



LISBON
SCHOOL OF
ECONOMICS &
MANAGEMENT
UNIVERSIDADE DE LISBOA

MESTRADO
ECONOMIA E POLÍTICAS PÚBLICAS

TRABALHO FINAL DE MESTRADO

DISSERTAÇÃO

A DISPONIBILIDADE DE INFORMAÇÃO PARA A
REALIZAÇÃO DE ESTUDOS DE IMPACTO ORÇAMENTAL
DAS TECNOLOGIAS DE SAÚDE EM PORTUGAL. O
CASO DO CONTROLO DE GLICEMIA NA DIABETES.

ANA CLÁUDIA DIAS GOMEZ

dezembro – 2020



LISBON
SCHOOL OF
ECONOMICS &
MANAGEMENT
UNIVERSIDADE DE LISBOA

MESTRADO EM ECONOMIA E POLÍTICAS PÚBLICAS

TRABALHO FINAL DE MESTRADO DISSERTAÇÃO

A DISPONIBILIDADE DE INFORMAÇÃO PARA A
REALIZAÇÃO DE ESTUDOS DE IMPACTO ORÇAMENTAL
DAS TECNOLOGIAS DE SAÚDE EM PORTUGAL. O
CASO DO CONTROLO DE GLICEMIA NA DIABETES.

ANA CLÁUDIA DIAS GOMEZ

ORIENTAÇÃO:

PROFESSOR DOUTOR CARLOS GOUVEIA PINTO

dezembro - 2020

“An ounce of prevention is worth a pound of cure”
Benjamin Franklim

GLOSSÁRIO

ACB – Análise de Custo-Benefício

ACE – Análise de Custo-Efetividade

ACU – Análise de Custo-Utilidade

AETS – Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde

AIO – Análise de Impacto Orçamental

APDP – Associação Protetora dos Diabéticos de Portugal

AVC – Acidente Vascular Cerebral

CSP – Cuidados de Saúde Primários

DGS – Direção-Geral de Saúde

DiV – Diagnóstico *in Vitro*

EAM – Enfarte Agudo do Miocárdio

GDH – Grupos de Diagnóstico Homogéneo

INE – Instituto Nacional de Estatística

INFARMED, I.P. – Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I.P.

NHS – *National Health Service*

NICE – *National Institute for Health and Care Excellence*

OCDE – Organização para a Cooperação e Desenvolvimento Económico

OM – Orientações Metodológicas

OMS – Organização Mundial de Saúde

PND – Programa Nacional para a Diabetes 2019

SNS – Sistema Nacional de Saúde

RESUMO

A presente dissertação estuda a disponibilidade de dados em Portugal acerca do controlo de glicemia na Diabetes para elaboração de uma análise de impacto orçamental, tendo como base um estudo similar realizado no Reino Unido. A revisão de literatura abrange os principais conceitos da avaliação económica em saúde, assim como uma análise às orientações metodológicas para elaboração de estudos de impacto orçamental em Portugal e no Reino Unido e uma apresentação da patologia e principais complicações associadas. A análise empírica teve como base os documentos disponibilizados pelas entidades de saúde portuguesas e outros estudos realizados acerca do tema. Os resultados permitem aferir o impacto da prevenção na patologia em questão, representando poupanças futuras ao SNS. Contudo, as lacunas nos dados existentes que inviabilizam a realização de uma análise de impacto orçamental rigorosa.

PALAVRAS CHAVES: DIABETES, AVALIAÇÃO ECONÓMICA, TECNOLOGIAS DE SAÚDE, ANÁLISE DE IMPACTO ORÇAMENTAL, PREVENÇÃO

ABSTRACT

This dissertation studies the availability of data in Portugal on the control of glycaemia in Diabetes for the preparation of an analysis of budgetary impact, based on a similar study carried out in the United Kingdom. The literature review covers the main concepts of health economic assessment as well as an analysis of the methodological guidelines for budget impact studies in Portugal and in the United Kingdom and a description of the pathology and main associated complications. The empirical analysis was based on documents available from the Portuguese health authorities and other studies conducted on the subject. The results allow measuring the impact of prevention on this disease, representing future savings for the SNS. However, the gaps in existing data make it impossible to conduct a rigorous budget impact analysis.

KEYWORDS: DIABETES, ECONOMIC EVALUATION, HEALTH TECNOLOGIES, BUDGET IMPACT ANALYSIS, PREVENTION

ÍNDICE

GLOSSÁRIO.....	II
RESUMO.....	III
ÍNDICE.....	IV
ÍNDICE DE QUADROS	V
AGRADECIMENTOS	VI
INTRODUÇÃO.....	1
1. AVALIAÇÃO ECONÓMICA EM SAÚDE.....	4
1.1 COMPARAÇÃO DE ALTERNATIVAS TERAPÊUTICAS NA ANÁLISE ECONÓMICA.....	4
1.2 TÉCNICAS DE ANÁLISE NA AVALIAÇÃO ECONÓMICA.....	5
2. METODOLOGIA PARA APRESENTAÇÃO DE ESTUDOS DE ANÁLISE DE IMPACTO ORÇAMENTAL NA SAÚDE	9
2.1 ANÁLISE COMPARATIVA ENTRE AS ORIENTAÇÕES METODOLÓGICAS EM PORTUGAL E EM INGLATERRA	13
2.2. A DIABETES.....	17
3. O CONTROLO DA GLICEMIA DA DIABETES	20
3.1 O IMPACTO ORÇAMENTAL DO CONTROLO DE GLICEMIA NO REINO UNIDO.....	20
3.2 DADOS REFERENTES À DIABETES NECESSÁRIOS PARA ANÁLISE DE IMPACTO ORÇAMENTAL EM PORTUGAL	24
4. DISCUSSÃO	29
PERSPETIVAS DE TRABALHO FUTURO	33
CONTRIBUIÇÕES PARA A POLÍTICA DE SAÚDE.....	33
CONCLUSÃO.....	34

ÍNDICE DE QUADROS

QUADRO I - Divisão de Subgrupos no estudo de Baxter et al. (2016)	22
---	----

AGRADECIMENTOS

Em primeiro lugar, ao Professor Carlos Gouveia Pinto, pela sua orientação, disponibilidade, pelas opiniões, colaboração e saber que me transmitiu ao longo da realização desta dissertação.

À minha família, especialmente aos meus pais, que sempre me deram força e incentivaram a enfrentar todos os desafios.

Por último, aos meus amigos e colegas por toda a motivação e apoio durante esta fase.

INTRODUÇÃO

Em Portugal, o primeiro estudo de avaliação económica em saúde surgiu na década de 80, na área de medicamentos. Em 1998, estes estudos tornaram-se requisito obrigatório para pedidos de comparticipação de medicamentos de ambulatório, através do Decreto-Lei n.º 305/98, de 7 de outubro. No ano seguinte, Portugal foi um dos primeiros países da Europa a publicar Orientações Metodológicas (OM) oficiais para a sua realização, através do Despacho n.º 19064/99, de 9 de setembro do Ministério da Saúde. Em 2006, tornaram-se requisito obrigatório também para os medicamentos de prescrição hospitalar, através do Decreto-Lei 95/2006, de 3 de outubro (Inês *et al.*, 2014; Perelman *et al.*, 2019). Em 2015, através do Decreto-Lei 97/2015, de 1 de junho, o âmbito da avaliação económica passa a abranger todas as tecnologias de saúde¹, nomeadamente os dispositivos médicos. Refere o mesmo Decreto-Lei que a comparticipação de uma tecnologia de saúde pelo Serviço Nacional de Saúde (SNS) depende dos seus valores acrescentados terapêutico e económico, clarificando que o financiamento do Estado é apenas aprovado consoante o deferimento da avaliação económica de uma tecnologia de saúde.

Aquando do 20º aniversário da sua primeira publicação, as OM para estudos de avaliação económica de medicamentos, foram alvo de revisão, atendendo aos avanços entretanto ocorridos na metodologia e ao crescente custo das tecnologias disponíveis, o seu âmbito foi alargado para a Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde (AETS). Assim, as alterações definidas pela Portaria 391/2019, de 30 de outubro, introduziram a Análise de Impacto Orçamental (AIO) como requisito obrigatório da EATS. Até 2019, a AIO apenas era mencionada no anexo das OM de 1998. Assim, a AIO torna-se fundamental na medida em que contempla as consequências financeiras da adoção da nova tecnologia ou intervenção (Perelman *et al.*, 2019). É composta pela análise dos custos incrementais, tendo em conta a comparação entre a prática clínica corrente e a tecnologia de saúde em estudo. Com efeito, é uma ferramenta fundamental para o decisor, que é geralmente também o financiador da tecnologia de saúde (Mauskopf and Earnshaw, 2016).

Segundo a Organização Mundial de Saúde (OMS) (2016), a Diabetes de Mellitus, ou simplesmente a Diabetes, é uma doença de saúde pública que deve ser tida como prioritária na gestão do sistema de saúde. A sua prevalência a nível mundial é estimada

¹ Tecnologia de saúde é o termo utilizado para definir um medicamento, dispositivo médico, vacina ou procedimento com vista a resolver um problema de saúde e melhorar a qualidade de vida (WHO, 2007).

em 8,5% na população adulta, sendo a causa de cerca de 1,5 milhões de mortes em 2012. Acresce ainda, cerca de 2,2 milhões de mortes adicionais motivadas pelas complicações da doença. É ainda referido o elevado impacto económico da doença para o doente e respetiva família e para o sistema de saúde. Este impacto deve-se sobretudo aos custos dos cuidados médicos hospitalares e de ambulatório e a perda de produtividade. O diagnóstico precoce da doença, assim como o controlo dos níveis de glicemia, entre outros fatores, são fundamentais para prevenir as futuras complicações da doença.

No conjunto de países europeus da Organização para a Cooperação e Desenvolvimento Económico (OCDE), Portugal regista o primeiro lugar relativamente à prevalência da Diabetes e o quarto lugar no total dos países membros desta organização. Esta é uma patologia crónica que atinge cerca de um milhão de portugueses e que representa um risco acrescido de desenvolvimento de outras doenças (OCDE, 2019a). Segundo o Instituto Nacional de Estatística - INE (2019), a Diabetes foi a terceira causa de morte em Portugal, responsável por 3,8% dos óbitos ocorridos. Com efeito, são estimados que no mesmo ano se tenham perdido cerca de 4084 anos potenciais de vida (DGS, 2020). Revela-se assim, imperativo melhorar as estratégias de prevenção e diagnóstico precoce da diabetes.

Baxter et al. (2016) desenvolveram um estudo sobre o impacto orçamental da melhor gestão dos níveis de glicemia na população diabética no Reino Unido. Os resultados apurados ascenderam a 336 milhões de libras em cinco anos. O controlo da glicemia é um dos parâmetros de controlo da doença que permite o diagnóstico precoce de complicações associadas, e conseqüentemente a diminuição dos internamentos. Em 2016, o Observatório Nacional da Diabetes estimou que o custo direto da Diabetes em Portugal, no ano de 2015, ascendeu aos 1 300 milhões de euros, representando, aproximadamente, 10% da despesa em saúde e cerca de 1% do PIB Português. Assim, a realização de um estudo similar tem importância acrescida dado a carga da doença e as restrições orçamentais decorrentes da situação financeira do país.

O presente trabalho tem como objetivo averiguar a disponibilidade de dados para a realização de um estudo similar ao de Baxter *et al.* (2016) em Portugal, através da análise dos documentos e dados disponibilizados pelas entidades de saúde em Portugal.

