

**UNIVERSIDADE DE BRASÍLIA
INSTITUTO DE CIÊNCIA POLÍTICA**

BRUNA CRUZ RIBEIRO

**Judicialização de medicamentos órfãos
O papel de mediador do Poder Legislativo**

Brasília

2015

BRUNA CRUZ RIBEIRO

Judicialização de medicamentos órfãos
O papel de mediador do Poder Legislativo

Monografia apresentada ao Instituto de Ciência Política da Universidade de Brasília como exigência parcial para a obtenção do grau de bacharel em Ciência Política.

Orientador: Rafael Silveira e Silva

Brasília

2015

*Ana Maria, Antônio e Ana Luiza
Glória, Seu Zé, Nenzinha, Geraldo e
Madureira
e à todas e a todos que fizeram parte dessa
história.*

*“Meus olhos molhados
Insanos dezembros
Mas quando eu me lembro
São anos dourados”
(Chico Buarque e Tom Jobim)*

AGRADECIMENTOS

Em 2010 surgiu um sonho em mim: estudar na Universidade de Brasília. Era meu sonho porque eu sabia que era a melhor maneira de mudar minha vida da forma como eu pretendia. Em 2012 deixei minha família, minha casa e minha cidade para realizar esse sonho que me transformou para sempre.

Meu agradecimento primeiro, e o maior de todos, é à minha mãe, ao meu pai e à minha irmã, que nunca deixaram de me apoiar e sempre me fizeram sentir em casa quando precisei. Ficar longe foi muitas vezes mais difícil do que eu imaginava, e duzentos meros quilômetros pareceram milhares. Mas, mesmo com a dor de sempre estar indo embora, a força que minha família me deu foi fundamental para superar tanta coisa nesses quatro anos. Agradeço muito aos meus demais familiares que me receberam em Brasília, e ao meu avô que ficou em Goiânia sempre me enviando muito amor. Obrigada especialmente à vovó Glória e tia Dede por abrirem as portas da sua casa e por fazerem dela o meu lar. Agradeço também aos meus amigos e amigas de Goiânia que são presentes até hoje.

Gratidão eterna ao Projeto Politeia, que me impactou e ensinou mais do que a própria graduação e me trouxe coisas tão incríveis e significativas durante os três anos que integrei a sua equipe. Pelas oportunidades, pela experiência, e principalmente pelas grandes amizades formadas ali, muitas que serão eternas. Quando penso no meu futuro profissional vejo o quanto devo a esse projeto, e como essa é uma dívida que nunca será paga.

À Cordel de Mangaio, que me deu outra família em Brasília, que me fez esquerdista, feminista, me fez refletir sobre os meus próprios preconceitos e privilégios, e me ensinou que o combate às opressões é uma luta cotidiana, em todos os minutos da vida. Obrigada especialmente aos meus melhores amigos: Vinicius Januzzi, que esteve ao meu lado em todos os momentos, me apoiando e me dando confiança para acreditar que eu posso tudo e Ananda Marques, que foi a grande amiga, confidente, conselheira e apoiadora desde os primeiros dias de UnB, e assim permanecerá até o final da vida.

Agradeço muito aos demais colegas que fizeram parte dessa trajetória, que conheci nos corredores da UnB, nas aulas e nos projetos de extensão, aos professores queridos, e aos funcionários do Instituto de Ciência Política (Fábio! Dina!), que ajudaram sempre que precisei. Obrigada principalmente ao meu orientador Rafael Silva, pelo carinho, paciência e pela ajuda com esse desafio.

Obrigada aos colegas de estágio da Prospectiva (bigas!), pelo companheirismo, pelo aprendizado, pelo crescimento. Por sermos muito mais que um time, por sermos amigos

mesmo após minha saída da empresa. A todas as pessoas incríveis da Barral M Jorge, pela chance que me foi dada, mas principalmente pela confiança, pelo acolhimento e pela amizade que faz meus dias melhores. Obrigada a todas essas pessoas que acompanharam meu crescimento pessoal e profissional, e sempre me fizeram sentir parte de algo maior. Um agradecimento especial ao Lucas Corrêa, cuja ajuda foi fundamental para a produção desta monografia.

A questão da saúde pública começou a ser de meu interesse através do contato profissional que tive com o setor. Quando falamos de saúde, logo pensamos nos hospitais, nas consultas médicas, no sistema sucateado, e nos medicamentos ingeridos diariamente. Perceber que o conceito é muito mais amplo do que isso, e como o setor público enfrenta desafios que vão muito além da corrupção e da má gestão, passei a questionar várias certezas que sempre tive em relação ao direito de saúde, ao sistema de público, e aos diversos atores envolvidos diretamente nas decisões que determinam não só os caminhos a serem trilhados pela população, mas principalmente situações que são decisivas e podem ser definitivas para a vida de muitas pessoas.

Hoje entendo que a saúde pública, a compreensão e a defesa do Sistema Único de Saúde deveriam ser questões fundamentais na vida de toda a população. Um sistema que envolve a luta cotidiana de várias pessoas que acreditam que é possível, sim, a execução de uma política pública gratuita, eficaz, eficiente e de qualidade para todos e todas. Um sistema que tem garantido o direito à vida, todo dia, sem discriminação de raça, gênero, ou renda, e que está presente em nosso cotidiano mesmo quando não percebemos.

Meu agradecimento final é a todas essas pessoas que lutam para que o direito e o acesso à saúde gratuita e de qualidade seja possível, colocando a vida das pessoas sempre em primeiro lugar.

RESUMO

A judicialização da saúde tem se tornado um problema crescente no país e tem onerado financeiramente o Estado brasileiro, responsável pela promoção do direito constitucional à saúde. Dentro desta realidade, em que o Judiciário interfere diretamente nas políticas públicas estabelecidas pelo Executivo, observa-se o acesso a medicamentos órfãos, que possuem custo extremamente elevado, para o tratamento de doenças raras, desequilibrando ainda mais as contas públicas. O presente trabalho busca analisar iniciativas do Poder Legislativo que visam à diminuição da judicialização como meio de acesso a medicamentos órfãos, sem prejudicar as possibilidades de tratamento por parte dos portadores de doenças raras.

Palavras-chave: judicialização, Sistema Único de Saúde, incorporação tecnológica, medicamentos órfãos, doenças raras, assistência farmacêutica.

ABSTRACT

The judicialization of health has become a growing problem in the country, which has financially burdened the Brazilian government, responsible for promoting the constitutional right to health. Within this reality, in which the Judiciary Branch interferes directly in public policy established by the Executive Branch, there is the access to orphan drugs, which have extremely high cost, for the treatment of rare diseases, further unbalancing the public accounts. This study aims to analyze the Legislative Branch's initiatives aimed at the reduction of judicialization as a mean of access to orphan drugs, without harming the chances of treatment for people suffering from rare diseases.

Keywords: judicialization, Unified Health System, technological incorporation, orphan drugs, rare diseases, pharmaceutical care.

