 fev. 2025**.
- ³¹**SILVA, A. L. da; SANTOS, B. F. dos; PEREIRA, C. R.** Implementação de modelos de compartilhamento de risco (risk sharing) no acesso ao tratamento de doenças raras: uma revisão integrativa. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 25, n. 9, p. 3817-3828, 2020. Disponível em: <https://cienciaesaudecoletiva.com.br/artigos/implementacao-de-modelos-de-compartilhamento-de-risco-risk-sharing-no-acesso-ao-tratamento-de-doencas-raras-uma-revisao-integrativa/19485>. Acesso em: **14 fev. 2025**.
- ³²**AGÊNCIA NACIONAL DE SAÚDE SUPLEMENTAR (ANS).** Atualização do rol de procedimentos. Disponível em: <https://www.gov.br/ans/pt-br/acesso-a-informacao/participacao-da-sociedade/atualizacao-do-rol-de-procedimentos>. Acesso em: **25 fev. 2025**.



Material destinado ao público brasileiro em geral.
Este material não tem a finalidade de condicionar a prescrição, uso, promoção, venda, recomendação, indicação ou endosso de nenhum produto Roche ou qualquer concessão de benefício à Roche. Direitos reservados – é proibida a reprodução total ou parcial sem solicitação prévia de Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos.

M-BR-00019761 Junho/2025

Serviço de Informações Roche



0800 • 7720 • 289

www.roche.com.br



LEKTM