O primeiro capítulo aborda a avaliação económica em saúde, descrevendo o contexto da comparação de alternativas terapêuticas e os seus principais conceitos. Estes são

fundamentais, uma vez que devem ser compreendidos para uma melhor perceção do estudo de impacto orçamental descrito posteriormente.

No segundo capítulo será realizada uma revisão de literatura acerca das orientações metodológicas para elaboração de uma AIO. De seguida serão apresentadas as OM adotadas em Portugal e no Reino Unido para a submissão de uma AIO ao decisor, de forma a comparar os requisitos exigidos para a sua realização nos dois países e enquadrar o estudo de Baxter *et al.* (2016).

No terceiro capítulo, será realizada a análise do estudo de Baxter *et al.* (2016), com o objetivo de compreender a metodologia seguida pelos autores e os dados requeridos. Por fim serão discutidos os dados existentes em Portugal com relevância para a elaboração da AIO, através de uma análise aos documentos e dados disponíveis, comparando os que são requeridos para a sua concretização.

Por último, será apresentada a discussão na qual serão descritas as limitações encontradas ao longo do trabalho, bem como o que poderá ser realizado para uma melhor abordagem ao tema.

1. AVALIAÇÃO ECONÓMICA EM SAÚDE

1.1 COMPARAÇÃO DE ALTERNATIVAS TERAPÊUTICAS NA ANÁLISE ECONÓMICA

No setor da saúde, com o crescimento de conhecimento científico, investigação farmacêutica e especialização dos profissionais de saúde, o leque de alternativas disponíveis para um determinado procedimento médico tem vindo também a aumentar (Drummond *et al.*, 2015). A par do crescente número de alternativas verifica-se também uma maior pressão demográfica devido ao envelhecimento da população em geral, o que, por sua vez, induz um aumento da pressão nos orçamentos públicos e maiores desafios ao orçamento da saúde, em particular. É neste seguimento que surge a necessidade de realizar escolhas mais eficientes na área da saúde a nível governamental, surgindo, assim a Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde (AETS) (Tordrup, Angelis and Kanavos, 2013). Esta é definida por Drummond *et al.* (2015) como uma análise comparativa entre diferentes cursos de ação alternativos em termos de custos e consequências para a saúde.

O objetivo da AETS consiste em informar acerca das alternativas de ação disponíveis que devem ser recomendadas, aprovadas para uso generalizado ou comparticipadas para grupos específicos de pacientes. A AETS poderá, ainda, ser usada de forma a identificar o preço máximo que um sistema de saúde está disposto a pagar e qual o preço que deve ser apresentado conforme os subgrupos de pacientes que podem beneficiar dele. As alternativas devem ser mutuamente exclusivas, ou seja, para a condição do paciente só uma das alternativas pode ser escolhida. Ademais, é possível existir uma combinação de abordagens terapêuticas – alternativas - que devem ser analisadas também como uma alternativa possível (Drummond *et al.*, 2015).

Uma das alternativas principais que deve ser considerada na AETS é a prática clínica corrente, ou seja, o curso de ação que está a ser adotado aquando da realização do estudo no tratamento da patologia em análise. Contudo, é relevante perceber se essa é a melhor abordagem terapêutica disponível, ou se é o melhor conjunto articulado de cuidados utilizado na ausência da tecnologia de saúde em estudo (Drummond *et al.* 2015).

Após estabelecidas todas as alternativas relevantes, são avaliados os custos e as consequências de cada uma. Apesar de existirem três métodos de análise distintos, o objetivo é comparar a diferença de custos de cada alternativa e compará-la com a diferença nas consequências, numa perspetiva incremental (Drummond *et al.* 2015).

1.2 TÉCNICAS DE ANÁLISE NA AVALIAÇÃO ECONÓMICA

A AETS é distinguida de outros tipos de análise na área da saúde na medida em que, existe a comparação entre duas ou mais alternativas e as consequências e custos de cada uma são analisados. Dito de outro modo, é realizada uma análise de custo das alternativas dos cursos de ação e é avaliada a eficácia e efetividade de cada uma. Assim, os custos e as consequências têm de ser valorizados por forma a poder realizar-se uma análise incremental (Drummond *et al.* 2015).

No que diz respeito às técnicas de análise de consequências, é possível distinguir três tipos. Estas são diferenciadas consoante o método valorização das consequências da tecnologia de saúde. Em termos de custos das alternativas, a valorização é feita em unidades monetárias, independentemente da técnica de análise utilizada (Drummond *et al.* 2015).

A análise de custo-efetividade (ACE) é a técnica de análise mais comum e elementar da avaliação económica. Esta tem como base a comparação de duas ou mais alternativas com um efeito comum. A ACE mede as consequências do uso da tecnologia em estudo em unidades físicas específicas da doença. Exemplos de unidades físicas específicas são o número de convulsões na população que sofre de esquizofrenia, ou a tensão arterial em doenças cardiovasculares. Estes exemplos podem referir-se a uma melhoria de bem-estar no doente, se, por exemplo, através do uso da nova tecnologia o número de convulsões dos doentes esquizofrénicos diminuir. No entanto, apenas podem ser utilizados como indicadores de aumento de saúde se for possível articulá-los através de modelos epidemiológicos como acréscimo dos anos de vida. Com efeito, trata-se de indicadores intermédios “*throughout*” e não do resultado final “*output*”. Por este motivo, a ACE ao comparar as alternativas que existem com a nova tecnologia para um determinado estado de saúde, tem como objetivo calcular o custo incremental por unidade física da patologia, isto é, o custo extra por ano de vida ganho com a opção mais custo-efetiva (Drummond *et al.* 2015).

Esta técnica apresenta vantagens quando o decisor tem um orçamento limitado e, portanto, precisa de avaliar qual a alternativa com maior efetividade e menor custo no tratamento de uma determinada patologia. Assim, a ACE é utilizada apenas no setor da saúde com o objetivo de melhorar a eficiência na afetação do orçamento, encontrando sentido no contexto da racionalização do mesmo para uma dada patologia. Em contrapartida, as suas medidas específicas revelam-se a sua maior limitação, uma vez que não permite comparar patologias diferentes porque as medidas específicas, incluindo os anos de vida ganhos são específicos da patologia em análise (Drummond *et al.*, 2015).

A análise de custo-utilidade (ACU) distingue-se da ACE pela forma como são medidas as consequências da utilização tecnologia de saúde. Na ACU as consequências através dos anos de vida ganhos ponderados pela qualidade, considerados anos saudáveis ganhos, designadamente os QuALYs (Rai and Goyal, 2017). Esta é uma medida do estado de saúde de um indivíduo que reflete o tempo restante de vida ponderada pela sua qualidade, durante a intervenção da tecnologia de saúde em estudo; usualmente é medido através de questionários aos doentes (NICE, 2013). Esta técnica de análise é utilizada de forma a determinar o custo por ano de vida ponderado pela sua qualidade de vida incremental após a introdução da nova tecnologia (Rai and Goyal, 2017). A introdução dos QuALYs como fator de normalização permite a comparação entre diferentes tecnologias de saúde e patologias, uma vez que não é específica de nenhuma delas (Drummond *et al.*, 2015).

As análises de custo-utilidade (ACU) e de custo-efetividade (ACE) têm como objetivo comum a gestão ótima de um orçamento limitado que está na base de deliberação do decisor, que é também o financiador. As duas técnicas são exclusivas do orçamento da saúde dado o tipo de indicadores de consequências que são utilizados. Caso o decisor pretenda averiguar a possibilidade de expandir o orçamento, a análise a realizar deverá ser uma análise de custo-benefício (ACB). Segundo Drummond *et al.* (2015), esta técnica permite expressar as consequências de uma intervenção em unidades monetárias e comparar as mesmas com os custos. Neste caso, o benefício líquido, por exemplo os anos de vida ganhos, são expressos em unidades monetárias, sendo, portanto comparáveis com alternativas de outros setores, como educação ou habitação, desde que a técnica de análise seja a mesma.

As técnicas de análise descritas são aplicadas pelos investigadores, depois de recolherem toda a informação necessária para a realização do estudo de avaliação económica. No

entanto, previamente a qualquer uma das análises é importante definir como será obtido o efeito da tecnologia para a saúde. Segundo Drummond *et al.* (2015), os dados para determinar os efeitos na saúde podem ser recolhidos através de ensaios clínicos ou através de bases de dados observacionais. A primeira opção é tida como a mais viável para estimar o efeito clínico da tecnologia, uma vez que é através dos ensaios clínicos que é provada a eficácia da tecnologia em estudo. Por conseguinte, é demonstrada a relação de causalidade entre a tecnologia e os efeitos para a saúde na amostra populacional representativa da população alvo. Segundo os autores, existem duas formas de incorporar estes efeitos na avaliação económica e nas técnicas de análise: utilizando dados dos grupos e subgrupos recolhidos num estudo clínico ou através de um modelo analítico de decisão que incorpora dados recolhidos em diversos estudos clínicos.

Os estudos observacionais diferenciam-se de estudos clínicos pela ausência de condicionamento de comportamento dos elementos da amostra. Neste caso, apenas é observada a relação entre uma variável da patologia em estudo e a tecnologia (Song J. and Chung, K., 2011). Dada a ausência de intervenção, podem apresentar desafios pela ausência de controlo de afetação do tratamento, o que pode incrementar os custos e os efeitos e, conseqüentemente, o resultado das análises efetuadas. Contudo, existem atualmente métodos com o objetivo de atenuar possíveis desvios nos estudos observacionais (Drummond *et al.*, 2015). Segundo Ligthelm *et al.* (2007), os estudos observacionais são os mais adequados para observar os resultados de um tratamento num número de doentes elevado e heterogéneo, particularmente em patologias crónicas, como a Diabetes. Dada a importância de refletir a prática clínica corrente na determinação da efetividade da tecnologia em estudo, os estudos observacionais apresentam também vantagem pois permitem identificar o fluxo clínico na patologia alvo e também a recetividade à alternativa terapêutica. A importância de retratar com precisão a prática clínica corrente no contexto da nova tecnologia tem também impacto na veracidade da análise de impacto orçamental, parte da avaliação económica.

Outra das questões metodológicas importantes a analisar numa AETS é a valorização dos custos. Embora a valorização de custos seja transversal a todas as avaliações económicas, encontra frequentemente constrangimentos na disponibilidade de dados. A AETS deve considerar os seguintes custos: custo dos consumos no setor da saúde, custo de recursos utilizados pelo doente e respetiva família no contexto da doença e custos noutros setores decorrentes da perda de produtividade. A valorização de cada um dos custos deriva da

perspetiva adotada no estudo. Este é considerado um elemento fundamental de uma AETS, podendo ser adotada a perspetiva do SNS, do Estado em geral, do paciente ou da indústria que produz a tecnologia saúde (Drummond *et al.*, 2015). Na valorização dos custos de saúde diretos, as quantidades de consumos são estimadas, ou com base em dados individuais dos pacientes e extrapolados para a população alvo ou através de bases de dados administrativas. Nos restantes custos podem existir fatores que não têm um valor atribuído pelo mercado, ou custos indiretos, que podem decorrer do absentismo do doente ou respetivos acompanhantes, no sentido de custo, por faltas laborais ou ainda por mortalidade prematura. Segundo Drummond *et al.* (2015), é possível incorporar estes custos na análise, porém a técnica que permite a sua valorização não é consensual. Não obstante, a valorização dos custos indiretos depende da perspetiva adotada no estudo, sendo que a sua contabilização deverá ser tida em conta num estudo com a perspetiva da sociedade, e não num estudo na perspetiva do SNS.

