

RODA DE CONVERSA - SÍNTESES DE EVIDÊNCIAS E OUTRAS
ESTRATÉGIAS DE TRADUÇÃO DO CONHECIMENTO

**DOENÇAS RARAS DEVEM SER TRATADAS DE FORMA DISTINTA NAS
DECISÕES DE COBERTURA DOS SISTEMAS DE SAÚDE? UMA
OVERVIEW DE REVISÕES**

Livia Fernandes Probst (probstlivia@gmail.com)

Everton Nunes Da Silva (evertonsilva@unb.br)

Renata Cristina Ferreira Rola (re.ferreira.cristina@gmail.com)

Jorge Otávio Maia Barreto (jorgeomaia@hotmail.com)

Viviane Karoline Da Silva Carvalho (vivi_unb@hotmail.com)

Ivan Ricardo Zimmermann (ivanzricardo@gmail.com)

Avila Teixeira Vidal (avila.ats@gmail.com)

Marisa Da Silva Santos (marisaccih@gmail.com)

Introdução: Há uma literatura crescente demandando flexibilidade nos critérios de tomada de decisão para doenças raras ou ultrarraras, dadas as suas especificidades, abrangendo a comprovação de evidências científicas (avaliação de tecnologias em saúde), critérios de eficiência (disponibilidade a pagar), governança do processo deliberativo e implementação (contratos de compartilhamento de risco).

Objetivos: Mapear e sintetizar critérios diferenciados em doenças raras nas decisões de cobertura e identificar a adoção desses critérios por agências de ATS em diferentes tipos de sistemas de saúde.

Metodologia: Foi conduzida uma overview de revisões, em conformidade com as recomendações da Cochrane para overviews. As buscas (agosto de 2025) abarcaram MEDLINE, CINAHL, Embase, Scopus, Web of Science, Cochrane Library e Epistemonikos, além de literatura cinzenta de agências e Ministérios da Saúde (INAHTA/RedETSA). Os critérios de elegibilidade foram definidos a partir do acrônimo PCC: População — doenças raras; Conceito — critérios propostos ou aplicados para decisões de cobertura/desinvestimento; Contexto — âmbito sistêmico (nacional ou regional). A triagem e a extração foram realizadas em dupla, com formulário padronizado, e a qualidade metodológica das revisões foi avaliada pelo checklist JBI. Não foram conduzidas meta-análises nem novas avaliações GRADE. O protocolo foi registrado prospectivamente no PROSPERO: CRD420251115351.

Resultados: De 2.261 registros, 17 revisões incluídas (10 sistemáticas, 7 de escopo). As definições de doença rara variam entre limiares e critérios como gravidade e ausência de alternativas. O uso de critérios tradicionais (efetividade/eficácia, segurança, custo-efetividade, impacto orçamentário) foi heterogêneo e alinhado ao tipo de sistema: universais usam conjuntos mais amplos e estruturados (com limiares e avaliação de qualidade); meritocráticos priorizam custo-efetividade e vantagem terapêutica; residuais aplicam critérios seletivos. Critérios adicionais aparecem de modo desigual: gravidade, raridade, participação de pacientes, vias especializadas, equidade/solidariedade e benefícios socioeconômicos. Nenhuma revisão avaliou viés de relato ou certeza por GRADE, reduzindo a confiança nos achados.

Conclusões/Considerações finais: Abordagens para cobertura em doenças raras variam entre países e modelos de sistema, com incorporação crescente, ainda que desigual, de critérios além da custo-efetividade. A ausência de avaliação de viés de relato e de certeza nas revisões limita a força e a aplicabilidade das conclusões. São necessários marcos claros, contextuais e transparentes, com participação sistemática de pacientes e tratamento explícito de equidade.

Palavras-chave: doenças raras; sistemas de saúde; tomada de decisões; equidade em cobertura.