LISTA DE SIGLAS E ABREVIATURAS

AFAG	Associação dos Familiares, Amigos e Portadores de Doenças
Graves	
AIS	Ações Integradas de Saúde
AMAVI	Associação Maria Vitória
ANVISA	Agência Nacional de Vigilância Sanitária
ATS	Avaliação de Tecnologias de Saúde
CAE	Comissão de Assuntos Econômicos
CAS	Comissão de Assuntos Sociais
CEAF	Office of Orphan Products Development
CF	Constituição Federal
CFT	Comissão de Finanças e Tributação
CFT	Comissão de Finanças e Tributação
CID-10	Classificação Estatística Internacional de Problemas e Doenças
Relacionados à Saúde	
CIF	Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e
Saúde	
SUS	Sistema Único de Saúde
CIP	Conselho Interministerial de Preços
CIT	Comissão de Intergestores Tripartite
CITEC	Comissão de Incorporação de Tecnologias
CMED	Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos
CNS	Conselho Nacional de Saúde

COMP	Committee for Orphan Medicinal Products
CONADE	Conselho Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência
Conasems	Conselho Nacional de Secretários Municipais de Saúde
CONASS	Conselho Nacional de Secretários de Saúde
CONITEC	Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS
Cosems	Conselho dos Secretários Municipais de Saúde
CPI	Comissão Parlamentar de Inquérito
CPMF	Contribuição Provisória sobre Movimentação Financeira
CSSF	Comissão de Seguridade Social e Família
ELA	Esclerose Lateral Amiotrófica
EMEA	European Medicines Agency
FDA	Federal Drugs Administration
FNPDRN Negligenciadas	Fundo Nacional de Pesquisa para Doenças Raras e
GGMED	Gerência-Geral de Medicamentos
HPN	Hemoglobinúria Paroxística Noturna
INSS	Instituto Nacional de Seguridade Social
LDO	Lei de Diretrizes Orçamentárias
Mercosul	Mercado Comum do Sul
MP	Medida Provisória
MS	Ministério da Saúde
NOB	Norma Operacional Básica
ODP	Orphan Drug Program

OMS	Organização Mundial de Saúde
OOPD	Office of Orphan Products Development
PCDT	Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas
PCDM	Preço Máximo de Venda ao Governo
PLS	Projeto de Lei do Senado
PMDB	Partido do Movimento Democrático Brasileiro
PNAF	Política Nacional de Assistência Farmacêutica
PNM	Política Nacional de Medicamentos
PP	Partido Progressista
PSB	Partido Socialista Brasileiro
PSDB	Partido da Social Democracia Brasileira
PSOL	Partido Socialismo e Liberdade
PT	Partido dos Trabalhadores
RAS	Rede de Atenção à Saúde
RDC	Resolução da Diretoria Colegiada
RENAME	Relação Nacional de Medicamentos Essenciais
SCTIE	Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos
SNVS	Sistema Nacional de Vigilância Sanitária
TCU	Tribunal de Contas da União
TGA	Therapeutic Goods Administration

SUMÁRIO

1.	INTRODUÇÃO	11
2.	METODOLOGIA.....	14
2.1	OBJETO DE ESTUDO.....	15
3.	JUSTIÇA E MEDICAMENTOS: DEBATES E CENÁRIOS DA PESQUISA.....	18
3.1	JUDICIALIZAÇÃO.....	18
3.2	ATUAÇÃO ESTATAL NO SETOR DE SAÚDE	20
3.2.1	O DIREITO À SAÚDE E O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE (SUS).....	20
3.2.2	ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA NO ÂMBITO DO SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE.....	24
3.2.3	VIGILÂNCIA SANITÁRIA E REGULAÇÃO DE MERCADO	31
3.3	AÇÕES GOVERNAMENTAIS VOLTADAS PARA DOENÇAS RARAS.....	34
3.4	JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E POLÍTICA DE ACESSO A MEDICAMENTOS.....	36
3.5	DOENÇAS RARAS E JUDICIALIZAÇÃO DE MEDICAMENTOS ÓRFÃOS.....	46
4.	PODER LEGISLATIVO E DOENÇAS RARAS	58
4.1	PROJETO DE LEI 1606 DE 2011	58
4.1.1	SUBSTITUTIVO AO PL 1606/2011.....	61
4.1.2	AUDIÊNCIA PÚBLICA.....	63
4.2	PROJETO DE LEI DO SENADO 530/2013.....	68
4.2.1	AUDIÊNCIA PÚBLICA	71
4.2.2	SUBSTITUTIVO AO PLS 530/2013	75
4.3	ANÁLISE	76
5.	CONCLUSÃO.....	82
	REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS	86

1. INTRODUÇÃO

A Constituição de 1988 instituiu como direito fundamental o direito à saúde, sendo responsabilidade do Estado a promoção e manutenção das políticas públicas do setor. No início dos anos 90, o Sistema Único de Saúde (SUS) foi concebido através do movimento de reforma sanitária realizada com alta participação popular. O resultando foi um sistema público universal, que preza pela equidade e a integralidade de toda a população, com gestão coordenada pela União, mas com competências divididas com os estados e municípios, que ofertam serviços a partir das necessidades dos locais e participam do financiamento do sistema.

Desde então, as políticas realizadas pelo Ministério da Saúde são executadas sempre focando os impactos para o SUS. A ele está atrelado o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária (SNVS), de gestão também compartilhada entre os entes federais e sob coordenação, em nível nacional, da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). O papel realizado pela Anvisa é de extrema relevância, pois esta é responsável pela concessão de registro de praticamente todo produto a ser consumido pela população – como medicamentos, cosméticos e alimentos. No que tange aos medicamentos, a agência possui a prerrogativa de auxiliar na determinação dos valores a serem praticados em território nacional através da secretaria-executiva da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED).

Dentre as atribuições da União na gestão do SUS, podemos destacar a incorporação de tecnologias, isto é, a seleção baseada em estudos e evidências científicas de quais tecnologias (entende-se aqui todos os produtos direcionados à saúde, como os medicamentos) que estarão disponíveis para a população de maneira gratuita nos hospitais públicos e nos centros de saúde. Atualmente, o estudo sobre a incorporação de qualquer tecnologia ao sistema é realizado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), que presta assistência à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, ao qual cabe, em última instância, decidir sobre a incorporação ou exclusão com base em parecer analítico fornecido pelo CONITEC. O critério-base para a incorporação de medicamentos no SUS é a existência de registro na Anvisa. A análise é pautada nos seguintes critérios: eficácia, acurácia, efetividade e segurança tecnológica. As decisões da CONITEC são baseadas em evidências científicas e levam em conta o custo-efetividade e o impacto econômico da tecnologia em avaliação no orçamento público.

Baseando-se nos princípios do SUS de universalidade, equidade e integralidade, e no direito constitucional à saúde, estabelecidos pelos artigos. 6º e 196 da Constituição Federal de

1988, cuja responsabilidade é do Estado, vêm aumentando com frequência cada vez maior, por parte da população brasileira, a estratégia de acesso a medicamentos por via de ações judiciais, independente de sua disponibilidade ou não no SUS.

A judicialização da saúde teve início no início dos anos 90, quando as associações de pacientes de HIV/AIDS encontraram no Poder Judiciário a possibilidade de ter acesso aos medicamentos de forma gratuita. Muitas dessas ações dizem respeito a medicamentos que estão presentes no SUS, mas por problemas de abastecimento e armazenamento podem não estar presentes nos postos de saúde, impedindo sua dispensação.

Outras ações se dirigem à obtenção de medicamentos que não são dispensados pelo SUS, e muitas vezes sequer possuem registro na Anvisa, ou seja, não possuem certificado emitido pela agência reguladora de segurança e não têm a comercialização autorizada dentro do território nacional. A judicialização de tais medicamentos, no entanto, vai muito além de ações individuais em busca de acesso a determinado medicamento. O fenômeno se inscreve também como parte de estratégias da indústria farmacêutica para introduzi-los no sistema público, garantindo a compra por parte do Estado, que perde seu poder de barganha. No caso de medicamentos sem registro, é uma maneira de se ter acesso ao mercado brasileiro sem ter que passar por processos burocráticos que envolvem o registro na Anvisa. Além disso, ao agir pela via judicial, não é preciso negociar o preço do medicamento na Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), órgão responsável pela regulação de preços e pela negociação junto à indústria.

O caso peculiar, cuja demanda tem sido crescente em relação à judicialização da saúde, é a do acesso a medicamentos de alto custo, especialmente aos direcionados às chamadas doenças raras. Pela falta de medicamentos concorrentes que tratem tais doenças, uma vez que os altos custos para a realização de pesquisas e sua baixa prevalência aumentam o seu valor comercial e, no caso brasileiro, os levam a enfrentar obstáculos perante aos critérios de incorporação estabelecidos pela CONITEC, dificultando a disponibilidade de tais medicamentos pelo Sistema.

