CAPÍTULO 08

AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE (ATS): EVOLUÇÃO HISTÓRICA, TIPOS DE ESTUDO E O PAPEL ESTRATÉGICO DE RWD/RWE

HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT (HTA): HISTORICAL EVOLUTION, TYPES OF STUDIES, AND THE STRATEGIC ROLE OF RWD/RWE

EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS (ETS): EVOLUCIÓN HISTÓRICA, TIPOS DE ESTUDIO Y EL PAPEL ESTRATÉGICO DE RWD/RWE

https://doi.org/10.63026/acertte.v1i1.300.8

Matheus Rodrigues Luiz
Karla Regina Dias de Oliveira
Márcia Mello Costa De Liberal

RESUMO

A Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) consolidou-se como ferramenta estratégica para orientar decisões sobre incorporação, cobertura e uso de tecnologias em saúde. Este capítulo apresenta um panorama histórico da ATS, discute os principais tipos de estudo utilizados nesse campo e destaca o papel dos dados de mundo real (real-world data – RWD) e da evidência de mundo real (real-world evidence – RWE) na produção de evidências para a tomada de decisão. Também se enfatiza que a relevância dessas evidências não se limita à etapa pré-incorporação, estendendo-se ao período pós-incorporação, em que contribuem para compreender acesso, implementação, uso efetivo e sustentabilidade das tecnologias. No contexto brasileiro, essa discussão ganha especial importância diante da coexistência entre o Sistema Único de Saúde e a saúde suplementar, bem como das diferentes dinâmicas regulatórias e assistenciais envolvidas.

Palavras-chave: avaliação de tecnologias em saúde; dados de mundo real; evidência de mundo real; incorporação de tecnologias; saúde suplementar.

ABSTRACT

Health Technology Assessment (HTA) has become a strategic tool to guide decisions on the incorporation, coverage, and use of health technologies. This chapter presents a historical overview of HTA, discusses the main study designs used in this field, and highlights the role of real-world data (RWD) and real-world evidence (RWE) in evidence generation for decision-making. It also emphasizes that the relevance of such evidence is not limited to the pre-adoption stage, but extends to the post-adoption period, when it contributes to understanding access, implementation, actual use, and sustainability of technologies. In the Brazilian

context, this discussion is particularly relevant due to the coexistence of the public health system and the supplementary private sector, as well as the distinct regulatory and care dynamics involved.

Keywords: *health technology assessment; real-world data; real-world evidence; technology adoption; supplementary health.*

RESUMEN

La Evaluación de Tecnologías en Salud (ETS) se ha consolidado como una herramienta estratégica para orientar decisiones sobre incorporación, cobertura y uso de tecnologías en salud. Este capítulo presenta una visión histórica de la ETS, discute los principales tipos de estudio utilizados en este campo y destaca el papel de los datos del mundo real (real-world data – RWD) y de la evidencia del mundo real (real-world evidence – RWE) en la producción de evidencia para la toma de decisiones. También se enfatiza que la relevancia de estas evidencias no se limita a la etapa previa a la incorporación, sino que se extiende al período posterior, en el que contribuyen a comprender el acceso, la implementación, el uso efectivo y la sostenibilidad de las tecnologías. En el contexto brasileño, esta discusión adquiere especial importancia debido a la coexistencia entre el sistema público de salud y el sector suplementario privado, así como a las distintas dinámicas regulatorias y asistenciales involucradas.

Palabras clave*: evaluación de tecnologías en salud; datos del mundo real; evidencia del mundo real; incorporación de tecnologías; salud suplementaria.*

1 INTRODUÇÃO

A Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) surgiu na década de 1970, inicialmente nos Estados Unidos, como resposta ao crescimento acelerado das inovações médicas e ao aumento dos custos em saúde. O Office of Technology Assessment (OTA), criado em 1972, foi um dos primeiros órgãos a sistematizar análises sobre impacto clínico, econômico e social das tecnologias em saúde. [1]

Na década de 1980, países europeus como Reino Unido e Suécia, além do Canadá, passaram a desenvolver agências nacionais de ATS, ampliando o escopo internacional da prática. Esse movimento consolidou a ATS como disciplina multidisciplinar, integrando evidências científicas, análises econômicas e aspectos éticos para apoiar decisões de incorporação tecnológica. [1,2]

Em 1993, foi criada a International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA), reunindo agências de diversos países e fortalecendo a cooperação internacional. Posteriormente, em 2003, surgiu a Health Technology Assessment International (HTAi), associação científica global dedicada ao tema. [3,4]

A Rede Internacional de Agências para Avaliação de Tecnologias em Saúde (INAHTA) reúne atualmente mais de 50 organizações de 32 países, todas sem fins lucrativos e financiadas majoritariamente por recursos públicos. [3]

Na América Latina, a institucionalização da ATS ganhou força com a criação da RedETSA em 2010, apoiada pela Organização Pan-Americana da Saúde (OPAS/OMS), com o objetivo de fortalecer a cooperação regional. No mesmo ano, o Brasil instituiu a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), marco fundamental para a ATS no país. [5,6]

Assim, a ATS consolidou-se como ferramenta essencial para garantir que decisões em saúde sejam transparentes, baseadas em evidências e socialmente responsáveis, equilibrando inovação tecnológica com sustentabilidade dos sistemas de saúde. [2,7]