Em Portugal, segundo a Portaria 391/2019, de 30 de outubro, a perspetiva a adotar nos estudos de avaliação económica a submeter ao Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I.P. (INFARMED I.P.), é a do SNS, sendo que esta será a perspetiva adotada neste trabalho.

2. METODOLOGIA PARA APRESENTAÇÃO DE ESTUDOS DE ANÁLISE DE IMPACTO ORÇAMENTAL NA SAÚDE

Os resultados da ACE e da ACU apresentam uma elevada importância para o financiador que decide onde alocar o orçamento da saúde. Uma vez que as duas técnicas consideram a efetividade da tecnologia, por simplificação, será apenas referida a ACE no presente capítulo. Embora a análise de efetividade auxilie o financiador a definir prioridades na distribuição do orçamento, esta não observa a avaliação de sustentabilidade orçamental para financiar a tecnologia de saúde. Outra das limitações apontada à ACE é a complexidade da mesma na perceção do decisor, isto é, a ACE utiliza termos específicos da patologia em questão e da literatura acerca da AETS. Frequentemente, estes dificultam a leitura e perceção do decisor quando avalia os benefícios da nova tecnologia em relação às alternativas existentes na prática clínica corrente (Garattini and Van De Vooren, 2011). Por estes motivos, e também porque frequentemente a nova tecnologia disponível é mais cara, é comum ser requerido um estudo de impacto orçamental para a tecnologia de saúde a par da respetiva ACE (Yagudina *et al.*, 2017). É através da Análise de Impacto Orçamental (AIO) que são previstas as consequências orçamentais e a sustentabilidade do orçamento para financiar a introdução da tecnologia de saúde na prática clínica corrente (Bierbaum, 2014). Por este motivo, e de modo a complementar a avaliação económica, a AIO é frequentemente solicitada pelos decisores – ou financiadores – a fim de suportar a decisão de adoção da tecnologia proposta.

O desenho do modelo da AIO deve ter em especial atenção os seguintes aspetos:

- i. Características relevantes do sistema de saúde;
- ii. Perspetiva do estudo;
- iii. Uso e efeito das intervenções da prática corrente e após a nova intervenção, nomeadamente a população elegível, as intervenções correntes, a introdução da nova tecnologia no mercado, o uso *off label* da nova tecnologia e o custo da combinação da nova intervenção com a atual;
- iv. Impacto da nova tecnologia noutros custos;
- v. Horizonte temporal da análise;

- vi. Variações do custo no tempo;
- vii. Escolha do modelo informático;
- viii. Incerteza e cenário de análise;
- ix. Validação.

Em primeiro lugar, devem ser tidas em conta as características do sistema nacional de saúde do país que receberá a nova intervenção e que possam ter impacto no orçamento. Entre as características mais relevantes encontram-se as restrições de acesso às tecnologias de saúde, a comparticipação das mesmas, a cobertura do sistema de saúde e a existência de taxas moderadoras. A perspetiva adotada no estudo deve ser a do financiador (Sullivan, *et al.* 2014).

A população elegível representa todos os pacientes que são elegíveis para receber a nova intervenção, durante o horizonte temporal do estudo com as restrições de acesso do sistema de saúde. Deve ter-se em conta que a população elegível não é estática, uma vez que devem ser consideradas possíveis alterações na condição dos pacientes que levam à variação da população elegível ao longo do tempo, como a diminuição da progressão da doença, aumento do tempo de tratamento, redução de mortalidade sem curar a doença, entre outros. A AIO deve ter em consideração o impacto destas alterações na população elegível. Por último, devem ser evidenciadas as características da população elegível, permitindo formar subgrupos e o custo de cada um, caso sejam divergentes (Sullivan, *et al.* 2014). A intervenção utilizada na prática corrente deve ser também descrita e quantificada, ainda que a prática corrente seja oferecer ao doente os melhor cuidados de suporte. Neste caso, a comparação será entre os melhor cuidados de suporte e a nova tecnologia de saúde. De referir ainda que deverão ser elaborados diferentes cenários de substituição, conforme os subgrupos de doentes. Nesse caso, para cada subgrupo deve ser realizada uma AIO. Caso seja necessário um teste de diagnóstico para a patologia em causa, este deve também ser incluído e valorizado. Na descrição da introdução da nova intervenção no mercado devem ser considerados três tipos de alterações possíveis: a substituição total da intervenção utilizada em prática corrente pela nova, a combinação da tecnologia já utilizada, ou a utilização da nova tecnologia apenas em grupos de pacientes específicos que, por algum motivo, não são elegíveis para a prática corrente, o que significaria a expansão das tecnologias disponíveis para a patologia em causa. Esta é

uma das principais componentes da AIO, uma vez que cada uma das alterações referidas tem um impacto diferente a nível orçamental, em todas elas devem ser descritos todos os custos associados com as intervenções, como valorização de exames ou possíveis efeitos colaterais. A formação dos cenários possíveis de alterações requer dados que podem ser de difícil acesso ou mesmo inexistentes, neste caso, a análise deve ser transparente no que diz respeito aos pressupostos utilizados em cada cenário (Sullivan *et al.* 2014). O uso *off-label* da nova intervenção significa que esta pode ser utilizada em pacientes com patologias diferentes daquela para que foi aprovada, ou seja, sem indicação de tratamento para aquela patologia. A menção desta componente na AIO apenas é recomendada caso o requerente na análise solicite, uma vez que geralmente não existe evidência para seu uso *off-label* (Sullivan *et al.*, 2014).

O impacto noutros custos contempla os custos relacionados com a condição clínica do doente e os custos indiretos. No primeiro caso, são representados custos que advêm da prática clínica corrente e podem sofrer alterações com a introdução da nova tecnologia; estas resultam de alteração no uso dos serviços de saúde relacionados com a patologia. Quanto aos custos indiretos, estes contemplam alterações na produtividade do doente ou outros custos fora do sistema de saúde, portanto não são contabilizados na perspetiva do SNS e ficam fora do âmbito da AIO (Sullivan *et al.*, 2014).

No que concerne ao horizonte temporal, AIO deve contemplar um período que seja relevante para o decisor, de acordo com o período do orçamento. Uma das críticas aos estudos de impacto orçamental é a longevidade temporal que contemplam, o que compromete a análise do financiador que gere um orçamento que não prevê a balança orçamental no longo prazo. Não obstante, o horizonte temporal é também influenciado pela patologia alvo, ou seja, pela duração da condição de saúde subjacente e dos benefícios que a nova tecnologia pode oferecer (Trueman, Drummond and Hutton, 2001). É recomendado um horizonte temporal curto, de modo a minimizar também a incerteza associada ao estudo. Segundo Sullivan *et al.* (2014), é comum um horizonte temporal até cinco anos.

Decorrente do horizonte temporal da AIO estão inerentes inúmeros aspetos que irão variar ao longo do tempo, entre as quais constam a inflação ou deflação, alteração no conhecimento da doença ou alterações de preço das tecnologias existentes. Não obstante, estes devem cingir-se ao horizonte temporal recomendado pelo decisor. Além destes, a

preferência intertemporal do decisor pode também influenciar a decisão do mesmo. (Sullivan et al. 2014).

Definidas as características da AIO e recolhida a informação necessária à sua realização, é necessário que a mesma seja corrida num modelo informático. Sullivan *et al.* (2014), recomendam que a estrutura do modelo seja compreensível e clara ao decisor. Deve ser também flexível, na medida em que o decisor pode alterar os inputs e observar os resultados com os pressupostos do estudo.

A incerteza associada a uma AIO pode ser dividida em incerteza quanto aos *inputs* na análise e quanto aos cenários e pressupostos realizados no enquadramento da AIO, como seja a estimativa da eficácia da intervenção e as alterações nos padrões da prestação do serviço de saúde com a nova tecnologia (Sullivan *et al.*, 2014). É recomendado que todos os parâmetros apresentem intervalos de variação, de acordo com o nível de incerteza estipulado. Uma vez que a AIO é apresentada ao financiador da tecnologia, dada a complexidade da mesma, a análise deve ser discutida e debatida, de forma a auxiliar a tomada de decisão. Deverá ser também disponibilizado ao financiador os modelos que estão na base da formação dos cenários apresentados na AIO, de forma a que este realize as suas análises de sensibilidade. Os autores da análise devem tornar a informação acessível para melhor compreensão do decisor e permitir que este consiga adaptá-la às necessidades do orçamento (Trueman, Drummond and Hutton, 2001).

Por fim, a validação dos dados deve ser realizada em duas etapas. Em primeiro lugar, deve ser confirmada a validade da análise com o decisor, acerca dos pressupostos assumidos, a estrutura do modelo informático e o horizonte temporal. Em segundo lugar, devem ser validados todos os cálculos e fórmulas realizados pelo modelo (Sullivan *et al.* 2014).

Um dos aspetos mais relevantes da AIO é a qualidade dos dados utilizados que, por sua vez, comprometerá a qualidade da análise e a sua utilidade para o decisor. Sullivan *et al.* (2014) definem cinco elementos chave: dimensão e características da população elegível, a intervenção na doença com e sem a nova tecnologia, os custos da intervenção na prática clínica corrente e no novo tratamento, o uso e o custo de outros cuidados de saúde relacionados com a doença e a determinação de intervalos de confiança para os cenários propostos. Os dados utilizados para calcular cada um dos elementos, devem ser rigorosos, relevantes para o decisor e representantes da realidade da sociedade que irá receber a nova

tecnologia ou intervenção. Segundo os autores, são exemplos de dados fiáveis para uma AIO: 1) registos de pacientes reais ou bases de dados que refletem a perspetiva do decisor; 2) dados de ensaios clínicos específicos ou extrapolados para a população alvo; 3) dados de fontes internacionais de populações e padrões de prática semelhante; 4) Dados de estudos de mercado para identificar a distribuição da tecnologia comparadora, o uso precoce de alternativas de intervenção e tendências nos padrões de tratamento, e por último, 5) a opinião de peritos e questionários sobre padrões de práticas. Segundo Babigumira (2017), a caracterização da prática clínica corrente do país deve ser realizada com recurso a dados de estudos observacionais ou pesquisas de mercado, uma vez que representam melhor a realidade nacional.

As análises descritas na realização de um AETS, nomeadamente a ACE e a ACU, sustentam a análise de efetividade da tecnologia de saúde e as consequências em termos de saúde para os doentes. Na apresentação da AETS à entidade reguladora, a mesma deve incorporar a AIO a fim de demonstrar o impacto no orçamento do financiador. Esta será determinante na decisão de comparticipação da tecnologia e sustentabilidade orçamental no horizonte temporal que incorpora.

Por conseguinte, serão analisadas as metodologias exigidas por Portugal e Inglaterra na apresentação da AIO, tendo em conta as orientações recomendadas pela literatura do tema descritas no presente capítulo. As orientações metodológicas inglesas revelam-se necessárias dado que o presente trabalho tem como base uma AIO inglesa acerca do controlo glicémico e pretende averiguar a possibilidade de realização de uma AIO semelhante no contexto nacional.