O alto valor cobrado para a obtenção dos medicamentos órfãos, muitas vezes ainda em fase experimental, torna impossível a sua compra pela via particular, tornando a sua demanda via judicialização uma ação indispensável para o acesso dos pacientes ao tratamento existente, interferindo no seu direito garantido à saúde de forma integral. Entretanto, do ponto de vista da política pública de saúde, financiar um tratamento extremamente caro para um grupo restrito de pessoas possui impacto orçamentário considerável, e prejudica o interesse coletivo,

já os recursos orçamentários são deslocados de ações mais abrangentes e que podem beneficiar uma parcela maior da população e geralmente atendem a demandas individuais, o que torna o tratamento, além de tudo, restrito aos que têm acesso à justiça.

Nos últimos anos, as demandas judiciais por serviços de saúde aumentaram em um número tão significativo, que serão colocados mais adiante, que estão ameaçando o financiamento do setor, principalmente nos níveis estadual e municipal, que se encontram com capacidade orçamentária já reduzida pelo crescimento observado em sua participação no financiamento da saúde. Além disso, técnicos de saúde criticam as decisões dos juízes pela sua falta de conhecimento acerca das políticas de saúde, e das peculiaridades técnicas dos tratamentos que são objetos de ação judicial, podendo levar pacientes a sofrerem danos com alto grau de seriedade, principalmente quando estes não possuem certificação dada pela Anvisa de segurança e eficácia, ou que estão em fase experimental fora do país.

Neste cenário, em que a relação entre Executivo e Judiciário é constantemente tensionada, o Poder Legislativo aparece como a terceira via que pode, através da produção de leis, mediar os conflitos existentes na esfera institucional. O objetivo deste estudo é avaliar se as discussões e iniciativas dentro do Poder Legislativo que trate da situação dos portadores de doenças raras e visam também diminuir a judicialização de medicamentos órfãos sem prejudicar seu acesso por parte da população, dando ao Estado a possibilidade em programar com maior autonomia e previsibilidade seus gastos com a medicina de alto custo.

Para isso, este trabalho será dividido em outros quatro capítulos, sendo eles: a metodologia e objeto estudo, onde descrevo os procedimentos adotados para a coleta de dados, bem como a escolha dos projetos de lei apresentados por parlamentares que envolvam doenças raras e medicamentos órfãos; em seguida, revisito a bibliografia atual sobre judicialização e como esta se relaciona a políticas públicas de saúde, dando enfoque nas ações que visam promover a assistência farmacêutica no âmbito do Sistema Único de Saúde e na promoção do direito à saúde aos portadores de doenças raras e seu acesso aos chamados medicamentos órfãos; o capítulo seguinte traz a descrição dos projetos de lei selecionados, dos textos apresentados e aprovados que influenciam na produção legislativa, bem como o relato das audiências públicas realizadas que possuem afinidade com o tema. A partir de tal exposição, de caráter expositivo, temos uma análise de falhas a serem apontadas na bibliografia, e como as críticas levantadas pela mesma são inseridas nos debates dentro do Legislativo, se são respondidas pelos projetos de lei apresentados e se estes visam de alguma forma a diminuição da judicialização de medicamentos órfãos.

2. METODOLOGIA

O seguinte estudo busca refletir sobre efeitos de iniciativas do Poder Legislativo em relação as quais os principais objetivos são: (a) intermediar conflitos entre os Poderes Executivo e Judiciário no setor de saúde e; (b) estabelecer, de alguma forma, a diminuição da judicialização de medicamentos órfãos. Trata-se de um estudo de caso com utilização de pesquisa bibliográfica e de análise de conteúdo.

Pela expansão do setor de saúde e pela judicialização de diversas categorias que este engloba, optou-se pela análise de impacto das demandas judiciais sobre a Política Nacional de Medicamentos (PNM) e sobre a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF). Entretanto, como estas também têm se mostrado demasiadamente amplas pela variedade de medicamentos e de insumos farmacêuticos das quais tratam, a pesquisa foi refinada e passou a tratar do tema específico das doenças raras e do acesso a medicamentos órfãos, caracterizados pelo seu alto custo e, conseqüentemente, pelo seu grande impacto no orçamento público do setor de saúde. Com esse recorte em mãos, foi realizada uma seleção de projetos de lei de iniciativa do Poder Legislativo para analisar qual o posicionamento do Congresso Nacional quanto à crescente judicialização de medicamentos de alto custo e como essas propostas em discussão podem gerar impactos políticos e econômicos no orçamento público.

Para a realização do estudo de caso realizou-se pesquisa bibliográfica que engloba temas como a judicialização da política, o Sistema Único de Saúde (SUS), as políticas de acesso a medicamentos, a inclusão dos mesmos no SUS e o cenário das doenças raras e medicamentos órfãos e de como se inserem no atual contexto. Além de textos acadêmicos, foram incluídos na pesquisa documental apresentações e discursos proferidos por gestores e autoridades do setor, textos que compõem a legislação atual do SUS e fundamentam seus programas e também a literatura que normatiza as instituições que compõem o sistema de saúde, tais como a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED).

A bibliografia foi selecionada através da busca de palavras-chave em acervos acadêmicos e de legislação estruturante. Por fim, de posse desse material, procedi à análise de conteúdo dos projetos de lei, incluindo os eventos e as notícias relacionados a eles, além de sua tramitação e de seu impacto no cenário da judicialização de medicamentos órfãos e da legislação citada por cada um deles. Apresento ainda análise mais detida da Política Nacional de Doenças Raras, iniciativa do Ministério da Saúde em 2014. Ambos os projetos de lei a

serem analisados foram apresentados durante a 54^a legislatura e seguem tramitando no Congresso Nacional durante 2015. A análise engloba as ações observadas desde a apresentação até julho de 2015 através de dados coletados nos sites da Câmara dos Deputados e do Senado Federal.

2.1 OBJETO DE ESTUDO

A pesquisa objetiva estudar o debate sobre a judicialização de medicamentos órfãos dentro do Congresso Nacional. Foram selecionados um projeto de lei de iniciativa de senador e um de iniciativa de deputado federal e que ainda não foram transformados em Lei Ordinária. Os projetos tratam diretamente do acesso e do tratamento de medicamentos órfãos pelo sistema público. A publicação da *Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas Com Doenças Raras* em 2014 pelo Ministério da Saúde muda o cenário quanto ao tratamento dado pelo governo aos portadores de doenças raras e o acesso a medicamentos órfãos por parte dos pacientes. É importante verificar como os substitutivos apresentados para os dois projetos dialogam com a nova norma a partir de 2014. Além da análise dos projetos em si, não é possível perder de vista as audiências públicas que trataram dos temas relacionados às proposições e como as contribuições feitas durante sua realização impactaram a atuação dos parlamentares envolvidos na elaboração dos pareceres.

Portanto, julgo necessário definir e delinear o que são doenças raras e medicamentos órfãos.

Não há definição internacional para doenças raras, apenas o consenso que se tratam doenças difíceis de serem diagnosticadas e que são de baixa prevalência. Simões et al (2014) caracterizam as doenças raras por serem “crônicas, progressivas, degenerativas, incapacitantes e que necessitam de um tratamento contínuo” (Boy e Schramm *apud* Simões et al, 2014, p. 42). O número de diferentes doenças raras é alto e afetam cerca de 8% da população mundial, o que corresponde até 560 milhões de pessoas. Atenta-se também para o fato de que 95% das doenças consideradas raras não possuem tratamento, e apenas 5% possuem medicamentos que podem interferir na evolução das doenças, entre eles medicamentos órfãos e medicamentos voltados para doenças mais comuns. No Brasil, a definição de doença rara se baseia na sua prevalência: 65 casos a cada 100 mil habitantes (Simão et al, 2014).

A definição de medicamento órfão também não possui consenso internacional. Aith et al (2014) nos diz que são utilizados dois critérios para definir se um medicamento pode ser

classificado como órfão, sendo o primeiro o caráter epidemiológico, – que analisa a prevalência de uma doença na população – e o caráter econômico – relacionado à rentabilidade de comercializar o medicamento, devido à baixa demanda (AITH et al, 2014). A definição dada pela EURORDIS traduz o que é colocado por Aith et al ao definir medicamento órfão como

[...] produtos médicos destinados à prevenção, diagnóstico ou tratamento de doenças muito graves ou que constituem um risco para a vida e que são raras. Estes medicamentos são designados como “órfãos” porque, em condições normais de mercado, a indústria farmacêutica tem pouco interesse no desenvolvimento e comercialização de produtos dirigidos para o pequeno número de doentes afetados por doenças muito raras (EURORDIS apud Simões et al, 2014, p. 43).