Apesar dos avanços históricos da ATS desde a década de 1970, os sistemas de saúde enfrentam atualmente desafios crescentes relacionados à incorporação de tecnologias inovadoras, como terapias gênicas, medicamentos de alto custo e dispositivos digitais. Esses avanços, embora promissores, trazem pressões econômicas significativas e exigem análises rigorosas de custo-efetividade e impacto social. [7]

Além disso, a globalização e a velocidade da inovação tecnológica ampliaram a necessidade de cooperação internacional, tornando redes como a INAHTA, HTAi e RedETSA fundamentais para o compartilhamento de evidências e metodologias. [8]

Portanto, estudar a história e a cronologia da ATS não apenas permite compreender sua evolução, mas também evidencia sua importância atual como instrumento de racionalização de recursos, promoção da equidade e fortalecimento das políticas públicas de saúde. [2,7]

QUADRO 1: Cronologia da avaliação de tecnologias em saúde (ATS)

Período	Marco	Síntese
Anos 1960–1970	Nascimento da ATS nos Estados Unidos	O conceito de ATS surgiu nos Estados Unidos, impulsionado pelo aumento dos custos em saúde e pela necessidade de maior base científica para a incorporação de inovações tecnológicas, como o scanner de tomografia computadorizada em 1974.
1973	Criação do Office of Technology Assessment (OTA)	A criação do OTA representou um marco inicial na institucionalização da avaliação tecnológica, conferindo maior formalidade à análise de impactos clínicos, econômicos e sociais das inovações.
Anos 1980	Expansão europeia e metodológica	A ATS ganhou força no norte da Europa, com crescente ênfase em avaliações de eficácia, segurança e custo-efetividade.

Período	Marco	Síntese
1992	Fundação da Cochrane Collaboration	A criação da Cochrane Collaboration fortaleceu a produção de revisões sistemáticas de ensaios clínicos, tornando-se referência internacional para síntese de evidências relevantes à ATS.
1993	Fundação da INAHTA	A International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA) foi criada com o objetivo de promover intercâmbio de informações e colaboração entre agências de ATS de diferentes países.
Década de 1990	Criação de agências nacionais	Nesse período, diversos países passaram a estruturar agências nacionais de ATS. Destaca-se o NICE, fundado em 1999 no Reino Unido, com papel central na avaliação de custo-efetividade e na formulação de recomendações em saúde.
2003	Fundação da HTAi	A Health Technology Assessment International (HTAi) consolidou-se como a principal sociedade científica internacional dedicada à ATS.
2005	Criação da EUnetHTA	A European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA) reuniu agências europeias com o propósito de harmonizar metodologias e fortalecer a cooperação regional.
2010	Fundação da RedETSA	A Rede de Avaliação de Tecnologias em Saúde das Américas (RedETSA) foi criada em Buenos Aires, com apoio da OPAS/OMS, visando ampliar a cooperação regional em ATS.
2011–presente	Institucionalização e foco em tecnologias disruptivas	A ATS passou a incorporar metodologias voltadas à avaliação de terapias avançadas, tecnologias disruptivas e estratégias de maior envolvimento do paciente nos processos decisórios.

fonte: elaboração própria [1,3–6,16,20,21]

América Latina

Na América Latina, a Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) vem sendo aplicada progressivamente na tomada de decisões pelos gestores de saúde. Destacam-se algumas instituições pioneiras na região, como o Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS), na Argentina; a Unidad de Evaluación de Tecnologías de Salud (ETESA), no Chile; o Departamento

de Ciência e Tecnologia da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde (DECIT/MS), no Brasil; e o Centro Nacional de Excelencia Tecnológica en Salud (CENETEC), no México. [2]

Apesar desses avanços institucionais, a ATS ainda é considerada subutilizada em diversos países latino-americanos, principalmente em virtude do desconhecimento de seu potencial por parte dos tomadores de decisão. Essa limitação reflete a necessidade de maior capacitação técnica, fortalecimento das redes regionais e integração da ATS às políticas públicas de saúde. [2,8]

A criação da RedETSA em 2010, com apoio da OPAS/OMS, representou um marco importante para superar tais desafios, promovendo cooperação técnica e metodológica entre os países da região. Desde então, a ATS tem se consolidado como ferramenta estratégica para garantir sustentabilidade dos sistemas de saúde e ampliar o acesso equitativo às tecnologias. [5,8]

Brasil

No Brasil, os primeiros passos mais estruturados da Avaliação de Tecnologias em Saúde ocorreram entre as décadas de 1990 e 2000, quando o Ministério da Saúde, por meio do Departamento de Ciência e Tecnologia (DECIT/MS), passou a desenvolver esforços voltados ao fortalecimento da pesquisa aplicada e ao apoio à tomada de decisão sobre incorporação de tecnologias em saúde. Esse movimento foi importante para consolidar uma base técnico-científica capaz de sustentar decisões mais qualificadas no âmbito do sistema de saúde.Em 2006, foi criada a Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde (Rebrats), com o objetivo de articular instituições acadêmicas e de pesquisa, disseminar metodologias e capacitar profissionais na área. Ao longo do tempo, a rede consolidou-se como uma importante referência nacional para a produção e difusão de estudos em ATS. Posteriormente, em 2011, a institucionalização da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), por meio da Lei nº 12.401/2011, representou um marco decisivo para a ATS no país. Em substituição à antiga CITEC, a CONITEC passou a ser responsável por avaliar e recomendar a incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias no Sistema Único de Saúde, com base em evidências científicas e análises de custo-efetividade. [6,9–11]