2.1 ANÁLISE COMPARATIVA ENTRE AS ORIENTAÇÕES METODOLÓGICAS EM PORTUGAL E EM INGLATERRA

A AIO é também um dos elementos requeridos em Portugal para submissão de estudos de avaliação económica de tecnologias de saúde ao INFARMED I.P., conforme a Portaria n.º 391/2019 de 30 de outubro. A referida portaria aprova a revisão das Orientações Metodológicas (OM) realizada por Perelman *et al.* (2019) para a entidade reguladora. Segundo as OM para elaboração dos estudos de avaliação económica, a AIO deve incorporar os custos financeiros da adoção da nova tecnologia, na perspetiva do SNS. É

previsto que possa ser adotada a perspetiva do Estado, caso estejam previstos custos ou poupanças para a Segurança Social, contudo esta análise deve ser suplementar.

Também o Reino Unido, através do *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) introduziu em 2017 a obrigatoriedade de uma AIO na avaliação de tecnologias de saúde. Neste caso, ao contrário da realidade portuguesa, em que a produção da AIO é da responsabilidade da empresa que pretende obter a comparticipação da tecnologia, no Reino Unido é realizada pelo NICE como forma de auxiliar o *National Health Service* (NHS) na decisão de financiamento a fim de obter sustentabilidade financeira, na disponibilização de uma nova tecnologia aos doentes. A perspetiva do estudo poderá ser a do produtor da nova tecnologia ou do financiador (NHS), sendo esta última mais comum. No que diz respeito ao cálculo da população elegível para receber a nova tecnologia, o objetivo do estudo é estimar as alterações da nova tecnologia na prática clínica e qual a população afetada por tal alteração (NICE, 2017). A população elegível para a nova tecnologia é calculada com base na prevalência da doença na população residente do país ou área onde irá ser disponibilizada a nova tecnologia; e, em segundo lugar, na incidência da mesma, de forma a que a AIO contemple novos diagnósticos. Esta é também a recomendação para elaboração de estudos em Portugal, de acordo com a Portaria n.º 391/2019, de 30 de outubro.

De forma a construir os cenários comparadores com o novo cenário proporcionado pelo uso da nova tecnologia, as fontes de dados utilizadas na AIO devem conter dados reais de pacientes e do SNS. Na realidade inglesa, os dados recolhidos provêm maioritariamente no NHS Digital, uma entidade nacional parceira do sistema de saúde que tem como funções recolha de dados e outras informações das Instituições de Saúde. Depois de recolhidos os dados necessários, estes são analisados por um grupo de peritos que elaboram os cenários após a implementação da nova tecnologia (NICE, 2017). Pelo contrário, em Portugal, as OM referem apenas que a AIO deverá ser realista e rigorosa e incluir todos os custos dos comparadores utilizados no estudo de avaliação económica. Contudo, na avaliação económica é referido pelas mesmas OM, que os comparadores devem ter em conta a avaliação farmacoterapêutica, definida pela Comissão de Avaliação de Tecnologias de Saúde do INFARMED, I.P.. Esta define o curso de ação apenas tendo como base a comparabilidade de preço dos fármacos utilizados nos comparadores, não sendo claro como será aplicável no caso de ao estudo de dispositivos médicos. É ainda

referido que os custos devem considerar a mesma população alvo, não mencionando quais as fontes de dados a serem utilizadas (Portaria n. °391/2019).

Tendo em conta a expectativa de deferimento do estudo de avaliação, a AIO deve ser rigorosa e representar estimativas realistas para o SNS, uma vez que estes podem ser incorporados no orçamento do SNS a curto-prazo. Desta forma o horizonte temporal deve ser limitado a dois anos, mitigando em parte a incerteza da análise (Perelman et al., 2019; Portaria n. °391/2019). Por outro lado, na realidade inglesa é recomendado um horizonte temporal de cinco anos e o estudo todos os valores máximos e mínimos que resultam da análise de incerteza (NICE, 2017).

O manual de estudos de impacto orçamental realizados no Reino Unido define ainda quatro níveis de impacto e as respetivas estratégias. Com efeito, sempre que a tecnologia nova origine um impacto superior a vinte milhões de libras anuais, o NICE recomenda o diálogo entre o NHS inglês e a empresa que detém a patente da tecnologia. O diálogo entre a entidade reguladora e o fornecedor tem como objetivo acordar um preço mais baixo e, por vezes confidencial para o país em questão. Por fim, o NICE recomenda, ou não, a comparticipação da nova tecnologia para uso na prática clínica corrente. Desde 2016, pode também considerar a comparticipação apenas para casos de oncologia, quando existe alguma incerteza clínica associada à efetividade da tecnologia (NICE, 2017).

De forma geral, as regras para elaboração de uma AIO em Portugal revelam-se pouco extensivas quando comparadas com as inglesas, sendo que nestas últimas são também definidas as possíveis consequências da AIO. O NICE descreve também detalhadamente o processo de tomada de decisão e respetivas consequências, sendo possível à empresa recorrer da decisão final. Todas as situações possíveis de comparticipação ou não da tecnologia assim como o que poderá levar a uma revisão da decisão são descritas e detalhadas. Todas as orientações para realização da AIO e respetivos *templates* para cálculo de valores são revistos anualmente pela equipa responsável do NICE.

O processo de elaboração da AIO e de tomada de decisão para adoção de uma nova tecnologia de saúde revela-se mais transparente e responsável perante a sociedade, no Reino Unido.

No que se refere aos dados requeridos para a realização da AIO em Portugal, a portaria n.º. 391/2019, de 30 de outubro refere que ter como base os dados utilizados na realização

da avaliação económica da mesma tecnologia de saúde. Sendo por isso relevante as fontes de dados utilizados para tal análise. Segundo as OM portuguesas, a AIO deve utilizar os seguintes dados:

- i. Custos dos comparadores utilizados na avaliação económica;
- ii. Prática clínica corrente;
- iii. Prevalência da patologia na população atual a tratar;
- iv. Incidência da patologia na população alvo;
- v. Custos da nova terapêutica.

Os comparadores utilizados na avaliação económica da tecnologia de saúde em análise referem-se às alternativas terapêuticas, ou todas as opções terapêuticas relevantes para a patologia disponíveis em Portugal. Estas são definidas no âmbito da avaliação farmacoterapêutica. Os custos dos comparadores devem adotar a perspetiva do SNS, assim como todos os custos referidos na avaliação económica, segundo a Portaria 391/2019, de 30 de outubro. Na elaboração da avaliação económica, assim como na da AIO, deverão ser facultados todos os recursos de saúde utilizados com a respetiva valorização, com os preços nacionais praticados pelo SNS.

De acordo com as OM, no que concerne à prática clínica corrente, a AIO deve realizar uma análise comparativa entre esta e a prática que irá surgir após a introdução da tecnologia em estudo. Em suma, deverá apresentar os custos que irão decorrer desta alteração, caso a nova tecnologia complemente ou substitua a alternativa existente.

Na avaliação da efetividade da tecnologia, durante a avaliação económica, é estudada a sua utilização na população alvo e/ou em subgrupos desta considerados relevantes. Na fase da AIO, é considerada a prevalência da doença, com o objetivo de determinar a população alvo no momento da análise e a incidência sobre a população total, de forma a prever novos casos a tratar no futuro. A portaria n.º. 391/2019, de 30 de outubro, solicita ainda a apresentação dos custos da nova terapêutica separadamente, apesar destes estarem compreendidos no custo dos comparadores (Portaria n.º. 391/2019, de 30 de novembro). De modo a agilizar todo o processo de avaliação, é disponibilizado pelo INFARMED, I.P. um formulário de pedido de proposta inicial de avaliação (PICO – População, Intervenção. Comparador e *Outcome*), divulgado através da circular normativa n.º 064/CD/100.20.200, de março de 2019. Este fornece aos detentores de um novo

medicamento as condições que devem obedecer na elaboração da avaliação económica, e, consecutivamente, na AIO.

2.2. A DIABETES

Um dos fatores que coloca mais pressão na sustentabilidade orçamental dos sistemas de saúde dos países desenvolvidos é o elevado crescimento da prevalência e incidência das doenças crónicas. Portugal regista um nível elevado de envelhecimento da população e elevada prevalência de excesso de peso e obesidade. Existe ainda um número significativo de população com baixa escolaridade, fatores que contribuem para um aumento significativo da prevalência das doenças crónicas (Ministério da Saúde, 2018). Neste quadro, Portugal é apontado como um dos países europeus com maior prevalência de população diabética. A nível nacional é estimado que afete cerca de 10% da população e é a terceira causa de morte, responsável por 3,8% de óbitos em Portugal (INE, 2020).

Segundo o Ministério da Saúde (2018) a prevalência das doenças crónicas coloca urgência na implementação de medidas de controlo e diagnóstico para cuidados de qualidade e mais eficazes e eficientes em termos de custo. Uma vez que a origem da maioria das doenças crónicas, nomeadamente da diabetes, tem origem em comportamentos e fatores passíveis de serem evitados, é necessário promover a sua prevenção.

A diabetes surge devido à presença elevada de glicose (açúcar) no sangue. Existem vários tipos de diabetes, sendo os mais comuns a diabetes tipo 1 e a diabetes tipo 2 (Organização Mundial de Saúde (OMS), 2020). Além destes existe também a diabetes gestacional, diabetes tipo LADA, diabetes tipo MODY, entre outros considerados raros (Associação Protetora dos Diabéticos de Portugal - APDP, 2019).

A diabetes tipo 1 atinge principalmente crianças e jovens e é causada pela destruição das células produtoras de insulina do pâncreas, sendo que a causa de destruição não é ainda totalmente conhecida. A insulina produzida pelo pâncreas estimula a síntese de glicose, produzindo energia. Os doentes com esta condição necessitam de uma terapêutica de insulina para o resto da vida, tornando-te insulino dependentes (APDP, 2019).

Pelo contrário, a diabetes tipo 2 tem como causa hábitos de vida não saudável, como o sedentarismo e obesidade e também uma predisposição genética. Como consequência surge um desequilíbrio entre a quantidade de insulina produzida pelo corpo e a quantidade

de açúcar consumido, o que leva os doentes a adotarem uma terapêutica de insulina quando não conseguem controlar o desequilíbrio (APDP, 2019).

De forma a avaliar o controlo glicémico dos doentes é medida a hemoglobina glicada A1c (HbA_{1c}), este é um valor que traduz a concentração de glicose que não é processada corretamente e reflete a média de glicemia dos últimos 2/3 meses. O nível ideal de HbA_{1c} corresponde a 48 mmol/mol (6,5%), independentemente do tipo de diabetes. Em Portugal, é recomendado a realização do exame semestralmente, segundo a norma n.º 033/2011, de 30 de setembro da DGS.

As complicações da diabetes contemplam um vasto leque de doenças, que, na sua maioria, são diagnosticadas tardiamente e estão associadas a um controlo deficiente dos níveis de glicemia.

