Por João Paulo dos Reis Neto (*)

As doenças raras (DRs) sempre foram tratadas como um desafio quase exclusivo do sistema público de saúde. No entanto, dados recentes demonstram que essa percepção não reflete a realidade da saúde suplementar.

Um estudo inédito de mundo real – termo técnico para um estudo feito com dados da prática assistencial – **conduzido na Capesesp, filiada da UNIDAS**, analisou dados de cinco anos (2019-2023) para compreender o impacto clínico e econômico das DRs entre beneficiários das operadoras; especialmente, das autogestões.

Utilizando metodologia própria baseada nos recursos internacionais da Orphanet e no cruzamento com códigos CID-10, **foram avaliados 60.012 beneficiários**, com média de idade de 53 anos. Desse total, 5,9% apresentaram alguma doença rara.

Embora representassem uma parcela relativamente pequena dos beneficiários estudados, esses pacientes responderam por **21,9% de todas as despesas assistenciais no período** – cerca de R$ 402 milhões, de um total de R$ 1,8 bilhão.

Outras duas informações extremamente importantes foram reveladas no estudo: a despesa média por paciente com doença rara era quase quatro vezes maior que a dos pacientes com condições comuns (R$ 34.080 ante R$ 9.798); e a prevalência de DRs nas mulheres era significantemente maior que nos homens (6,1% ante 5,6%).

Quando analisadas em conjunto, as doenças raras deixam de ser raras do ponto de vista sistêmico. Estudos de mundo real inovadores como este são essenciais para orientar decisões baseadas em evidências, o que otimiza a utilização de recursos assistenciais, melhora desfechos clínicos e contribui para a sustentabilidade de toda a saúde suplementar.

Além do maior custo, o estudo observou uma utilização bem mais elevada de consultas, atendimentos de emergência, exames, terapias e hospitalizações. Parte relevante desse impacto, obviamente, está associada aos medicamentos, sobretudo de DRs oncológicas, nas quais os fármacos podem representar a maior parte do custo assistencial.

A partir dos resultados apresentados, é possível avançar em iniciativas voltadas à redução do tempo até o diagnóstico, à coordenação especializada do cuidado, à capacitação de cuidadores, ao diálogo com a indústria farmacêutica sobre sustentabilidade e transparência, além da possibilidade de inclusão de pacientes em estudos clínicos.

Mesmo reconhecendo a importância do SUS enquanto pilar do tratamento de doenças raras, posso dizer que esse estudo surge para quebrar o paradigma de que o cuidado das doenças raras é sustentado apenas pelo sistema público. E, mais que isso, surge para convidar a sociedade e as instituições a um debate sobre o tema.

Nosso setor já financia de forma expressiva esses tratamentos e precisa estar preparado para seguir enfrentando o desafio de forma estruturada.

(*) **João Paulo dos Reis Neto** é médico, diretor técnico da UNIDAS – Autogestão em Saúde e presidente da Capesesp.

Fonte: UNIDAS, em 27.02.2026