Esse percurso histórico ajuda a entender que a ATS não se limita à avaliação pontual de tecnologias, mas se insere em um processo decisório mais amplo, atravessado por diferentes atores, etapas e necessidades de evidência. Apesar disso, os desafios atuais da ATS extrapolam a decisão inicial sobre incorporação, envolvendo também questões relacionadas à cobertura, à implementação, ao financiamento e ao acesso efetivo às tecnologias em saúde. [11,12]

A incorporação e a cobertura de tecnologias em saúde resultam de um processo complexo, que envolve diferentes instâncias decisórias e requer múltiplas formas de produção de evidência. Nesse percurso, a disponibilidade e a acessibilidade de uma tecnologia não se confundem. A primeira relaciona-se às etapas iniciais de autorização e entrada no mercado, ao passo que a segunda envolve sua efetiva oferta e utilização no sistema de saúde, sendo influenciada por fatores

regulatórios, assistenciais, econômicos e organizacionais. Nesse processo, participam diferentes atores, como a indústria, os órgãos reguladores e as instâncias de avaliação de tecnologias em saúde, cada qual respondendo a perguntas distintas e demandando conjuntos específicos de evidências. [12]

Por essa razão, a tomada de decisão em saúde não pode ser sustentada por um único desenho de estudo. Ensaios clínicos randomizados permanecem centrais para a demonstração de eficácia e segurança em condições controladas, mas estudos observacionais, epidemiológicos e econômicos também cumprem papel relevante ao descrever populações-alvo, padrões de cuidado, utilização de recursos, desfechos em prática clínica e aspectos relacionados à implementação. Em outras palavras, diferentes perguntas de decisão requerem diferentes estratégias de geração de evidência.[11,15]

É nesse contexto que os dados de mundo real e a evidência de mundo real, conhecidos como real-world data (RWD) e real-world evidence (RWE), ganham relevância crescente. Esses elementos complementam os ensaios clínicos ao permitirem a análise do uso das tecnologias em condições reais de prática, incluindo a identificação de pacientes, a avaliação de padrões assistenciais, o monitoramento de segurança, a realização de estudos epidemiológicos e as análises de utilização de recursos e custos. Seu valor reside justamente em ampliar a compreensão sobre o desempenho e a implementação das tecnologias ao longo de seu ciclo de vida.[13]

Cabe ressaltar, ainda, que o Guia de Boas Práticas para Estudos de Dados do Mundo Real da ANVISA, publicado em 2023, destaca que esse tipo de evidência pode ser utilizado em situações nas quais o ensaio clínico randomizado não é viável ou não é eticamente justificável. Além disso, a relevância dessas evidências não se limita às etapas que antecedem a incorporação, estendendo-se também ao período pós-incorporação, em que se tornam fundamentais para compreender padrões de utilização, barreiras de acesso, sustentabilidade da oferta e efetividade da tecnologia em condições reais de assistência. Assim, discutir a avaliação e a incorporação de tecnologias implica também discutir quais evidências são mobilizadas para sustentar decisões de cobertura, difusão e uso efetivo dessas tecnologias em saúde.[14]

2. RELEVÂNCIA DA ATS PARA O SETOR SAÚDE

No Brasil, a Avaliação de Tecnologias em Saúde assume importância particular em razão da coexistência entre um sistema público universal, o Sistema Único de Saúde (SUS), e um setor privado robusto, com dinâmicas distintas de incorporação tecnológica. No SUS, a ATS é fundamental para sustentar decisões orientadas por equidade, racionalidade e sustentabilidade financeira. Já no setor privado, a incorporação tende a ocorrer de forma mais rápida, embora nem sempre esteja pautada pelos mesmos critérios de custo-efetividade. [12]

Nesse contexto, a ATS contribui para fortalecer a transparência das decisões, ampliar a participação social, como ocorre, por exemplo, nas consultas públicas da CONITEC, e racionalizar o uso de recursos em saúde. Ao mesmo tempo, iniciativas como a Rebrats mantêm papel relevante

na produção científica e na capacitação técnica, enquanto a CONITEC se consolida como instância estratégica na avaliação e recomendação de tecnologias no país. [6,10]

A relevância da ATS também se explica por fatores estruturais. O crescimento dos custos em saúde, a crescente complexidade das tecnologias incorporadas e a necessidade de promover acesso equitativo exigem instrumentos capazes de avaliar segurança, eficácia, custo-efetividade e impacto assistencial antes da adoção em larga escala. Além disso, ao apoiar decisões com base em evidências robustas, a ATS contribui para prevenir desperdícios, reduzir riscos e fortalecer políticas públicas orientadas por critérios científicos. [1,2,15]

Sob essa perspectiva, compreender quem decide, em que momento e com base em quais evidências torna-se parte central da própria lógica da ATS.