Segundo a APDP as complicações da doença podem ser divididas em microvasculares e macrovasculares. Dentro das complicações microvasculares são mais frequentes a retinopatia, nefropatia e neuropatia. Segundo o Relatório Anual do Observatório Nacional da Diabetes (2016), a doença é a principal causa de problemas de insuficiência renal, amputação de membros inferiores e cegueira. Esta última complicação, derivada da retinopatia diabética, provocada por alterações nos vasos sanguíneos da retina limitando a leitura, reconhecimento facial, visão turva e em casos graves, perda total ou parcial de visão. Esta complicação tem uma incidência particularmente elevada, atingindo 90% de doentes com diabetes tipo 1 e 60% de doentes com diabetes tipo 2 com 20 anos de evolução da diabetes. A nefropatia diabética surge devido à elevada concentração de níveis de glicemia nas artérias e é agravada em doentes hipertensos, produz danos nos rins, e, em casos mais graves poderá mesmo levar à insuficiência renal. No caso da neuropatia, existe uma alteração da função dos nervos e uma destruição daqueles que chegam aos pés, causando perda de sensibilidade, fraqueza muscular e em casos mais graves pode levar à amputação do membro. A APDP aponta o maior controlo dos níveis de glicemia como um fator fulcral para a prevenção e diagnóstico precoce das complicações associadas à diabetes, no entanto, entende que devem existir mais exames para um diagnóstico mais completo. No caso da retinopatia, é indicado a realização de um rastreio anual à doença, para diagnóstico de nefropatia devem ser realizadas análises urina para detetar a presença de albumina, proteína que está presente nas paredes dos rins e em casos de lesões provocadas pela nefropatia, esta é desagregada e sai na urina.

Quando maior a sua presença, pior o estado da nefropatia. O controlo da diabetes, alguns cuidados com os pés e com o calçado contribuem para afastar o diagnóstico de neuropatia e, como consequência a doença do pé diabético. Esta patologia surge da associação deste diagnóstico com arteriosclerose, que se concretiza na acumulação de gorduras e outras substâncias nas artérias. No foro de complicações macro vasculares surge a hipertensão arterial que tem o dobro da incidência em doentes diabéticos. A APDP sugere ainda que existe uma relação entre estas duas doenças, uma vez que cerca de 40% dos doentes já têm hipertensão aquando o diagnóstico da diabetes, predominantemente no tipo 2. Não obstante, esta é uma patologia considerada fator de risco para outras doenças associadas à diabetes, como a nefropatia mencionada anteriormente.

Além das complicações mencionadas, infeções e disfunção sexual são outras patologias associadas ao mau controlo da glicemia no longo prazo. De modo geral, o controlo da doença deve ser acompanhado por outros exames como rastreios das complicações mais frequentes, caso da retinopatia, exames à urina para detetar a presença de albumina e o controlo de tensão arterial.

Assim, o controlo glicémico dos doentes diabéticos é considerado fundamental na gestão da doença. É utilizado para medir o índice de glicemia média, monitorizando a eficácia da terapêutica e indicando ajuste necessários (Edelman *et al.*, 2001; Sacks *et al.*, 2011; DGS, 2012). É também utilizado como preditor do risco de desenvolver complicações crónicas da diabetes, assumindo um papel essencial na prevenção das comorbilidades associadas à doença.

As complicações associadas à doença estão fortemente relacionadas com os níveis de glicemia, sendo por isso de elevada importância a sua gestão rigorosa (Stolar, 2010). O controlo de glicemia não só pode permitir o diagnóstico numa fase inicial das complicações da diabetes como está também associado à previsão da ocorrência dos episódios de doença e das suas complicações. Sucedendo que os episódios de doença e as complicações em si contribuem para a diminuição da qualidade de vida dos doentes (Klein, R. and Klein B., 1998).

Tendo em conta o papel fundamental do controlo de glicemia na Diabetes, na prevenção e gestão da doença e impacto que as variadas complicações associadas registam ao nível de unidades hospitalares e ambulatoriais, é essencial avaliar o impacto orçamental do controlo de glicemia.

3. O CONTROLO DA GLICEMIA DA DIABETES

3.1 O IMPACTO ORÇAMENTAL DO CONTROLO DE GLICEMIA NO REINO

UNIDO

Em 2011 o impacto orçamental total da Diabetes tipo 1 e tipo 2 foi estimado em cerca de 23,7 mil milhões de libras no Reino Unido. Deste valor, 9,8 mil milhões de libras dizem respeito a custos diretos do NHS com a doença, ou seja, custos com tratamento e complicações, perfazendo cerca de 10% do orçamento total. Hex *et al.* (2012), referem que os custos indiretos representam a maioria do total e dizem respeito a custos relacionados com o doente e respetivos cuidadores, financiados pela Segurança Social. Derivam maioritariamente da mortalidade, do absentismo e da prestação de cuidados informais ao doente. Dos custos diretos apresentados, cerca de 80% dizem respeito ao tratamento das complicações e o restante ao diagnóstico e tratamento da Diabetes.

Baxter *et al.* (2016) realizaram em 2016 um estudo com o objetivo de averiguar os custos da ocorrência das complicações da Diabetes nos doentes, procurando assim demonstrar o impacto orçamental de uma melhor gestão do controlo glicémico e da sua importância para evitar ou atrasar as complicações da diabetes. No estudo realizado foram estimados os custos que poderão ser evitados com a redução de ocorrência das complicações associadas aos doentes diabéticos, através do melhor controlo glicémico, numa perspetiva incremental à prática clínica corrente no Reino Unido. Isto é, foi feita a correção da trajetória de HbA_{1c}, para níveis inferiores àqueles esperados. Utilizaram como população alvo o coorte de doentes diabéticos em 2010/2011, ou seja, a prevalência da doença na população deste ano específico, não tendo em conta a incidência. Na análise foi adotada a perspetiva do NHS. Contudo não foram contabilizados os custos associados à alteração da terapêutica para conseguir melhor controlo da glicemia.

A construção dos cenários para a AIO baseou-se nos seguintes pressupostos: para doentes com diabetes tipo 1, Baxter *et al.* (2016) assumiu uma trajetória de HbA_{1c} que estaria de acordo com a prática clínica corrente. Como cenário alternativo, assumiu que o nível de HbA_{1c} seguiria uma trajetória 4 mmol/mol de HbA_{1c} abaixo do cenário base. Para a diabetes tipo 2, assumiu o cenário de alternativo de HbA_{1c} de acordo com as recomendações do NICE e como cenário base, também a prática clínica corrente. Nesta última, o tratamento de insulina é adotado quando o paciente regista um nível de HbA_{1c}

de 84 mmol/mol (9,8%); por outro lado, o NICE recomenda a toma de medicamentos quando o doente regista o nível de 58 mmol/mol (7,5%) de HbA_{1c} de glicemia, com o objetivo de reduzir para um nível de HbA_{1c} de 53 mmol/mol (7%), ou mais baixo (National Collaborating Centre for Chronic Conditions, 2008; NICE, 2015). Em suma, o NICE recomenda o início de tratamento medicamentoso mais cedo do que aquele realizado na prática clínica corrente no Reino Unido.

Na metodologia do estudo realizado, os autores recorreram ao *IMS Core Diabetes Model* para comparar a gestão corrente de glicemia com uma melhor gestão nos doentes da Diabetes. Este é um modelo de simulação publicado e validado específico para a Diabetes que estima os efeitos da doença a longo prazo, nomeadamente a ocorrência de complicações consoante o nível de HbA_{1c} do doente e respetivos custos agregados (McEwan *et al.*, 2014). No modelo foram introduzidas coortes da população, conforme o tipo de diabetes e o nível de glicemia registado. De seguida foi calculada a incidência cumulativa incremental da ocorrência das complicações mais comuns na população diabética, melhor identificadas no quadro I. O cálculo foi realizado para cada um dos cenários base construídos para a população diabética tipo 1 e tipo 2. Consecutivamente, os números do cálculo anterior foram extrapolados para o número de complicações alteradas através da redução do nível de HbA_{1c} assumida para cada um dos cenários comparadores para a Diabetes tipo 1 e tipo 2. Para determinar o custo das complicações evitadas, Baxter *et al.* (2016) recorreram a estudos em que eram estimados os custos de cada uma das complicações. Os estudos realizados tiveram como base a realidade do NHS e como objetivo, a estimação do impacto orçamental das patologias em questão. Exemplos são os de Clarke *et al.* (2003) para a determinação do custo das complicações do foro ocular e de angina de peito; Pink *et al.* (2011) para os custos de outras doenças cardiovasculares, como a ocorrência de AVC e do enfarte do miocárdio e Kerr *et al.* (2012) utilizado como base para a estimação dos custos associados às doenças do foro renal.

A população em estudo foi subdividida em quatro subgrupos consoante o nível de HbA_{1c} e foi estudado para cada subgrupo o custo da ocorrência de cada uma das complicações mais frequentes associadas à Diabetes, conforme representado no quadro I, no prazo de 5, 10, 15, 20 e 25 anos (Baxter *et al.*, 2016). A metodologia dos autores, assim como as complicações estudadas têm como base a estrutura do *IMS Core Model*, conforme referido. O modelo incorpora a prática clínica em determinados países, como o Reino

Unido, na medida em que contém bases de dados dos pacientes, dados de prescrição e características do tratamento hospitalar (IQVIA, 2017).

Apesar de na análise realizada por Baxter *et al.* (2016) ser calculado o impacto orçamental a longo prazo (superior a 10 anos), apenas o impacto a curto-prazo, a cinco anos, será considerado neste trabalho. Conforme referido anteriormente, não é recomendada a realização de cenários de longo prazo na AIO, dada a incerteza a ela associada (Sullivan *et al.*, 2014). A fim de realizar um paralelismo entre a AIO de Baxter *et al.* (2016) e uma AIO em Portugal, deveria ser utilizado um horizonte temporal semelhante, de dois anos, em conformidade com as Orientações Metodológicas portuguesas. Contudo esse cenário não foi considerado, atendendo a que este trabalho tem como referência o texto de Baxter *et al.* (2016).

Quadro 1 - Divisão de Subgrupos no estudo de Baxter *et al.* (2016).

Diabetes	Subgrupos	Complicações frequentes
Tipo 1 e Tipo 2	<59 mmol/mol (7,5%)	<ul style="list-style-type: none"> • Doenças do foro ocular: Retinopatia diabética, perda de visão, cataratas; • Doenças do foro renal: Doença renal crónica, nefropatia diabética; • Pé diabético, amputações e neuropatia; • Doenças cardiovasculares: Insuficiência cardíaca, Doença vascular periférica, angina de peito, Acidente Vascular Cerebral e enfarte do miocárdio.
	>59 mmol/mol (7,5%) e <64 mmol/mol (8,0%)	
	>64 mmol/mol (8,0%) e <75 mmol/mol (9,0%)	
	>75 mmol/mol (9,0%)	

No Reino Unido, quase 70% da população diabética tipo 1 apresenta níveis de glicemia superiores a 64 mmol/mol (8,0%), ou seja, encontram-se nos últimos dois subgrupos do quadro 1. O grupo de pacientes que registou maior poupança cumulativa, foi o subgrupo que regista níveis superiores a 64 mmol/mol (8,0%) e inferiores a 75 mmol/mol (9,0%), sendo estimada uma poupança igual a 103 libras por doente. No último subgrupo é estimada uma poupança por doente de 184 libras. São estas as coortes da população que

deverão atrair maior atenção por parte das medidas de controlo da glicemia, de forma a maximizar a redução de custos globais. A poupança acumulada na Diabetes tipo 1 resultante da abordagem alternativa é superior a 38 milhões de libras em cinco anos (Baxter *et al.*, 2016).