A Anvisa, através da RDC 57/2013, atribui aos medicamentos órfãos uma descrição mais direta: “[...] medicamentos eficazes no tratamento ou diagnóstico de doenças raras ou negligenciadas” (INTERFARMA, 2015, p. 9).

O Projeto de Lei 1606 de 2011 (PL 1606/2011), de autoria do deputado Marçal Filho (PMDB/MS), trata do acesso pelo Sistema Único de Saúde de medicamentos que tratam doenças raras, mas que não constam nas listas de medicamentos essenciais (RENAME). Até julho de 2015, o projeto de encontrava na Comissão de Finanças e Tributação (CFT) da Câmara dos Deputados sob a relatoria da deputada Soraya Santos (PMDB/RJ). Importante notar que está apensado ao Projeto de Lei 2669 de 2011 (PL 2669/2011), de autoria do deputado Jean Wyllys (PSOL/RJ), aprovado na Comissão de Seguridade Social e Família da Câmara dos Deputados na forma de substitutivo pelo relator, deputado Darcísio Perondi (PMDB/RS), sendo prudente em termos analíticos a análise dos dois textos bem como do projeto original. É necessário colocar que foram realizados eventos em homenagem ao Dia Nacional de Doenças Raras na Câmara dos Deputados. Estes, porém, não serão analisados por falta de informações disponíveis.

O Projeto de Lei do Senado 530 de 2013 (PLS 530/2013), de autoria do senador Vital do Rêgo (PMDB/AM), aprofunda-se mais no tema e busca instituir a Política Nacional de Doenças Raras no SUS e trata, ainda, de instituir regime diferenciado de avaliação, registro e importação de medicamentos órfãos. O projeto recebeu substitutivo da senadora Ana Amélia (PP/RS) na Comissão de Assuntos Sociais (CAS) do Senado Federal. O substitutivo já tramita na Câmara dos Deputados como PL 2657/2015 e será analisado, juntamente ao parecer dado

pelo senador Eduardo Suplicy (PT/SP) na Comissão de Assuntos Econômicos (CAE) do Senado Federal.

É importante ressaltar que os autores dos dois projetos principais não estão em exercício no Congresso Nacional na nova legislatura, iniciada em 2015. O PL 1606/2011 foi desarquivado pelo deputado Jean Wyllys, que possui tal prerrogativa por ser autor de projeto apensado. O PLS 530/2013 não foi arquivado e continuou a tramitar normalmente.

3. JUSTIÇA E MEDICAMENTOS: DEBATES E CENÁRIOS DA PESQUISA

3.1 JUDICIALIZAÇÃO

O Poder Judiciário possui importante papel na formulação, na implementação e na execução de políticas públicas. No sistema federativo brasileiro, mesmo com a separação entre poderes e com a distinção e a definição de prerrogativas de cada um deles, é possível observar que, de alguma maneira, há sobreposição de funções entre eles.

Taylor (2007) observa que o Judiciário, assim como os poderes Executivo e Legislativo, possui prerrogativas de legislar, as quais permitem sua participação enquanto *veto player*. Entretanto, o Poder Judiciário possui caráter passivo, ou seja, funciona conforme é demandado para atuar frente aos demais poderes. Sendo assim, sua participação na arena legislativa se dá de forma mais indireta quando comparada a outras instituições. Dentro do contexto institucional, o Judiciário representa uma alternativa de influência aos *stakeholders* que foram de alguma forma excluídos no âmbito formal dos processos de discussão e decisão sobre determinadas políticas. Neste caso, o Judiciário é chamado de *venue-seeking*, ou seja, é considerado uma instância institucional que dá a diversos atores a oportunidade de participarem ou até reverterem ações tomadas por autoridades e que podem possuir influência direta em seu cotidiano.

Resumidamente, Taylor nos diz que “[...] os tribunais ampliam o leque de atores que podem influenciar a implementação de políticas públicas, mesmo depois de elas serem aprovadas por maiorias legislativas” (2007, p. 234). Percebe-se que recorrer ao Judiciário para alterar deliberações altamente qualificadas se dá pelo seu alto grau de imposição, resultante de poderes constitucionais atribuídos a ele na contestação de e na formulação de leis. A *judicialização* se trata, então, de uma medida tomada estrategicamente por atores, entre elas a indústria farmacêutica, com vistas a aumentar suas possibilidades de sucesso junto aos processos de construção de políticas pública. Nos últimos anos, é possível observar a crescente demanda pela atuação do Judiciário e sua maior interferência na relação entre os poderes Legislativo e Executivo. Segundo Taylor, os juízes são acionados com base nos preceitos constitucionais e infraconstitucionais, sendo o impacto de sua atuação altamente relevante nas ações de governo que, contando com mais um *veto-player* na produção legislativa, perde muitas de suas preferências na execução final das políticas públicas.

O autor também ressalta os diversos momentos em que o Judiciário pode realizar as alterações que são consideradas relevantes na edificação de uma política: “[...] o Judiciário pode alterar os resultados das políticas públicas tanto no momento da deliberação, quanto na hora da implementação” (TAYLOR, 2007, p.243). Ou seja, a possibilidade do Judiciário em influenciar certa política não se restringe à deliberação na arena legislativa, como ocorre com os demais poderes. Ela vai além, sendo cabível a alteração e até a rejeição da legislação mesmo após sua implementação formal, atuação que geralmente demanda um processo longo e cujo objetivo é qualificar informações que possam aprimorar o texto final a ser publicado (TAYLOR, 2007).

Ponto essencial para tratarmos da judicialização da política diz respeito às motivações e aos critérios considerados pelos juízes ao tomarem certas decisões. A respeito desse tema, Taylor nos apresenta a literatura sobre a cultura legal dos juízes, a qual coloca, muitas vezes, tais atores na posição de sempre atuarem baseados estritamente na lei, a fim de proteger direitos individuais, independente de seus valores pessoais. Quando se trata de intervir em políticas públicas, no entanto, tal consideração não pode ser considerada verdade absoluta. Segundo o autor argumenta, nesses casos há uma ampla possibilidade de atuação por parte do Judiciário e, portanto, é possível dizer que

[...] nesse sentido, concordo com a conclusão de Gibson (1983) de que *as decisões dos juízes são uma função do que eles preferem fazer, moderadas pelo que acham que devem fazer, mas constrangidas pelo que percebem que é viável fazer*. Como já foi dito, às vezes nem é preciso uma decisão formal para que o juiz tenha um impacto no caminho da deliberação e, portanto, a adesão à lei nem sempre é o principal fator determinante da atuação do juiz. Afinal, os juízes – como outros atores políticos – podem agir estrategicamente, blefando ou criando empecilhos legais que correspondam às suas preferências pessoais. (TAYLOR, 2007, p.243-244, grifo meu).

Diante do exposto, Taylor busca explicar a *corrente institucional*, uma das três correntes internacionais que buscam explicar os constrangimentos à atuação política e jurídica dos juízes. Julgo, em consonância com o que propõe o pesquisador, que a corrente institucional é a que melhor se enquadra para o contexto brasileiro, em que a Constituição Federal de 1988 deu ao Poder Judiciário uma gama de poderes extremamente amplos, sem que fosse pensada como seria a atuação dos juízes perante os Poderes Legislativo e Executivo.

Tratando especificamente da atuação em políticas públicas, Taylor ainda expõe dois fatores determinantes para a ação dos juízes, como *a relevância da política pública* a ser contestada, que define o grau de motivação para o envolvimento do Judiciário; e, por fim, que

“[...] as *características das políticas públicas em si* ajudam a determinar sua judicialização, com ou sem a ajuda dos juízes” (TAYLOR, 2007, p.244-245, grifo meu).