3. AGÊNCIAS, REGULAÇÃO E TIPOS DE EVIDÊNCIA EM SAÚDE

A trajetória de uma tecnologia em saúde não se resume ao momento em que ela se torna disponível no mercado. Entre o seu desenvolvimento, a autorização regulatória, a avaliação para incorporação e a sua utilização efetiva na prática assistencial, existe um percurso composto por diferentes etapas e por diferentes atores institucionais. Esse ponto é importante porque ajuda a entender que o acesso não depende de uma única decisão, mas de uma cadeia de processos que envolve regulação, avaliação, financiamento, organização da oferta e uso no mundo real. No contexto brasileiro, esse percurso envolve, entre outros atores, a indústria, os órgãos reguladores, as instâncias de avaliação de tecnologias em saúde, além de gestores, prestadores e pagadores, todos com papéis distintos na definição de quais tecnologias chegam, de fato, à população. [12]

Essa lógica permite compreender que uma tecnologia pode estar formalmente disponível e, ainda assim, não estar efetivamente acessível à população-alvo. A discussão, portanto, não se restringe ao "entrar ou não entrar", mas exige uma visão mais ampla sobre o que acontece ao longo do percurso decisório e também depois dele. É justamente por isso que a tomada de decisão em saúde não pode ser sustentada por um único tipo de evidência.

Na prática, essa diversidade metodológica se expressa no uso combinado de diferentes tipos de estudo, cada um contribuindo para responder a dimensões específicas da decisão em saúde, tanto na saúde pública quanto na saúde privada. Esses modelos permitem avaliar eficácia clínica, impacto econômico e social, garantindo que a incorporação de tecnologias seja baseada em evidências. [11]

Os ensaios clínicos randomizados (ECR) são considerados o padrão-ouro para avaliar eficácia e segurança de medicamentos e procedimentos, fornecendo dados robustos para aprovações iniciais. Já os estudos observacionais, como coortes e caso-controle, permitem verificar a efetividade em condições reais de uso, complementando os resultados dos ensaios clínicos. [11]

As revisões sistemáticas e metanálises sintetizam evidências de múltiplos estudos, oferecendo análises mais abrangentes e confiáveis, sendo amplamente utilizadas por iniciativas como a Cochrane Collaboration. [16]

Além disso, os estudos de avaliação econômica, custo-efetividade, custo-utilidade e custo-benefício, são fundamentais para equilibrar inovação tecnológica com sustentabilidade financeira, especialmente em sistemas públicos como o SUS. [15]

Os estudos de impacto orçamentário ajudam a prever a viabilidade financeira da incorporação de novas tecnologias, enquanto as análises sociais e éticas garantem que decisões considerem equidade, acesso e aceitabilidade social. [15]

Mais recentemente, os conceitos de Real-World Data (RWD) e Real-World Evidence (RWE) passaram a complementar os modelos tradicionais. RWD refere-se a dados coletados fora dos ensaios clínicos, como prontuários eletrônicos, registros administrativos, bases de planos de saúde e dados de pacientes. RWE é a evidência gerada a partir da análise desses dados, permitindo avaliar efetividade, segurança e impacto econômico em cenários reais. [13,14]

Assim, os diferentes desenhos de estudo não competem entre si, mas se complementam na construção de decisões mais transparentes, científicas e responsáveis.

Ensaios clínicos randomizados continuam sendo centrais para a demonstração de eficácia e segurança em condições controladas, mas eles não respondem, sozinhos, a todas as perguntas que surgem ao longo do ciclo de vida de uma tecnologia. Quando o interesse passa a ser a população elegível na prática, os padrões assistenciais, a utilização de recursos, os custos, a implementação ou o desempenho em contexto real, outros desenhos de estudo passam a ser igualmente relevantes, como os estudos observacionais, epidemiológicos e econômicos. Nesse sentido, mais do que estabelecer uma hierarquia fixa entre métodos, o que importa é reconhecer que diferentes perguntas exigem diferentes estratégias de produção de evidência. [13]

Nos últimos anos, observa-se um movimento crescente de reconhecimento institucional do papel dos dados de mundo real na avaliação de tecnologias em saúde, tanto em agências regulatórias quanto em instâncias de avaliação tecnológica. Esse movimento reflete a necessidade de complementar evidências produzidas em contextos controlados com informações geradas na prática assistencial, especialmente quando o interesse recai sobre implementação, acesso efetivo e desempenho em condições reais de uso. Ao mesmo tempo, a literatura reforça que esse uso precisa estar apoiado em rigor metodológico, qualidade da fonte de dados, adequação do desenho ao propósito do estudo e transparência na condução analítica. [13,14]

Assim, ao discutir agências, regulação e tipos de evidência em saúde, o ponto central não é apenas identificar quem decide, mas compreender que cada etapa do percurso de uma tecnologia mobiliza necessidades informacionais distintas. Se, em um primeiro momento, o foco pode recair sobre segurança e eficácia, em momentos posteriores tornam-se igualmente importantes questões ligadas à implementação, ao acesso efetivo e ao uso real da tecnologia. É nesse espaço que os dados de mundo real e a evidência de mundo real passam a ganhar protagonismo crescente.