No que diz respeito à poupança por ocorrência de complicações da doença na Diabetes tipo 1, os autores concluíram que a redução custos é superior no subgrupo que regista valores superiores a 75 mmol/mol (9,0%) para a neuropatia diabética. É referido ainda que o maior controlo do nível de glicemia deve ser acompanhado de controlo de pressão arterial e análises frequentes à urina para deteção da presença de albumina, proteína que permite aferir o risco de neuropatia. Na globalidade da Diabetes tipo 1, a poupança total aferida foi de cerca de 40 milhões de libras, sendo que 60% deste valor dizem respeito à ocorrência de complicações do pé diabético, amputações e neuropatia.

Quanto à diabetes tipo 2, a maioria da população do Reino Unido regista níveis de HbA_{1c} inferiores a 59 mmol/mol (7,5%). Este subgrupo atingiu poupanças de 132 libras por doente, totalizando 146 milhões de libras após cinco anos de melhor controlo glicémico. Este valor representa cerca de metade do total dos custos evitados nos doentes com Diabetes tipo 2 (Baxter *et al.*, 2016).

A simulação de ocorrência de complicações na Diabetes tipo 2 representa valores bastante superiores à Diabetes tipo 1, dada a elevada prevalência na população. O maior valor de poupança regista-se igualmente no subgrupo com valores inferiores a 59 mmol/mol (7,5%) nas doenças cardiovasculares, acumulando mais de 74 milhões de libras em cinco anos. Para este grupo de doenças foram apurados mais de 131 milhões de libras de despesa, no mesmo horizonte temporal. À semelhança da Diabetes tipo 1, também as complicações do pé diabético, amputações e neuropatia registam um valor de despesa elevado na Diabetes tipo 2, totalizando cerca de 123 milhões de libras após cinco anos. Segundo os autores, complicações do pé diabético são a causa de metade das admissões hospitalares no Reino Unido. Em Portugal, segundo a APDP (2019), o pé diabético é responsável por cerca de 25% das admissões hospitalares de doentes diabéticos a nível nacional.

O estudo realizado por Baxter *et al.*, (2016) permitiu demonstrar a dimensão dos custos que podem ser evitados através da diminuição de HbA_{1c} nos doentes diabéticos. Foi também evidenciada a dimensão financeira que a doença representa e o seu impacto no

orçamento da saúde. Contudo, não foi abordada a estratégia terapêutica que levará ao melhor controlo glicémico. Não obstante, os benefícios financeiros e clínicos são perceptíveis num cenário a curto prazo, ascendendo a 300 milhões de libras em cinco anos. É assim evidenciada a importância de uma intervenção mais precoce para diminuir o nível de HbA_{1c}, e conseqüentemente, da prevenção das complicações associadas à Diabetes.

3.2 DADOS REFERENTES À DIABETES NECESSÁRIOS PARA ANÁLISE DE IMPACTO ORÇAMENTAL EM PORTUGAL

Para a construção de uma AIO rigorosa, tendo por base os dados atualmente existentes em Portugal, e com vista ao melhor controlo glicémico dos doentes, foram tidos em conta os dados recolhidos pelos relatórios mais recentes e respetivas fontes, bem como outros trabalhos relevantes para a análise do curso de ação a seguir em prática clínica corrente.

Entre 2016 e 2018 o Programa Nacional para a Diabetes de 2019 (PND) menciona que foram registados, aproximadamente, 2 milhões de pacientes em risco de desenvolver a doença ao nível dos Cuidados de Saúde Primários (CSP). No mesmo documento, é referido que em 2018 os CSP registaram 811 mil utentes com o diagnóstico da Diabetes, correspondendo a 8% do total de utentes inscritos (DGS, 2019). Contudo, são apresentados os valores de prevalência de outros estudos realizados: i) em 2015, o Relatório Anual do Observatório Nacional da Diabetes (2016) registou uma taxa de prevalência de 13,3% para a população entre os 20 e os 79 anos, equivalente a mais de um milhão de portugueses diabéticos; ii) o Inquérito Nacional de Saúde com Exame Físico INSEF, realizado pelo Instituto Nacional de Saúde Doutor Ricardo Jorge IP - INSA (2016), registou uma taxa de prevalência de 9,8% para a população entre os 25 e os 74 anos, também em 2015; iii) A OMS apresentou em 2016 uma taxa de prevalência de 9,2% da diabetes em Portugal para a população adulta; iv) em 2017, a OCDE estimou uma taxa de prevalência da diabetes de 9,9% para a população adulta (OCDE, 2019a).

Acresce ainda que não são apresentados dados diferenciados por tipo de diabetes nos estudos mencionados pelo PND. Contudo, são apresentados alguns dados referentes à Diabetes tipo 1, que apresentam ainda maiores incoerências: i) em 2015, a OCDE estimou que 1,6 em 1000 crianças até aos 14 anos desenvolvam a doença em Portugal; ii) entre 2017 e 2018 apenas metade das instituições do SNS reportaram novos casos, resultando

em 412 casos no total para a população até aos 19 anos; iii) é apontada uma taxa de incidência de 10,8% na população até aos 14 anos por 100 mil habitantes, sendo que tem vindo a registar uma descida gradual desde 2015. É expectável que as taxas se encontrem subvalorizadas devido às lacunas nos dados (DGS, 2019).

É reconhecido pelo PND que não existe um consenso relativamente aos números da prevalência da patologia em Portugal, considerando que os estudos realizados adotaram métodos de diagnóstico diferentes assim como as faixas etárias diversas (DGS, 2019). Por sua vez, a taxa de incidência é também desconhecida, uma vez que é necessário conhecer a prevalência para o seu cálculo. O conhecimento destes dados é fundamental para a realização de uma AIO rigorosa. Contudo, conforme demonstrado, não se conhece nem a prevalência nem a taxa incidência da Diabetes em Portugal.

No âmbito do modelo utilizado por Baxter *et al.* (2016), o *IMS Diabetes Core Model*, o *input* principal de dados diz respeito aos dados demográficos dos doentes para definir as coortes populacionais. Nestes devem estar definidos a idade, género, data de diagnóstico da Diabetes, nível de HbA_{1c}, entre outros fatores individuais do doente. Estes permitem dividir a população em estudo em subgrupos homogéneos, realizando uma rigorosa análise de prevalência e da incidência. A incidência das complicações será um dos fatores mais importantes a ter em conta na AIO, pois é com base nela que será determinada a probabilidade de ocorrência das complicações futuras. Paralelamente à metodologia recomendada por Sullivan *et al.* (2014), estes representam os custos de outros cuidados de saúde relacionados com a doença alvo da AIO. Serão também fundamentais, pois irão permitir avaliar os custos evitados através da prevenção das complicações associadas à doença.

O PND apenas refere o número de doentes que registam uma avaliação inferior ou igual a 8% de HbA_{1c}. A nível nacional, cerca de 70% dos doentes inscritos nas unidades de CSP em 2018, tinham um registo de HbA_{1c} no último semestre. Da avaliação realizada, apenas cerca de 30% registaram valores abaixo dos 64 mmol/mol (8%), o que poderá significar que dois terços da população diabética com registo de HbA_{1c} registaram níveis considerados elevados de glicemia (DGS, 2019). Este dado é insuficiente para uma divisão clara e precisa do nível de glicemia na população diabética em Portugal, o que inviabiliza a divisão da população em coortes por nível de glicemia e consequentemente a utilização do *IMS Diabetes Core Model*.

A tecnologia em estudo consiste num reforço daquilo que já é realizado ao nível da terapêutica de controlo da Diabetes em Portugal, isto é, a monitorização da diabetes através do controlo dos níveis de HbA_{1c}. Com efeito, o cenário base da AIO deve ter em conta a prática clínica corrente no controlo da Diabetes através da monitorização do nível de HbA_{1c} dos doentes. Por outro lado, o novo cenário – comparador - deve ter como objetivo o início mais precoce da terapêutica a fim de manter o nível de glicemia inferior a 6,5%, conforme recomendado pela DGS. A manutenção deste nível de glicemia pretende prevenir o aparecimento de complicações no futuro, representando poupanças para o SNS. Por conseguinte, o pretendido não será substituir a terapêutica utilizada em prática corrente, mas iniciar a mesma mais cedo a fim de evitar um aumento nos níveis de glicemia acima do recomendado.

O custo por cada análise clínica para determinação de HbA_{1c} é de 7,30€, conforme observado na base de dados de Grupos de Diagnóstico Homogéneos (GDH) (Portaria n.º 207/2017, de 11 de julho). O custo das complicações poderá também ser calculado, em parte, com base nos GDH. Conforme referido pela Administração Central do Sistema de Saúde (2020), os GDH “constituem um sistema de classificação de doentes internados em hospitais de agudos que agrupa doentes em grupos clinicamente coerentes e similares do ponto de vista do consumo de recursos”. A cada grupo é atribuído o custo médio nacional de tratamento de um doente típico. Esta é uma base de dados disponível para o público em geral e a partir da qual poderão ser calculados os custos de internamento para as complicações dos doentes diabéticos. Contudo, a base de dados não reflete a realidade ao nível dos CSP, onde se realiza a monitorização dos doentes e a maioria das consultas de acompanhamento das complicações.

Os dados disponíveis não reportam a prática clínica corrente no que diz respeito à frequência de medição do nível de HbA_{1c} nem à incidência das complicações. Assim, são analisados os dados reportados pelo PND de 2019, os dados da APDP e o estudo realizado por Pinto, Duarte and Mendes (2020).

O estudo de Pinto, Duarte and Mendes (2020), teve como objetivo perceber a importância dos meios de Diagnóstico in Vitro (DiV), geralmente denominado de análises clínicas, no rastreio e gestão da Diabetes e suas complicações. O DiV é responsável pela monitorização terapêutica da doença, influenciado a sua modificação, nomeadamente através da medição de nível de HbA_{1c}. Este foi o primeiro estudo realizado em Portugal

acerca da avaliação do impacto orçamental do controle da glicemia na Diabetes. Com os poucos dados disponíveis acerca do tema, o estudo foi realizado com recurso a dois painéis de peritos: médicos de Medicina Geral e Familiar (MGF) e de Diabetologia (MD). O primeiro fornecendo uma perspetiva da prática clínica corrente nos CSP e o segundo painel nas unidades hospitalares.

No que diz respeito ao doseamento da HbA1c, realizado através do DiV, ao nível dos CSP, segundo o painel de MGF este parâmetro é avaliado duas vezes por ano em 75% dos pacientes. Por outro lado, em ambiente hospitalar, perspetiva dos médicos diabetologistas, a mesma análise é requerida a 90% dos doentes também duas vezes por ano. No conjunto, todos os especialistas concordaram que a medida contribui para a melhoria do controlo glicémico.

Quanto às complicações analisadas, foi calculada a despesa do SNS com as seguintes complicações da Diabetes: Nefropatia, Acidente Vascular Cerebral (AVC), Enfarte Agudo do Miocárdio (EAM) e amputações do Pé Diabético. A metodologia seguida pelos autores foi a estimação da incidência das complicações estudadas com recurso ao número de novos internamentos reportados no relatório do Observatório da Diabetes (2016) e ao painel de especialistas MD, uma vez que os internamentos por complicações ocorrem maioritariamente em unidades hospitalares. Assim, foi estimado que 30% dos doentes internados com nefropatia em estado avançado têm Diabetes tipo 1, desses 21% realizam transplante renal; e 70% têm Diabetes tipo 2, sendo que 0,02% fazem também transplante. Quanto às doenças do pé diabético que evoluem para amputação, 90% dos doentes doente amputados têm Diabetes tipo 2 e 10% Diabetes tipo 1. Para as doenças macrovasculares, designadamente o AVC e o EAM, é referido que a Diabetes tipo 1 está presente em 5% e 10% dos doentes diabéticos internados, respetivamente. Os restantes doentes diabéticos têm Diabetes tipo 2 (Pinto, Duarte and Mendes, 2020). Segundo o PND, os internamentos de doentes diabéticos por AVC e EAM são mais demorados e a mortalidade é mais elevada (DGS, 2019).