Dentro do contexto da judicialização no Brasil, vem sendo observado, nos últimos anos, o aumento das demandas judiciais por medicamentos, produtos, tecnologias e serviços de saúde. As ações são respaldadas pelo direito à saúde estabelecido na Constituição de 1988, e exigem que o poder público atue através do fornecimento de tais demandas, o que acaba levando a problemas orçamentários e que põem em ameaça as próprias diretrizes do Sistema Único de Saúde (SUS), a sustentabilidade do sistema, e que, muitas vezes, prejudica o princípio da coletividade em detrimento das demandas individuais. Todas as referidas questões serão tratadas a seguir, sendo abordados o direito à saúde, o funcionamento e financiamento do SUS, e como a judicialização se insere no contexto da saúde.

3.2 ATUAÇÃO ESTATAL NO SETOR DE SAÚDE

3.2.1 O DIREITO À SAÚDE E O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE (SUS)

A Constituição Brasileira dispõe no seu artigo 6º os direitos fundamentais dos cidadãos brasileiros. Entre eles, está o direito à saúde. Em relação a este, Macedo, Lopes e Barberato-Filho (2011) o definem como

[...] a garantia, pelo Estado, de condições dignas de vida e de acesso universal e igualitário às ações e serviços de promoção, proteção e recuperação de saúde, em todos os seus níveis, a todos os habitantes do território nacional, levando ao desenvolvimento pleno do ser humano em sua individualidade (p.707).

A discussão sobre o acesso à saúde conforme definido pela Constituição ocorreu alguns anos antes, durante a 8ª Conferência Nacional de Saúde (CNS), realizada em 1986. Desde a década de 70, a oferta de serviços de saúde era atrelada à previdência, sendo seu acesso diferenciado entre os cidadãos previdenciários e os não-previdenciários, criando-se sistemas distintos de acordo com a classificação da população.

Aos que não tinham direito à previdência, o acesso à saúde era considerado caridade, tendo as organizações filantrópicas e sem fins lucrativos uma atuação de relevância na promoção da saúde dessa parcela da população rotulada dentro da categoria pouco positiva de “indigentes”. Ainda nessa época, surgiu o movimento chamado “Reforma Sanitária” (logo este se atrelou aos movimentos mais amplos de redemocratização do país), cujo objetivo

primordial era gerar transformações no setor de saúde como um todo, visando à garantia de serviços de saúde em sua integralidade, buscando institucionalizar a prevenção, a promoção e a assistência como pressupostos básicos da oferta pública de serviços de saúde (SOUZA, 2007).

Com o fim da ditadura militar e com o fortalecimento das organizações da sociedade civil, o debate sobre um novo modelo de saúde pública começou a ganhar força. Nesse período surgiram também as Ações Integradas de Saúde (AIS), que visavam à integração dos serviços de saúde e tinham como diretrizes a universalidade, a participação popular, a integralidade, a acessibilidade e a descentralização. Os debates travados na 8ª CNS, até hoje o maior fórum de discussão sobre os rumos da saúde pública no Brasil, conceberam a saúde brasileira como um *direito do cidadão* e um *dever do Estado*, pondo fim à lógica fragmentada das políticas de saúde em vigor até então.

A Constituição Federal estabeleceu ainda, no artigo 198, que o sistema de saúde deveria ser *único*, partindo dos princípios da *descentralização*, isto é, com a participação dos estados e municípios em sua gestão, da *participação popular* e do *atendimento integral*. A prioridade do sistema seriam as *atividades preventivas*, oferecendo-se a partir daí ações integradas como a vigilância sanitária e epidemiológica, o saneamento básico, a alimentação saudável e equilibrada e o controle de produtos e tecnologias para saúde.

A regulamentação do direito à saúde surgiu com a Lei 8080/1990, que instituiu o Sistema Único de Saúde (SUS). A lei estabelece que a garantia da saúde por parte do Estado deve se dar através de ações que gerem a promoção, a proteção e a recuperação de todo cidadão, sem qualquer distinção. Também foi determinado que compete ao SUS promover ações de vigilância sanitária e epidemiológica, de saúde integral e de assistência terapêutica integral, incluindo a assistência farmacêutica. O mais importante do ponto de vista jurídico é que a referida lei estabelece os princípios básicos que norteiam o SUS: *universalidade*, *integralidade* e *equidade*.

O princípio da universalidade garante o acesso a serviços de saúde sem considerar as características pessoais, sociais e econômicas dos cidadãos atendidos. Para Souza e Bittencourt (2011), tal princípio é o que garante o acesso à atenção em saúde por parte de qualquer cidadão.

A integralidade trata do modelo de atenção dada aos pacientes, buscando solucionar seus problemas de maneira integral, ou seja, desde o tratamento mais simples ao mais complexo, atendendo a todas as necessidades detectadas pelo profissional do sistema. Este

princípio depende da atuação intersetorial para garantir um atendimento mais completo e com qualidade (SOUZA; BITTENCOURT, 2011).

A equidade prevê a distribuição de recursos objetivando a diminuição de desigualdades entre os entes federativos e a população, através de maiores investimentos em áreas mais carentes. Souza acredita que o princípio da equidade se respalda, antes de tudo, no princípio da igualdade, possuindo então forte relação com o conceito de “justiça”, ou seja, “dar mais para quem precisa mais”. Afirma o autor que “[...] a equidade em saúde implica em prover a cada um a atenção, as ações de saúde segundo suas necessidades” (SOUZA, 2007, p.766).

O modelo descentralizado de gestão e financiamento é uma característica do SUS que é central para o seu funcionamento. A descentralização significa que a União compartilha as competências de gestão com os estados e municípios. Souza e Bittencourt (2011) chamam esse modelo de gestão em saúde de "municipalização", sendo necessário que a União e os estados estruturarem suas ações procurando dar aos municípios as condições gerais necessárias para exercer seu papel. Segundo Aith et al (2014), a divisão de responsabilidades dentro do SUS se dá a partir da complexidade do atendimento. Aos municípios em geral cabe a atenção básica; aos municípios de maior porte, aos estados e a União, competem a assistência secundária e terciária, de maior complexidade. Cada esfera possui autonomia em suas ações e em sua respectiva autoridade sanitária, sendo subordinadas às ações e ao comando do Ministério da Saúde (SOUZA; BITTENCOURT, 2011).

O marco legal mais determinante para regular a descentralização do sistema é a Lei 8142/1990, que estabelece e disciplina a participação popular e a transferência de recursos intergovernamentais. A lei cria ainda a Conferência de Saúde, que ocorre a cada quatro anos, com a proposta de que esta arena discuta a situação do setor e proponha diretrizes e estratégias para políticas de saúde nos níveis federal, estadual e municipal. É criado, por fim, o Conselho Nacional de Saúde (CNS), órgão colegiado permanente pertencente ao corpo técnico do Ministério da Saúde e instância máxima de decisões sobre o SUS, sendo garantida entre seus membros a participação do governo, de prestadores de serviço, de profissionais de saúde e de usuários do sistema.

O Conselho Nacional de Secretários de Saúde (CONASS) e o Conselho Nacional de Secretários Municipais de Saúde (Conasems) possuem cadeira garantida nos órgãos deliberativos do setor de saúde. O papel dos Conselhos se destaca nas Comissões Intergestores Bipartite e Tripartite, criadas pela Lei 8080/1990 O objetivo de tais comissões é

discutir e decidir quanto às diretrizes dos serviços de saúde e tratar os aspectos orçamentários e administrativos do sistema.

A Comissão Intergestores Tripartite inclui o Ministério da Saúde, o Conass e o Conasems, enquanto a Comissão Intergestores Bipartite ocorre no âmbito de cada unidade federativa e inclui o secretário de saúde estadual e os representantes do Conselho dos Secretários Municipais de Saúde (Cosems), órgão estadual que reúne os secretários municipais de saúde de determinado estado. Outra ação que deve ser ressaltada nesse rol de legislações é a criação da Norma Operacional Básica (NOB), de 1996, que passou a vigorar entre 1997 e 1998. A NOB 96 estabeleceu o financiamento per capita e inseriu, de maneira definitiva, todos os municípios na gestão do SUS (SOUZA, 2007).