Entre essas diferentes formas de produção de evidência, os dados de mundo real e a evidência de mundo real têm ocupado espaço crescente, especialmente quando a discussão

ultrapassa a demonstração inicial de eficácia e passa a considerar o desempenho das tecnologias em condições concretas de uso.

4. REAL-WORLD DATA E REAL-WORLD EVIDENCE NA AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE

Se diferentes etapas do percurso de uma tecnologia exigem diferentes tipos de evidência, torna-se necessário compreender de forma mais específica o que se entende por dados de mundo real e evidência de mundo real, bem como em quais etapas do processo sua aplicabilidade se torna mais relevante. De forma geral, os dados de mundo real correspondem a informações coletadas fora do contexto tradicional dos ensaios clínicos controlados, enquanto a evidência de mundo real resulta da análise desses dados com finalidade científica e decisória. Embora ainda haja variações conceituais entre documentos e instituições, a literatura recente converge no entendimento de que RWD e RWE vêm ganhando espaço justamente por permitirem responder a perguntas que extrapolam a demonstração clássica de eficácia em ambiente controlado. [13,14]

Nesse sentido, o interesse crescente por RWD e RWE está diretamente relacionado ao reconhecimento de que os ensaios clínicos randomizados, embora fundamentais, não esgotam todas as necessidades informacionais envolvidas na avaliação de tecnologias em saúde. Questões como efetividade em prática clínica, segurança em longo prazo, desempenho em populações menos representadas, padrões de tratamento, utilização de recursos e heterogeneidade de resposta frequentemente demandam fontes de informação mais próximas do cuidado cotidiano. Além disso, fatores socioeconômicos podem implicar adaptações na prática clínica e alterações na adesão ao tratamento, afetando o desempenho esperado de uma tecnologia quando estudada apenas em ambiente controlado. É justamente nesse ponto que os dados de mundo real passam a assumir papel estratégico, tanto na regulação quanto em discussões de avaliação, reembolso e uso clínico. [13]

As fontes de RWD podem ser bastante diversas. Entre as mais tradicionais, destacam-se bases administrativas, registros clínicos, prontuários eletrônicos e sistemas de informação em saúde, que permitem acompanhar trajetórias assistenciais, exposições, desfechos e consumo de recursos ao longo do tempo. A literatura também destaca que diferentes fontes têm potencialidades e limitações próprias, de modo que sua escolha deve sempre ser orientada pela pergunta de pesquisa. Em alguns casos, bases já existentes são suficientes; em outros, pode ser necessário estruturar coleta primária ou combinar fontes para ampliar representatividade, seguimento e completude das variáveis relevantes. [13,14]

No contexto da avaliação de tecnologias em saúde, esse tipo de evidência pode contribuir para múltiplas finalidades. RWD e RWE podem apoiar a identificação e caracterização da população elegível, a descrição de padrões assistenciais, a estimação de incidência e prevalência, a avaliação de desfechos em prática real, o monitoramento de eventos adversos, a análise de uso de recursos e o desenvolvimento de estudos econômicos. Além disso, podem auxiliar na seleção de

comparadores, na construção de controles externos em situações específicas e no acompanhamento do desempenho da tecnologia ao longo de seu ciclo de vida. Assim, mais do que um tipo isolado de evidência, o RWD pode ser compreendido como uma base informacional versátil, cuja utilidade depende do problema investigado e do rigor metodológico empregado em sua análise. [13,14]

QUADRO 2 – CONEXÕES ENTRE RWD E PRINCIPAIS TIPOS DE ESTUDO EM ATS

Tipo de estudo	Contribuição do RWD/RWE
Ensaios clínicos randomizados (ECR)	Complementam os ECR ao mostrar como a eficácia observada em ambiente controlado se traduz em efetividade na prática clínica.
Estudos observacionais	Constituem uma das principais fontes de RWD, a partir de prontuários, registros clínicos e bases administrativas.
Revisões sistemáticas e metanálises	Tradicionalmente, essas sínteses concentram-se em ensaios clínicos. Entretanto, vem crescendo a incorporação de estudos de mundo real, o que pode ampliar a robustez da evidência disponível em determinadas perguntas de pesquisa.
Estudos econômicos	Avaliações de custo-efetividade, custo-utilidade e custo-benefício dependem de informações sobre utilização de recursos e resultados clínicos em contexto real. Nesse sentido, o RWD fornece insumos relevantes para estimar custos e benefícios de forma mais próxima da prática assistencial.
Estudos de impacto orçamentário	Esses estudos exigem dados sobre prevalência, adesão, elegibilidade e uso real das tecnologias. O RWD torna-se especialmente importante para estimar o impacto financeiro da incorporação em sistemas públicos e privados.
Estudos sociais e éticos	Evidenciam desigualdades de acesso e uso das tecnologias, orientando decisões mais equitativas.

fonte: elaboração própria [13–16]

No Brasil, essa preocupação metodológica também aparece de forma explícita no Guia de Boas Práticas para Estudos de Dados do Mundo Real da Anvisa. O documento destaca que estudos com dados do mundo real podem assumir diferentes desenhos, incluindo estudos observacionais retrospectivos e prospectivos, estudos híbridos, ensaios pragmáticos e estudos com controle

externo. Ao mesmo tempo, reforça que sua utilização regulatória requer critérios metodológicos sólidos, com atenção à qualidade, integridade e confiabilidade dos dados, à definição prévia da pergunta de pesquisa, à adequação do desenho e à transparência na execução do estudo. Em outras palavras, o valor do RWD não está apenas no volume ou na disponibilidade dos dados, mas na sua capacidade de sustentar inferências válidas para a decisão que se pretende informar. [14]