A análise de impacto orçamental foi realizada com recurso à incidência reportada pelo painel de peritos e aos GDH. Os dados recolhidos pelos autores foram corridos no IMS Core Diabetes Model, à semelhança da análise realizada por Baxter *et al.* (2016). Da análise resultou uma poupança de cerca de 32 milhões de euros, referindo uma subestimação dos resultados devido às limitações do estudo, nomeadamente a lacuna de

dados disponíveis sobre os consumos em ambulatório. Por exemplo, o cálculo do custo da nefropatia limitou-se ao do transplante de rim, devido à inexistência de dados que permitissem calcular, em particular, os referentes à diálise renal.

As complicações principais são a retinopatia diabética, doenças do pé diabético, nefropatia e outras doenças macrovasculares como o AVC e EAM.

A Retinopatia Diabética e a Neuropatia, uma doença comum do pé diabético, não foram abordadas no estudo, uma vez que a prática clínica corrente ocorre maioritariamente ao nível dos CSP e o consumo destes não consta nos GDH. A fim de perceber a incidência destas complicações foi consultado o PND (2019). Quanto à retinopatia, é apresentado o número de casos detetados nos rastreios realizados nos CSP. Contudo, as taxas de adesão ao rastreio demonstram grandes disparidades no território nacional, sendo que o número de instituições que reportaram dados não representam a totalidade. Ademais, o número de população elegível não foi alvo de convite ao rastreio na sua totalidade. No ano de 2018, a população total convidada a comparecer no rastreio de retinopatia foi cerca de metade da população total elegível. Por conseguinte, a taxa de adesão ao mesmo rastreio foi de 62%, sendo detetados cerca de 10 000 casos no total. A neuropatia não foi abordada nos documentos disponibilizados (DGS, 2019).

Em relação aos restantes rastreios realizados, são apresentados os seguintes dados: i) rastreio de nefropatia: 64% dos utentes diabéticos ao nível dos CSP realizaram exames à urina para avaliação da albuminúria; ii) pé diabético: o rastreio foi efetuado por 71% da população alvo nos CSP em 2018 e destes, mais de 10% apresentavam risco médio-alto de desenvolver úlcera no pé ativa (DGS, 2019).

Assim, a incidência cumulativa e os custos das complicações da patologia foram claramente subvalorizados, comprometendo a realização de uma AIO rigorosa.

4. DISCUSSÃO

Esta dissertação teve como objetivo averiguar acerca da existência e disponibilidade de dados para realizar uma AIO sobre o controlo glicémico da Diabetes.

A AIO é parte integrante do estudo de AETS, em particular por se tratar de custo efetividade e custo de utilidade com o objetivo de otimizar o orçamento da saúde. Contudo, segundo a portaria 391/2019, de 30 de outubro, os cenários base que identificam a prática clínica corrente seguida na patologia em estudo, devem ser construídos com base na avaliação farmacoterapêutica realizada pelo INFARMED, I.P.. Uma vez que esta apenas compreende fármacos, é compreensível uma lacuna da própria portaria no que diz respeito à avaliação de impacto de dispositivos médicos, ou outras terapêuticas que combinem as duas tecnologias de saúde. Esse é o caso do impacto do controlo da glicemia na Diabetes, que deve ser realizado através de análises frequentes à HbA1c, através do DiV (dispositivo médico) e consequente terapêutica sempre que for identificado um desvio do nível ideal de glicemia (6,5%).

Quanto à disponibilização de dados, é desde logo perceptível as enormes lacunas que existem, nomeadamente, no que se refere à epidemiologia da doença. A importância do conhecimento epidemiológico da Diabetes é essencial, não apenas para a realização da AIO, mas para qualquer política de saúde relacionada com a patologia. Gulis and Fujino (2015) referem que este é um fator crucial no conhecimento do estado de saúde de uma população, na identificação de fatores de risco e na relação entre estes e a saúde. O conhecimento da epidemiologia deve ser utilizado na definição de políticas públicas de saúde com o objetivo de produzir intervenções concretas no controlo de uma patologia. A esse respeito é salientado pela DGS (2019) no PND que “É importante conhecer a prevalência de Diabetes a nível nacional e regional, para reconhecer a dimensão do problema, a eficácia das estratégias implementadas e redefinir estratégias de prevenção e controlo da doença. O último estudo populacional foi realizado em 2015”.

De referir, ainda, a importância de uma base de dados específica para a Diabetes, dada a importância da doença e o impacto que esta traduz em termos financeiros no orçamento do SNS.

Em 2016, a OMS estimou que cerca de 60% da população portuguesa estava acima do peso recomendado e mais de 20% sofria de obesidade – fatores de risco para o

desenvolvimento da Diabetes tipo 2. Desta forma, é espectável o aumento da prevalência desta patologia em Portugal (OMS, 2016).

Como consequência, torna-se urgente a implementação de medidas com vista ao maior controlo glicémico dos doentes, e ainda, de diagnóstico precoce da doença e respetivas complicações. Desta forma será possível atingir poupanças elevadas, conforme referido anteriormente. A implementação desta medida deve ter como base o profundo conhecimento do estado da patologia em Portugal. Para tal, deverão ser analisados os dados dos doentes através de uma base de dados administrativos. Estas são um instrumento importante para estudar a prática clínica corrente, os consumos e os custos. Cadarette and Wong (2015) refere ainda que os estudos que utilizam dados administrativos são mais eficientes, uma vez que refletem o público alvo através de dados reais dos mesmos, sem necessidade de recorrer a questionários ou outros métodos de estatística. Contudo, é comum o acesso às mesmas estar ainda sujeito a atrasos incompatíveis com o propósito do estudo, tornando inviável a sua utilização. A Plataforma SIM@SNS é uma base de dados que não está disponível ao público em geral, mas referida como fonte de dados de grande parte dos apresentados no PND (2019). Com efeito, a AIO deve recorrer à plataforma referida. Caso não seja possível, à semelhança do estudo realizado por Pinto *et al.* (2020), poderá também recorrer-se a um de painel de peritos especializados no tema, no entanto, esta fonte de dados é considerada pouco rigorosa e questionável quando utilizada exclusivamente.

De salientar que a disponibilidade de dados põe em causa, não só a elaboração da AIO, como também do estudo de AETS, uma vez os dados requeridos são comuns em algumas fases do procedimento. Em alguns estudos de AETS consultados, houve necessidade de recorrer a peritos, como por exemplo, na avaliação do medicamento Kadcylla (Trastuzumab emtansina), datado de junho de 2020 ou na avaliação do medicamento Erleada (Apalutamida), datado da mesma data. Nos exemplos referidos, o painel de peritos foi consultado a fim de ser compreendida a prática clínica corrente e os consumos durante o tratamento.

Quanto à aferição de custos, os GDH constituem uma base de dados que contém custos de internamentos e de episódios em ambulatório. Contudo, conforme referido, esta não contém os custos dos CSP, onde se realiza a monitorização e tratamento de algumas das complicações da Diabetes. Exemplos são a neuropatia, uma das complicações mais

comuns nas doenças do pé diabético e com mais custos associados que é tratada maioritariamente nos CSP, por esse motivo o seu custo não se encontra nos GDH e é também omissa no PND (2019). De referir que esta foi também uma das patologias que obteve mais poupança na análise realizada por Baxter *et al.* (2016). Outro dos casos, é a amputação, decorrente também de complicações do pé diabético, em que são definidos preços consoante o raio de amputação e, ainda, preços da sutura por dedo amputado, nos GDH. Ora, não sendo conhecida informação que permita aferir quais os procedimentos utilizados na população diabética, não é exequível a sua valorização rigorosa com base nos GDH. Por último, pode ainda ser referido o caso da diálise, procedimento realizado por doentes com insuficiência renal. Neste caso, nos GDH é apresentado o respetivo custo discriminado por um conjunto de fatores como o tempo de diálise (Portaria n.º 207/2017, de 11 de julho). No entanto, não sendo conhecidos os detalhes da diálise realizada pelos doentes diabéticos, é impossibilitada a sua correspondência para determinar o custo.

Contudo, é descrito na Informação n.º 001/2013, de 19 de fevereiro da DGS, um conjunto de procedimentos a ter em conta para uma prevenção adequada das complicações da Diabetes. Estes poderão ser adotados para constituir parte do cenário comparador, no que diz respeito à prática clínica.

No que concerne à terapêutica da doença, são consideradas as seguintes intervenções: plano alimentar e de atividade física adequados ao doente e medicação. É reconhecido que a grande maioria dos pacientes necessita de intervenção farmacológica. Esta, deve ser iniciada numa fase inicial das alterações metabólicas provocadas pela doença, porquanto é a forma mais eficaz de prevenir o aparecimento das complicações da doença e melhorar a qualidade de vida do doente. A DGS refere como fármaco de eleição a metformina. Este tem como objetivo controlar a glicemia para níveis inferiores a 6,5% de HbA1c. Deverá ser prescrito apenas após a implementação e avaliação de medidas de alteração para um estilo de vida mais saudável do doente.

O diagnóstico da diabetes é também de elevada importância, uma vez que segundo o Observatório Nacional da Diabetes (2016), em concordância com outros estudos realizados, 45% da população em Portugal desconhece ter a doença. Segundo a OMS, o diagnóstico da doença numa fase primária desta pode ajudar no controlo da mesma (OMS, 2006). O Diagnóstico da Diabetes deve ser realizado através da medição da glicemia em jejum, de oito horas no mínimo; através da medição de glicemia com recurso à Prova de

tolerância à glicose oral (PTOG) ou ainda através da medição de HbA1c com valores superiores a 6,5%. Caso o doente não apresente sintomas da doença, o diagnóstico deve ser repetido dentro de uma a duas semanas. Segundo a DGS (2013), o diagnóstico precoce deve ser percebido numa fase precoce da doença, com o objetivo de prevenir também o desenvolvimento das complicações associadas.

PERSPETIVAS DE TRABALHO FUTURO

Como futuros trabalhos de investigação é sugerido em primeiro lugar a construção de uma base de dados para a Diabetes, tendo como prioridade o estudo epidemiológico da doença em Portugal, nomeadamente a prevalência e a incidência na população e por subgrupos de doentes. A base de dados deverá também refletir os dados dos pacientes tendo como objetivo representar a prática clínica corrente na gestão desta patologia e a determinação dos consumos dos cuidados utilizados no tratamento da doença e suas complicações em Portugal.

Em segundo lugar, a harmonização da informação existente, nomeadamente a interoperabilidade entre a informação reportada pelas unidades hospitalares e pelos CSP. Fundamental para o rigoroso seguimento dos doentes diabéticos, uma vez que as complicações da doença são tratadas no conjunto destas instituições de saúde.

Por fim, a realização de uma AIO acerca do melhor controlo glicémico, compreendendo o impacto do início mais precoce da terapêutica para controlar os níveis de HbA1c.