Ponto central quanto à descentralização do SUS é a questão do financiamento. Segundo o art. 198 da Constituição Federal, o financiamento da saúde é de responsabilidade compartilhada entre todas as esferas de governo. A princípio, o SUS deveria ser financiado com trinta por cento do orçamento destinado à seguridade social. Entretanto, os princípios que regem o sistema levaram a uma pressão sobre os gastos, o que piorou com o fim do repasse do dinheiro arrecadado pela previdência à seguridade social. A partir disso, foram criadas iniciativas cujos objetivos eram aumentar os recursos destinados à saúde, como a Contribuição Provisória sobre Movimentação ou Transmissão de Valores e de Créditos e Direitos de Natureza Financeira, conhecida como CPMF¹, que vigorou de 1997 a 2007. Inicialmente, o montante arrecadado pela CPMF destinava-se exclusivamente ao financiamento da saúde, mas com alterações na legislação passou a também cobrir despesas do INSS (Instituto Nacional de Seguridade Social) e a participar do orçamento de ações que visavam ao combate à pobreza;

Souza e Bittencourt (2011) apontam ainda que, mesmo quando os recursos arrecadados pela CPMF eram destinados totalmente para a saúde, esses eram insuficientes para garantir o financiamento do setor. Com esse tipo de arrecadação, arregimentado em torno da CPMF, outras fontes de financiamento, originalmente destinadas à saúde, passaram a ser desviadas para outras áreas. Isso levou o Congresso Nacional a inserir na Lei de Diretrizes Orçamentárias (LDO), entre 1998 a 2000, um valor mínimo de aplicação na saúde. No ano 2000, a aprovação da Emenda Constitucional 29 supriu a necessidade de tal exigência.

¹ A reimplementação da CPMF para o financiamento da saúde voltou a ser discutida em 2015, devido aos cortes orçamentários sofridos pelo setor.

A Emenda Constitucional 29 estabeleceu os recursos mínimos, de cada esfera de governo, a serem destinados ao financiamento dos serviços e ações de saúde. Segundo Souza e Bittencourt (2011), gestores de saúde observaram, entretanto, a necessidade de esclarecimento conceitual e operacional do texto aprovado, para que não fosse dado espaço para múltiplas e concorrentes interpretações em sua aplicação. O Conselho Nacional de Saúde, através da Resolução 322/2003, estabeleceu o cálculo que estabelecia os recursos mínimos e definiu o significado de “serviços e ações de saúde”. A União define como gastos em serviços e ações de saúde aqueles destinados à execução de despesa do Ministério da Saúde, excetuando-se as despesas direcionadas para o Fundo de Combate de Erradicação da Pobreza.

Nota-se que, historicamente, a questão de financiamento da saúde sempre foi instável. A programação de gastos feita de forma antecipada é fundamental para a gestão do SUS e para atender de maneira mais efetiva a coletividade. A judicialização da saúde interfere justamente na programação orçamentária do Ministério da Saúde e das Secretarias Estaduais e Municipais de Saúde, por acrescentar gastos não previstos inicialmente, deslocando despesas destinadas a atender determinadas políticas públicas, que deixarão de receber recursos, prejudicando sua execução. Além disso, muitas vezes, a utilização de altos recursos orçamentários para atender pedidos individuais prejudica o atendimento mais amplo, ferindo o interesse da coletividade. Os efeitos da judicialização no financiamento da saúde serão debatidos mais adiante.

3.2.2 ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA NO ÂMBITO DO SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE

A Lei 8080/1990 estabeleceu nos artigos 6º e 13º que a *Assistência Farmacêutica* é objetivo do SUS e objeto de políticas e atividades intersetoriais. Segundo Pepe et al (2010), a assistência farmacêutica pode ser definida “[...] como um conjunto de atividades sistêmicas articuladas como um ciclo, que se sucedem e só se completam na medida em que a atividade anterior for adequadamente realizada” (PEPE et al, 2010, p.2407). Tal ciclo inclui as etapas de seleção, programação, aquisição, armazenamento, distribuição e utilização, e se relaciona com a prescrição, dispensação e uso de medicamentos. No que tange à produção legislativa sobre o tema, Baptista, Machado e Lima (2008), colocam que no período entre 1990 e 2002 se

observou a dificuldade no acesso a medicamentos, principalmente de atenção básica, mesmo com a implementação da política de genéricos.

A assistência farmacêutica engloba a Política Nacional de Medicamentos (PNM) e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF). Segundo Chieffi e Barata (2010), na construção de políticas relacionadas a medicamentos,

[...] o poder público define em seus programas os medicamentos para tratamento de doenças, com em critérios aceitos cientificamente, pois esses medicamentos serão utilizados por milhões de brasileiros; dessa maneira, é primordial ofertar à população medicamentos seguros, eficazes, eficientes e custo-efetivos. (p.423).

A Política Nacional de Medicamentos foi criada através da Portaria 3916/1998, do Ministério da Saúde. Soares e Deprá (2011) nos dizem, resumidamente, que a Política Nacional de Medicamentos estabelece que os gestores do SUS devem assegurar medicamentos seguros, eficazes, de qualidade e ao menor preço possível. Entre as diretrizes da referida política as principais são as seguintes: a revisão permanente da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename); a promoção do uso racional de medicamentos, – que implica na educação em saúde dos profissionais da área e dos pacientes –; a orientação farmacêutica e; a participação da Vigilância Sanitária de medicamentos de forma ordenada. A aplicação da política também envolve a distribuição e o armazenamento de medicamentos, essenciais para a disponibilidade e o acesso da população nos postos de saúde (CONASS, 2007). Resumidamente, a PNM é uma política de *inclusão*, que busca garantir o acesso a medicamentos, por parte da população dentro das capacidades de provimento do Estado brasileiro, promovendo a racionalidade como medida de segurança e de economia de recursos.

A Rename é a lista de medicamentos essenciais, isto é, básicos para o atendimento da maior parte dos problemas de saúde do país, sendo seu objetivo a orientação e a padronização da prescrição e do abastecimento de medicamentos, possibilitando-se, com isso, a diminuição global do preço e a ampliação do acesso do usuário ao tratamento. É considerado fundamental que os medicamentos relacionados estejam sempre disponíveis para a sociedade de maneira continuada (Portaria 3916/1998).

Os medicamentos estabelecidos na Rename devem possuir, obrigatoriamente, registro pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (CONASS, 2007). Em 2011, com a publicação do Decreto Presidencial 7508, os produtos listados passaram a servir de referência aos usuários dos tratamentos que estão disponíveis no SUS; ficou também estabelecido que a

Rename está vinculada ao Formulário Terapêutico Nacional (FTN), que possui competência de subsidiar a prescrição, a dispensação e o uso dos medicamentos relacionados, devendo ser atualizada a cada dois anos pelo Ministério da Saúde (CONASS, 2015; Decreto 7508/2011).

Marcelo, Lopes e Barbeta (2011) explicam que a definição criada para medicamentos essenciais é uma resposta aos problemas de acesso, equidade, qualidade e eficiência das políticas de saúde, sendo necessária a atualização constante quanto aos seus componentes. Como a compra de medicamentos é descentralizada, a relação estabelecida e atualizada pelo Ministério da Saúde serve de referência para os estados e os municípios, que podem relacionar outros medicamentos conforme as necessidades locais, mas sempre mantendo os que são estabelecidos em nível federal.

A Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF) foi aprovada pelo Conselho Nacional de Saúde através da Resolução nº 338 de 2004. A PNAF foi elaborada a partir de propostas aprovadas na I Conferência Nacional de Medicamentos e Assistência Farmacêutica (2003), e tem a Assistência Farmacêutica como medida central para políticas públicas de saúde, estabelecendo o medicamento como insumo essencial para a promoção da saúde, devendo seu uso ser feito de modo racional pelos pacientes. Tal política busca também incentivar atividades de pesquisa e de inovação na produção de novos medicamentos e de insumos que garantam o acesso à saúde (CONASS, 2007). É, por tanto, a política que busca promover iniciativas inovadoras em saúde, com a elaboração e incorporação de novos tratamentos, centrados no uso de medicamentos, ampliando o direito à saúde dentro da população.