Por isso, talvez o ponto mais importante não seja tratar RWD e RWE como alternativas aos ensaios clínicos randomizados, mas como componentes complementares de um ecossistema mais amplo de produção de evidência. Em determinadas situações, especialmente quando um estudo clínico convencional não é viável por razões éticas, logísticas ou pela raridade da condição analisada, esse tipo de evidência pode ter papel ainda mais central. Em outras, seu valor está em ampliar a compreensão sobre o que acontece depois da aprovação ou da incorporação formal da tecnologia, aproximando a análise das condições concretas de uso, oferta e acesso. [13,14]

Esse último ponto é especialmente relevante porque prepara a discussão para uma etapa que muitas vezes recebe menos atenção: o que ocorre após a incorporação. Afinal, a existência de uma decisão favorável não garante, por si só, a utilização efetiva da tecnologia, o que faz com que os dados de mundo real também sejam particularmente úteis para compreender padrões de acesso, implementação e uso real no período pós-incorporação. [12,13]

5. O PAPEL DO RWD NO PÓS-INCORPORAÇÃO E NO ACESSO EFETIVO À TECNOLOGIA

A incorporação formal de uma tecnologia em saúde é, sem dúvida, um passo importante, mas ela não encerra a discussão sobre acesso. Entre uma decisão favorável e a utilização efetiva daquela tecnologia na prática assistencial, existe um caminho que envolve organização da oferta, financiamento, definição de fluxos, capacidade instalada, critérios de uso e, muitas vezes, negociação com diferentes atores do sistema. Em outras palavras, a tecnologia pode estar formalmente prevista e, ainda assim, não estar plenamente acessível à população que dela necessita. Essa distinção entre incorporação e acesso efetivo é especialmente importante porque desloca o debate de uma lógica puramente normativa para uma análise mais concreta do que de fato acontece depois da decisão. No contexto brasileiro, estudo recente sobre o período pós-incorporação de tecnologias no SUS mostrou que a oferta efetiva frequentemente não ocorre dentro do prazo legal esperado, reforçando que incorporação formal e acessibilidade real não são equivalentes. [12]

É justamente nesse intervalo entre a previsão formal e o uso real que os dados de mundo real ganham uma utilidade particularmente estratégica. Se, em um primeiro momento, a evidência serve para apoiar decisões regulatórias ou de incorporação, no período pós-incorporação ela passa a ajudar a responder outra ordem de perguntas: quem está, de fato, utilizando a tecnologia; em quais contextos ela está sendo ofertada; quais grupos estão conseguindo acessar; quais barreiras persistem; e quais resultados clínicos, assistenciais e econômicos vêm sendo observados em

condições reais de cuidado. Nessa etapa, o RWD deixa de ter apenas uma função complementar de avaliação e passa também a funcionar como ferramenta de monitoramento da implementação e de qualificação do debate sobre acesso. [13]

Essa dimensão é particularmente relevante em cenários nos quais a incorporação não se traduz automaticamente em cobertura homogênea ou em disponibilização estruturada. Em alguns casos, a tecnologia existe no plano normativo, mas ainda depende de mecanismos concretos de financiamento, dispensação, protocolo assistencial ou aceitação por parte de pagadores para se consolidar na rotina. Em outros, o acesso ocorre de forma desigual entre regiões, serviços ou arranjos assistenciais distintos. Nesses contextos, o RWD pode fortalecer o discurso técnico justamente por permitir demonstrar demanda real, volume de uso, perfil dos pacientes, padrões de utilização e lacunas persistentes na oferta. Em vez de sustentar a discussão apenas em plausibilidade teórica, ele permite documentar a experiência concreta de implementação. [12]

Além disso, o uso de RWD no pós-incorporação pode apoiar análises que costumam ser decisivas para a consolidação do acesso, como estudos de utilização de recursos, microcusteio, impacto orçamentário, adesão, persistência, segurança em longo prazo e efetividade em prática clínica. Esse tipo de informação é especialmente útil quando ainda existem incertezas sobre sustentabilidade da oferta, reembolso ou posicionamento da tecnologia dentro da linha de cuidado. Discussões recentes no campo da ATS e do reembolso têm enfatizado justamente que a evidência de mundo real pode ter papel importante no período pós-lançamento, tanto para reduzir incertezas remanescentes quanto para apoiar decisões subsequentes sobre cobertura, uso e geração adicional de evidência. [13,15]

Sob essa perspectiva, o pós-incorporação deixa de ser uma fase residual e passa a ser um espaço central de produção de evidência sobre o que realmente acontece com a tecnologia depois da decisão formal. Mais do que perguntar se a tecnologia foi incorporada, passa a ser necessário perguntar se ela está sendo usada, por quem, em que condições e com quais efeitos. É exatamente essa mudança de foco — da previsão normativa para a experiência concreta de acesso — que ajuda a entender por que o RWD pode ter papel tão relevante na sustentação técnica de discussões sobre cobertura, oferta e uso efetivo. Essa discussão se torna ainda mais importante quando se considera o contexto da saúde suplementar, no qual a relação entre incorporação, cobertura contratual, reembolso e acesso prático assume contornos específicos, como se observa na dinâmica de atualização do Rol da ANS. [12,17–19]

Na saúde suplementar, a Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) tem papel central ao definir o Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde, que estabelece a cobertura mínima obrigatória dos planos privados. Em 2025, por exemplo, a ANS aprovou a inclusão de novas tecnologias como testes PCR multiplex, dispositivos de assistência ventricular esquerda e medicamentos inovadores, por meio da Resolução Normativa nº 627/2025. [17]

Esse processo de atualização passou a incorporar metodologias de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS), aproximando o setor privado das práticas já consolidadas no SUS.