CONTRIBUIÇÕES PARA A POLÍTICA DE SAÚDE

A Diabetes é uma patologia crónica com grande impacto social e económico na medida em que as suas complicações originam frequentemente o elevado consumo de cuidados e por vezes, a morte. A sua crescente prevalência em Portugal reflete custos elevados no orçamento do SNS e no da Segurança Social.

A OCDE estimou que, em 2017, Portugal gastou cerca de metade do orçamento do SNS nos cuidados ambulatoriais, em contraposição a menor parcela do mesmo orçamento – cerca de 2% - foi afetado aos cuidados de prevenção. Consequentemente, Portugal é dos países europeus com menor gasto na prevenção (OCDE, 2019b).

Do trabalho realizado depreendem-se as potenciais vantagens que a prevenção da Diabetes e das complicações associadas representam no orçamento do SNS. Tornando a intervenção terapêutica precoce na doença de elevada relevância na delineação de políticas da saúde.

CONCLUSÃO

A informação disponível acerca do controlo glicémico na Diabetes para realização da análise de impacto orçamental é manifestamente insuficiente, nomeadamente, no que diz respeito à descrição da população alvo e da prática clínica corrente. Esta é primordial para o conhecimento do estado da patologia em Portugal, tendo sido por isso, foi também a maior limitação no decorrer deste trabalho.

A aplicabilidade da informação existente às orientações metodológicas encontra também dificuldades na medida em que estas são orientadas para estudos de avaliação de medicamentos, não contemplando a totalidade de tecnologias de saúde.

As críticas formuladas ao longo da dissertação para a elaboração da AIO são também válidas, com as devidas adaptações, para os estudos de avaliação económica, uma vez que os dados necessários às duas abordagens são idênticos.

Contudo, da análise realizada é notória a grandeza do impacto orçamental que advém da prevenção da Diabetes, consagrando-se a intervenção precoce nesta patologia de elevada relevância para a poupança futura do SNS. Além do mais, dadas as implicações da Diabetes no estado de saúde dos doentes, a sua prevenção irá ao encontro do objetivo da avaliação económica na saúde: dar mais anos à vida e mais vida aos anos.

REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

Administração Central do Sistema de Saúde, I.P. – ACSS (2020). Grupos de Diagnóstico Homogéneo. Disponível em: <http://www2.acss.min-saude.pt>

APDP (2019). Complicações, Portal da Diabetes. Disponível em: <https://apdp.pt/diabetes/complicacoes/>.

Babigumira, J. (2017). *Budget Impact Analysis*. School of Public Health - University of Whashington.

Baxter, M. et al. (2016). Estimating the impact of better management of glycaemic control in adults with Type 1 and Type 2 diabetes on the number of clinical complications and the associated financial benefit. *Diabetic Medicine* 33(11), 1575–1581.

Bierbaum, M. (2014). Proposal for a Comprehensive Definition of Budget Impact Analysis. *Value in Health* 17(7), A548–A549.

Cadarette, S. and Wong. L. (2015). An introduction to health care administrative data. *The Canadian Journal of Hospital Pharmacy* 68(3), 232-237.

Clarke, P. et al. (2003). The impact of diabetes-related complications on healthcare costs: results from the United Kingdom Prospective Diabetes Study (UKPDS Study No. 65). *Diabetic Medicine* 20, 442-450.

Direção-Geral da Saúde (2019). Programa Nacional para a Diabetes 2019. Desafios e Estratégias. Lisboa.

Direção-Geral da Saúde (2020). Mortalidade em Portugal. Disponível em: <https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiOGRhNjdjYzgtOGZmNy00NDZjLWI1YTctNWQyNzRiMDg3Nz%20JiliwidCI6IjQyOTc3ZjkwLWE1NjltNDk1OS04ZjJlLTE4NDE2NjI1Zjc2NiIsImMiOjh9&mnredir=1&inc=6047AAAAAAAAAAAAAAAAAAAAAA>

Drummond, M. F. *et al.* (2015). *Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes*, 4^a ed. Oxford: Oxford University Press.

Edelman, S. V. *et al.* (2001). Home testing of fructosamine improves glycemic control in patients with diabetes. *Endocrine Practice* 7(6), 454–458.

Garattini, L. and Van De Vooren, K. (2011). Budget impact analysis in economic evaluation: A proposal for a clearer definition. *European Journal of Health Economics* 12(6) 499–502.

Gulis, G. and Fujino, Y. (2015). Epidemiology, population health, and health impact assessment. *Journal of Epidemiology* 25(3), 179–180.

Hex, N. *et al.* (2012). Estimating the current and future costs of Type1 and Type2 diabetes in the UK, including direct health costs and indirect societal and productivity costs. *Diabetic Medicine* 29(7), 855–862.

Inês, M. *et al.* (2014). Quinze anos de avaliação económica de medicamentos em Portugal: uma revisão. *Revista portuguesa de farmacoterapia* 6, 162–177.

INFARNED, I.P. (2020). Circular normativa n.º 064/CD/100.20.200, de março de 2019 – Pedido de definição de proposta inicial de avaliação (PICO) para efeitos de financiamento após parecer positivo CHMP. Disponível em: <https://www.infarmed.pt/documents/15786/2897018/Pedido+de+definição+de+proposta+inicial+de+avaliação+%28PICO%29+para+efeitos+de+financiamento+após+parecer+positivo+do+CHMP/adad5d01-19d4-4bc9-a104-4dbd174e9d44?version=1.0>

INFARMED, I.P. (2020). Relatório Público de Avaliação – Erleada (Apalutamida). Disponível em: <https://www.infarmed.pt/web/infarmed/relatorios-de-avaliacao-de-financiamento-publico>

INFARMED, I.P. (2020). Relatório Público de Avaliação – Kadcylla (Trastuzumab Emtansina). Disponível em: <https://www.infarmed.pt/web/infarmed/relatorios-de-avaliacao-de-financiamento-publico>

Instituto Nacional de Estatística, I.P. (2019). *Causas de Morte 2017*. Lisboa: Instituto Nacional de Estatística, I.P.

Instituto Nacional de Estatística, I.P. (2020). *Estatísticas da Saúde 2018*. Lisboa: Instituto Nacional de Estatística, I.P.

Instituto Nacional de Saúde Doutor Ricardo Jorge IP (2016). *1º Inquérito Nacional de Saúde com Exame Físico (INSEF 2015): Estado de Saúde*. Lisboa: INSA IP.

IQVIA (2017). IQVIA Core Diabetes Model. Disponível em: <https://www.core-diabetes.com/>

Kerr, M., *et al.* (2012). Estimating the financial cost of chronic kidney disease to the NHS in England. *Nephrol Dial Transplant* 3(3), 73-80.

Klein, R. and Klein, B. (1998). Relation of Glycemic Control to Diabetes Complications and Health Outcomes. *Diabetes Care* 21(3), 39-43.

Ligthelm, R. J. *et al.* (2007). Importance of Observational Studies in Clinical Practice. *Clinical Therapeutics* 29(6/1), 1284–1292.

Mauskopf, J. and Earnshaw, S. (2016) A Methodological Review of US Budget-Impact Models for New Drugs. *Pharmacoeconomics* 34(11), 1111-1131.

McEwan, P. *et al.* (2014). Validation of the IMS CORE diabetes model. *Value in Health*. 17(6), 714–724.

Ministério da Saúde (2018). *Retrato da Saúde 2018, Portugal*. Lisboa: Ministério da Saúde.

National Collaborating Centre for Chronic Conditions (2008). Type 2 diabetes: national clinical guideline for management in primary and secondary care (update). *NICE Clinical Guidelines* (66) London: Royal College of Physicians.

NICE (2013). Guide to the methods of technology appraisal 2013. *Process and methods (PMG9)*. Disponível em: www.nice.org.uk/process/pmg9/

NICE (2015). Type 2 diabetes in adults: management. *NICE Guideline* 20(30), 67.

NICE (2017). Assessing resource impact process manual: technology appraisals and highly specialised technologies. Disponível em: www.nice.org.uk/

Observatório Nacional da Diabetes (2016). *Diabetes: Factos e Números – O Ano de 2015*. Lisboa: Sociedade Portuguesa de Diabetologia.

OECD (2019a). Health at a Glance 2019: OECD Indicators. Paris: OECD Publishing.

OECD/European Observatory on Health Systems and Policies (2019b). *Portugal: Perfil de Saúde do País 2019*. Paris: OECD Publishing

Perelman, J. *et al.* (2019) Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Económica de Tecnologias de Saúde. Lisboa: INFARMED, I.P.. Disponível em: www.infarmed.pt.

Pink, J. *et al.* (2011). Dabigatran etexilate versus warfarin in management of non-valvular atrial fibrillation in UK context: quantitative benefit-harm and economic analyses. *BMJ* 343.

Pinto, C., Mendes, J. and Duarte, R. (2020). Relevância do diagnóstico in vitro na otimização clínica e económica da gestão da diabetes. *Revista Portuguesa da Diabetes*. Em publicação.

Rai, M. and Goyal, R. (2017). Chapter 33 - Pharmacoeconomics in Healthcare. In: Vohora, D. and Singh, G., (Eds.) *Pharmaceutical Medicine and Translational Clinical Research*, Academic Press: Elsevier, pp. 465-472.

Sacks, D. B. et al. (2011). Guidelines and recommendations for laboratory analysis in the diagnosis and management of diabetes mellitus. *Clinical Chemistry* 57(6), 1-47.

Song, J. W. and Chung, K. C. (2010). Observational studies: cohort and case-control studies. *Plastic and reconstructive surgery* 126(6), 2234–2242.

Stolar, M. (2010). Glycemic Control and Complications in Type 2 Diabetes Mellitus. *American Journal of Medicine* 123(3), 3–11.

Sullivan, S. D. et al. (2014). Budget impact analysis - Principles of good practice: Report of the ISPOR 2012 budget impact analysis good practice II task force. *Value in Health* 17(1), 5–14.

Tordrup, D., Angelis, A. and Kanavos, P. (2013). Preferences on policy options for ensuring the financial sustainability of health care services in the future: Results of a stakeholder survey. *Applied Health Economics and Health Policy* 11(6), 639–652.

Trueman, P., Drummond, M. and Hutton, J. (2001). Developing guidance for budget impact analysis. *Pharmaco Economics* 19(6), 609–621.

WHO (2007). *Sixtieth World Health Assembly WHA60.29 Health Technologies*. Geneva: WHO

WHO (2016). *Global report on Diabetes*. Paris: WHO.

WHO (2020). *Diabetes*. Disponível em: www.who.int/health-topics/diabetes

Yagudina, R. I. *et al.* (2017). Concept of Combining Cost-Effectiveness Analysis and Budget Impact Analysis in Health Care Decision Making. *Value in Health Regional Issues* 13, 61–66.

LEGISLAÇÃO:

Decreto-Lei n.º 97/2015, de 01 de junho. Diário da República – 1ª Série. Ministério da Saúde. Lisboa

Informação n.º 001/2013, de 19 de fevereiro. Processo Assistencial Integrado da Diabetes Mellitus tipo 2. Direção-Geral de Saúde

Portaria n.º 207/2017, de 11 de julho. Diário da República – 1ª Série. Ministério da Saúde. Lisboa

Portaria n.º 391/2019 de 30 de outubro. Diário da República – 1.ª série. Ministério da Saúde. Lisboa.

Norma n.º. 033/2011, de 30 de setembro. Atualizada a 6 de dezembro de 2012. Prescrição e Determinação da Hemoglobina Glicada A1c. Direção-Geral da Saúde.