Aith et al (2014) colocam que a Portaria 204/2007, que regulamenta os blocos de financiamento do SUS, teria estabelecido os três componentes da PNAF, a saber

O *componente básico* destina-se à aquisição de medicamentos e insumos da assistência farmacêutica no âmbito da atenção básica em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, no âmbito da atenção básica. O *componente estratégico* do bloco de financiamento da assistência farmacêutica destina-se ao financiamento de programas de saúde estratégicos, tais como os programas de controle de endemias (tuberculose, hanseníase, malária, leishmaniose, doença de chagas e outras doenças endêmicas de abrangência nacional ou regional), de HIV/AIDS e os que envolvem imunobiológicos. O *componente “medicamentos de dispensação excepcional”* seria definido em “portaria específica”, cabendo a responsabilidade pelo financiamento para sua aquisição ao Ministério da Saúde. (AITH et al, 2014, p.23, grifo meu).

Os medicamentos de dispensação excepcional foram regulamentados pela Portaria 2981/2009 e definidos como estratégicos para o atendimento integral, sendo suas

especificidades estabelecidas pelos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs), elaborados pelo Ministério da Saúde. A organização da assistência farmacêutica cabe às Secretarias Estaduais de Saúde, que são responsáveis pela coordenação da aquisição de medicamentos e pela distribuição entre os municípios de acordo com a demanda específica de cada um. Vale ressaltar que o financiamento da assistência farmacêutica compete às três esferas de governo, sendo o componente do SUS um daqueles com maior impacto orçamentário na gestão do SUS.

Os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs) são documentos centrais para a Assistência Farmacêutica no SUS, sendo seu uso essencial para a regulação da oferta de medicamentos, garantindo a efetividade e seguranças dos tratamentos oferecidos pelo SUS (Petramale, s/ data). Os PCDTs são utilizados para nortear todos os gestores de saúde em como executar seus serviços ao tratar de determinado quadro clínico, possibilitando o maior planejamento e a execução de ações de saúde de acordo com as demandas recebidas por parte da população. O PCDT é um documento flexível, permitindo que o gestor de saúde o aplique de acordo com a realidade local, assegurando o sucesso do tratamento a ser realizado, e segundo a Lei 12401/2011,

Art. 19-N. Para os efeitos do disposto no art. 19-M, são adotadas as seguintes definições:

I -

II - protocolo clínico e diretriz terapêutica: documento que estabelece critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS.

Art. 19-O. Os protocolos clínicos e as diretrizes terapêuticas deverão estabelecer os medicamentos ou produtos necessários nas diferentes fases evolutivas da doença ou do agravo à saúde de que tratam, bem como aqueles indicados em casos de perda de eficácia e de surgimento de intolerância ou reação adversa relevante, provocadas pelo medicamento, produto ou procedimento de primeira escolha. (Lei 12401/2011, Art. 1º).

A partir de 2011, com a criação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) e com a publicação do Decreto Presidencial 7508/2011, a produção de PCDTs passou a ser competência da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde (SCTIE/MS), auxiliado pela CONITEC. Para a CONITEC foram estabelecidas, então, “[...] a atribuição de incorporar, excluir ou alterar medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a elaboração ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas” (CONASS, 2015, p.21). Em 2012, foi criada no âmbito da CONITEC a Subcomissão Técnica de Avaliação de PCDT, que busca atualizar as informações necessárias para que as recomendações feitas nos protocolos se baseiem nas melhores e mais atuais evidências científicas existentes.

Como mencionado anteriormente, foi criada em 2011 por meio da Lei 12.401 a CONITEC surgiu para substituir a Comissão de Incorporação de Tecnologias (CITEC), criada em 2006. Segundo Aith et al (2010), a CITEC foi criada para a elaboração de PCDTs e mostrou-se ineficiente em seu tempo de operação. Foram produzidos poucos protocolos e, como observam os autores, o impacto nas demandas judiciais foi extremamente baixo. Dados apresentados por Silva et al (2012) mostram que em seu período de funcionamento, a CITEC recebeu 351 propostas de incorporação e exclusão, sendo que 85 delas representam tecnologias incorporadas, enquanto 65 propostas de incorporação foram rejeitadas. Quanto à produção de PCDTs, foram analisados 95 protocolos com a publicação de 53 deles.

As discussões sobre a importância da incorporação tecnológica no SUS levou à criação da CONITEC². Aith et al ainda nos dizem que a Lei 12.401/2011 tem como objetivo “[...] assegurar a transparência e a possibilidade de participação da sociedade civil nesses processos, bem como define prazos para análise e decisão dos processos de incorporação de novas tecnologias ao SUS” (2014, p.16).

O órgão segue o modelo britânico e agrega pacientes e profissionais de saúde nas decisões de incorporação a serem tomadas (AITH et al, 2014), através da votação de propostas em plenário com representantes de 13 entidades, incluindo representantes da sociedade civil e de agências reguladoras como a Anvisa. Além disso, a mudança traz aspectos inovadores como o estabelecimento de prazos para a apreciação de propostas e a submissão de cada proposta à consulta pública (SILVA et al, 2012).

² Também foi parte da discussão para a criação da CONITEC a diminuição da judicialização no setor de saúde.

A CONITEC é, portanto, um órgão colegiado ligado ao Ministério da Saúde, mais especificamente à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, e possui como atividade fim o *auxílio* nas decisões de incorporação, alteração e exclusão de tecnologias no SUS e na criação e revisão de PCDTs (AITH et al, 2014).

A exemplo da importância do impacto da CONITEC na judicialização da saúde, em julho de 2015³ a comissão recomendou a exclusão do medicamento Avonex® para o tratamento de esclerose múltipla, uma doença autoimune que afeta o sistema nervoso central, que podem ter consequências como a interrupção da fala e a perda da capacidade de andar. O relatório lançado pela CONITEC à sociedade sobre a proposta coloca que a doença não possui cura, porém os tratamentos existentes para a doença podem oferecer aos portadores uma vida confortável, impedindo a progressão da doença e evitar crises. Até então, o SUS oferta aos pacientes três medicamentos: Avonex®, Betaferon® e Rebif® e, segundo o relatório, todos possuem efeitos semelhantes, dando ao médico o poder de decisão sobre qual tratamento é o mais adequado para cada caso. Entretanto, a CONITEC argumenta que o Avonex se mostrou inferior aos demais medicamentos, o que significa ser menos efetivo que os demais medicamentos ao tratar dos sintomas e da progressão da doença. A recomendação é da exclusão do medicamento do PDCT de esclerose múltipla, mesmo que este tenha valor de mercado inferior aos demais. O relatório ainda observa que há, atualmente, cerca de 3mil pacientes de esclerose múltipla que utilizam o Avonex® como tratamento pelo SUS.

Dentro das contribuições recebidas pela consulta pública⁴, pacientes relatam o uso do Avonex® há anos como a melhor alternativa de tratamento, e que o uso de medicamentos para esclerose múltipla apresenta dificuldades para a adaptação. Os relatos colocam que já tentaram realizar o tratamento com os demais medicamentos disponíveis no mercado, não obtendo bons resultados. O Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG) estabelecido para o Avonex® estabelecido pela CMED, considerando ICMS de 0%, é R\$ 3064,00⁵. Ainda que muitos consigam se adaptar aos demais fármacos disponíveis, a possibilidade de grande parte dos três mil pacientes com esclerose múltipla que estão adaptados ao uso do Avonex® optem

³ Decisão disponível em:

<http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2015/Pacientes/Relatorio_Sociedade_EscleroseMultipla.pdf>

. Acesso em: 13 dez. 2015

⁴ Disponíveis em:

<http://conitec.gov.br/images/Consultas/Contribuicoes/2015/CP_CONITEC_18_2015_Paciente_Cloridrato_de_Cinacalcete_e_Paricalcitol_para_HPTS.pdf>. Acesso em: 13 dez. 2015.