Além disso, a Lei nº 14.454/2022 e decisões recentes do Superior Tribunal de Justiça (STJ) definiram que o rol da ANS é taxativo mitigado, permitindo a cobertura de procedimentos fora do rol em situações específicas, desde que fundamentadas em evidências científicas e critérios técnicos. [17,18]

O STJ tem consolidado jurisprudência sobre planos de saúde, incluindo teses que limitam exclusões contratuais e admitem cobertura de tratamentos não previstos no rol, sempre com enfoque em proteger o paciente sem comprometer a sustentabilidade do setor. Esse alinhamento entre regulação e poder judiciário reforça a necessidade de integrar ATS, economia da saúde e direito à saúde. [19]

Portanto, no futuro, será altamente relevante elaborar um capítulo específico sobre ATS na saúde suplementar e no âmbito jurídico, condensando informações sobre a atuação da ANS e do STJ. Esse enfoque permitirá compreender como a integração entre regulação, evidências científicas e decisões judiciais pode fortalecer ainda mais a qualidade e a sustentabilidade da assistência em saúde no Brasil. [17–19]

CONSIDERAÇÕES

A Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) consolidou-se como uma ferramenta indispensável para orientar decisões em sistemas de saúde cada vez mais complexos e pressionados por inovações de alto custo. Ao longo das últimas décadas, a ATS evoluiu de análises iniciais de eficácia clínica para incorporar metodologias econômicas, sociais e éticas, além de novas abordagens como o uso de dados de mundo real (RWD) e evidências de mundo real (RWE). [2,7]

Essa evolução mostra que a ATS não é apenas um campo técnico, mas um instrumento estratégico que conecta diferentes atores, como profissionais de saúde, que precisam de evidências sólidas para garantir segurança e qualidade na prática clínica; gestores públicos e privados, que utilizam estudos de custo-efetividade e impacto orçamentário para equilibrar inovação com sustentabilidade financeira; administradores de hospitais e prestadores de serviços, que dependem da ATS para planejar investimentos e manter a qualidade assistencial; indústrias de saúde, que devem alinhar inovação tecnológica com critérios de valor e acesso; e cidadãos e pacientes, sejam usuários do SUS ou da saúde suplementar, que se beneficiam de decisões mais transparentes, equitativas e baseadas em evidências. [11,15]

A ATS também se conecta diretamente ao campo da economia da saúde, pois permite racionalizar recursos, ampliar o acesso adequado às tecnologias e manter a sustentabilidade do setor. Em um cenário de crescente pressão econômica e tecnológica, esses conceitos tornam-se fundamentais para garantir que a assistência seja de qualidade e socialmente responsável. [15]

É importante reconhecer que a ATS envolve conceitos complexos e multidisciplinares. No entanto, o movimento mundial aponta para a necessidade de capacitação contínua e atualização constante de profissionais, gestores e instituições. A integração de evidências científicas, análises econômicas e dados de mundo real fortalece políticas públicas e privadas, promovendo um sistema de saúde mais justo, eficiente e sustentável. [13,14]

Assim, a ATS deve ser compreendida como um processo dinâmico e global, que exige cooperação internacional, inovação metodológica e compromisso ético. Mais do que uma ferramenta técnica, ela é um pilar essencial para o futuro da saúde, garantindo que avanços tecnológicos se traduzam em benefícios reais para toda a sociedade. Nesse contexto, a articulação entre ATS, diferentes desenhos de estudo e evidências de mundo real torna-se cada vez mais relevante para qualificar decisões de incorporação, cobertura e acesso efetivo às tecnologias em saúde. [7,13]

REFERÊNCIAS

1. UNITED STATES. Office of Technology Assessment (OTA). Washington, D.C., 1972.

2. BANTA, D. The development of health technology assessment. Health Policy, v. 63, n. 2, p. 121-132, 2003.

3. INAHTA. International Network of Agencies for Health Technology Assessment. Disponível em: https://www.inahta.org/. Acesso em: 22 mar. 2026.

4. HTAi. Health Technology Assessment International. Disponível em: https://htai.org/. Acesso em: 22 mar. 2026.

5. OPAS/OMS. Red de Evaluación de Tecnologías en Salud de las Américas (RedETSA). Buenos Aires, 2010.

6. BRASIL. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). Diário Oficial da União, Brasília, 2011.

7. HUSEREAU, D. et al. Health technology assessment: past, present, and future. International Journal of Technology Assessment in Health Care, v. 36, n. 3, p. 187-190, 2020.

8. OORTWIJN, W.; MATHESON, A. International collaboration in health technology assessment. Journal of Comparative Effectiveness Research, v. 9, n. 6, p. 409-418, 2020.

9. BRASIL. Ministério da Saúde. Departamento de Ciência e Tecnologia (DECIT). Brasília, 2006.

10. BRASIL. Ministério da Saúde. Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde (Rebrats). Brasília, 2006.

11. NOVAES, H. M. D.; SOARÉZ, P. C. A Avaliação das Tecnologias em Saúde: origem, desenvolvimento e desafios atuais. Cadernos de Saúde Pública, v. 36, n. 9, 2020.

12. SILVA, H. P.; ELIAS, F. T. S. Avaliação de Tecnologias em Saúde: fundamentos, métodos e aplicações. Rio de Janeiro: Fiocruz, 2019.

13. ANVISA. Guia de Boas Práticas para Estudos de Dados do Mundo Real. Brasília: Agência Nacional de Vigilância Sanitária, 2023.

14. HENNESSY, S. et al. Real-World Data and Real-World Evidence in Regulatory Decision Making: report summary from the Council for International Organizations of Medical Sciences (CIOMS) Working Group XIII. Pharmacoepidemiology and Drug Safety, v. 34, e70117, 2025.

15. SCHNEIDER, N. B.; ETGES, A. P. B. S.; POLANCZYK, C. A. Análise do período pós-incorporação de tecnologias de saúde incorporadas ao SUS entre 2012 e 2022. Revista de Saúde Pública, v. 59, e29, 2025.

16. COCHRANE. Cochrane Collaboration. Disponível em: https://www.cochrane.org/. Acesso em: 22 mar. 2026.

17. BRASIL. Ministério da Saúde. Departamento de Ciência e Tecnologia (DECIT). Diretrizes metodológicas: estudos de avaliação econômica de tecnologias em saúde. Brasília: Ministério da Saúde, 2014.

18. MAKADIA, S.; RYAN, P. B. Transforming healthcare with real-world data: the opportunities and challenges of RWD and RWE. Clinical Pharmacology & Therapeutics, v. 100, n. 4, p. 409-411, 2016.

19. SUPERIOR TRIBUNAL DE JUSTIÇA (STJ). Jurisprudência em Teses – Planos de Saúde IV. Edição nº 270, 2025. Disponível em: https://www.stj.jus.br. Acesso em: 22 mar. 2026.

SOBRE OS AUTORES

Matheus Rodrigues Luiz

https://orcid.org/0000-0002-2689-4941

Graduado em Informática em Saúde pela UNIFESP/EPM, com experiência em genética, bioinformática e ciência de dados aplicada à saúde. Realizou iniciação científica no Laboratório de Neurociência Integrativa (LiNC), nas disciplinas de Genética e Psiquiatria da UNIFESP, com foco em estudos de associação genômica em larga escala (GWAS) e escore poligênico de risco (PRS), investigando sua relação com resposta ao tratamento com antipsicóticos. Possui experiência profissional na indústria farmacêutica e de alimentos, com desenvolvimento de metodologias e pipelines analíticos para dados clínicos e epidemiológicos, com atuação em diferentes frentes, incluindo neurologia e oncologia. Atualmente atua como Analista de Evidências Científicas na Danone Nutricia, contribuindo para a estruturação metodológica de projetos, análise de dados e escrita científica.

Karla Regina Dias de Oliveira
https://orcid.org/0000-0002-3544-9364
Doutora em Medicina Translacional pela Unifesp, mestre em Economia da Saúde (Unifesp) e graduada em Enfermagem e Obstetrícia (Uniban). Possui especializações em cuidados intensivos, gestão e auditoria em enfermagem e psicopedagogia. Atuou por 8 anos na Unimed Brasil como coordenadora de regulação em saúde e enfermeira auditora, com forte atuação em gestão, normatização e organização de eventos nacionais. É autora de livros, capítulos e artigos científicos, além de ter ampla experiência em docência e participação em câmaras técnicas na área da saúde. Desde 1995, atua com foco em regulação, auditoria e qualidade em saúde suplementar.

Márcia Mello Costa De Liberal
https://orcid.org/0000-0002-2589-1802
Pós-Doutora em Ciência Política pelo CEIL-PIETTE da Universidad de Buenos Aires e em Ciências Sociais pela Pontifícia Universidade Católica de São Paulo. Doutora em Sociologia Econômica e das Organizações pela Universidade de Lisboa. É Docente Associada IV Universidade Federal de São Paulo (Unifesp), atuando na EPPEN-Osasco, no Curso de Ciências Econômicas e no Programa de Mestrado em Administração Pública. É Avaliadora Institucional e de Cursos de Graduação no Instituto Nacional de Estudos e Pesquisas Educacionais Anísio Teixeira (INEP/MEC). No âmbito do Programa de Avaliação ARCU-SUL, integra a Comissão Regional Brasil e exerce a função de avaliadora da Carreira de Economia. É autora de diversos artigos nas áreas de Economia, Educação, Gestão, Saúde e Trabalho, além de organizadora de várias obras acadêmicas. Publicou os livros O Trabalhador Adolescente no Brasil e A Metamorfose do Trabalho na Era da Globalização.