⁵ Para mais informações, ver:

<http://portal.Anvisa.gov.br/wps/wcm/connect/2de172004aa6b297a12eb7218f91a449/LISTA_CONFORMIDA_DE_GOV_2015-11-20.pdf?MOD=AJPERES>. Acesso em: 13 dez. 2015.

por continuar usando a droga como forma de tratamento não deve ser ignorada. A partir de sua retirada do SUS, através de sua exclusão do PCDT, a tentativa de acesso poderá acarretar em diversas demandas judiciais, onerosas financeiramente pelo alto valor apresentado pelo medicamento. Mesmo havendo medicamentos disponíveis para o tratamento da mesma doença, os critérios utilizados pelos juízes para decidirem contra ou a favor do acesso a tratamentos via judicialização pode desconsiderar alguns fatores importante, como veremos mais adiante.

O método utilizado para a avaliação de tecnologias no Brasil é chamado de Avaliação Tecnológica em Saúde (ATS), acerca do qual Araújo (2014) menciona três aspectos como mais relevantes: custo-efetividade, impacto orçamentário e evidência. Clarice Petramale (s/d.), em apresentação, coloca que o método ATS requer estudos científicos que evidenciem que a tecnologia a ser incorporada é a melhor opção terapêutica, com evidências fortes de eficácia e segurança, que consiga combinar o menor risco com o maior benefício e o maior custo-efetividade. Entre os aspectos da avaliação apresentados por Petramale, destacam-se a apresentação de evidências de eficácia e segurança comparadas e os limites apresentados pela tecnologia para a elaboração de protocolos seguros e racionais. Entretanto, Silva et al (2012) nos dizem que a comissão é orientada a não seguir apenas as evidências científicas apresentadas, mas também as necessidades da população e a sustentabilidade do SUS. Para Silva et al (Idem)

[...]. Dessa forma, espera-se que sejam priorizados os resultados clinicamente relevantes, traduzidos em agregação de valor à assistência (redução de internações, de absenteísmo ao trabalho, de procedimentos cirúrgicos ou laboratoriais etc.), os benefícios e a segurança da população brasileira no longo prazo, os custos envolvidos e o potencial de inovação tecnológica que a incorporação poderá introduzir no sistema (SILVA et al., 2012, p.6).

Mesmo considerando aspectos importantes para a avaliação tecnológica, Araújo (2014) observa que o uso do método ATS se mostra mais eficaz quando são analisadas tecnologias que tratam de doenças prevalentes. Portanto, o processo de incorporação utilizado no Brasil exclui de alguma forma doenças negligenciadas⁶ e doenças raras.

⁶ “Doenças negligenciadas são doenças que não só prevalecem em condições de pobreza, mas também contribuem para a manutenção do quadro de desigualdade, já que representam forte entrave ao desenvolvimento dos países. Como exemplos de doenças negligenciadas, podemos citar: dengue, doença de Chagas, esquistossomose, hanseníase, leishmaniose, malária, tuberculose, entre outras. Segundo dados da Organização Mundial de Saúde (OMS), mais de um bilhão de pessoas estão infectadas com uma ou mais doenças

Desse modo, a política assim elaborada ainda apresenta problemas de efetivação das terapias medicamentosas como centrais na política de saúde. Soares e Deprá (2011) colocam que o acesso a medicamentos é restrito a uma parcela muito pequena da população (15% da população consome cerca de 90% dos medicamentos disponíveis no mercado), o que decorre principalmente do gasto privado com medicamentos, que é atualmente no Brasil superior aos gastos públicos com o referido produto.

A judicialização de medicamentos ocorre por problemas de fornecimento de medicamentos, pela falta dos mesmos na RENAME e nos PCDTs, ou ainda pela ausência de registro no país, questão a ser tratada mais adiante. No primeiro caso, quando o medicamento consta na RENAME ou em PCDTs, é direito do paciente a sua retirada em postos de saúde. Por diversos motivos, como falta de planejamento e problemas de armazenamento, não há disponibilidade do tratamento nos locais de dispensação, possibilitando o início do pedido de acesso pela via judicial. No caso da ausência de medicamentos específicos nos PCDTs e na RENAME, muitas vezes a enfermidade em questão não possui protocolo próprio e, conseqüentemente, tratamento medicamentoso disponível no SUS. Também é possível que o medicamento prescrito pelo médico, ou de uso habitual do paciente, não conste no sistema público como opção de tratamento. Tal cenário também leva à judicialização para o acesso a medicamentos, como será abordado mais adiante.

3.2.3 VIGILÂNCIA SANITÁRIA E REGULAÇÃO DE MERCADO

O Sistema Nacional de Vigilância Sanitária (SNVS) foi estabelecido pela Lei 9782/1999, que também criou a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Assim como toda a legislação norteadora do setor de saúde, a SNVS resguarda à União, estados e municípios a competência de fiscalização sanitária, tomando como referência a Anvisa. A Lei 6360/1976 estabelece quais são os produtos sujeitos à vigilância sanitária e estabelece padronizações de embalagem, rotulagem, fabricação e controle de qualidade, entre outros.

O papel da Anvisa é fundamental para o funcionamento do SUS, por ser responsável pela normatização, pelo registro de medicamentos e de produtos para a saúde ou a ela relacionados, – como alimentos, equipamentos e saneantes –, pela regulação e fiscalização de

mercado e pelo monitoramento de publicidade, além de outras atividades pós-registro. Uma característica da agência como autarquia é sua independência gestacional e financeira.

A Anvisa é coordenada por Diretoria Colegiada, composta por cinco diretores que, embora sejam indicados pelo Poder Executivo, possuem mandato de três anos e só podem ser substituídos em caso de vacância de cargo. Além disso, a agência possui arrecadação financeira própria e independente do orçamento público (Lei 9782/1999, artigo 22). Dentre as atividades exercidas pela agência, destaca-se a emissão de registro para produtos, medicamentos e tecnologias de saúde. O registro é realizado pela Gerência-Geral de Medicamentos (GGMED) e busca avaliar questões relativas à eficácia e à segurança dos produtos que, caso sejam aprovados, podem ser comercializados em território nacional.

Nenhum produto listado na Lei 6360/1976 pode ser comercializado no Brasil sem a concessão de registro pela Anvisa. Além disso, o registro concedido por parte da autoridade sanitária permite que os medicamentos sejam dispensados pelo SUS. Para que se dê início ao referido processo, a Lei 6360/1976 estabelece que seja entregue um relatório econômico em que constem informações como: o preço do produto em outros países; o custo do tratamento por paciente com o uso do produto; a lista de preço que pretende praticar no mercado interno; a discriminação da proposta de comercialização do produto (incluindo os gastos previstos com o esforço de venda e com publicidade e propaganda) e; a relação de todos os produtos substitutos existentes no mercado, acompanhada de seus respectivos preços, entre outros. Tais informações são relevantes para as atividades desempenhadas pela Anvisa na etapa de pós-registro.

Dentre as atividades de pós-registro, podemos destacar a atuação em primeira instância na regulação de mercado, exercida através da secretaria-executiva da Câmara de Regulação de Mercado de Medicamentos (CMED). A secretaria-executiva está submetida ao Comitê-Executivo e ao Conselho de Ministros da CMED. Nos anos 70 e 80, o mercado de medicamentos era regulado pelo tabelamento de preços estabelecidos pelo Conselho Interministerial de Preços (CIP), que buscava harmonizar o mercado interno com a economia global (Decreto 808/1969). Este modelo foi extinto em 1990, período em que a agenda neoliberal ganhou espaço no Brasil e a economia brasileira aumentou em níveis globais sua produtividade. A indústria farmacêutica, entretanto, não sofreu essas mudanças de mercado. A hegemonia de poucos produtores no setor de saúde, pelo contrário, gerou a alteração constante e irregular no preço dos medicamentos e produtos para a saúde, afetando aqueles que dela demandavam medicamentos, prejudicando em última instância o usuário do sistema.

Em texto publicado em 2003, com a autoria de diversos ministros, afirma-se que

[...] falhas de mercado estão presentes em vários segmentos econômicos. Porém, a inelasticidade da demanda em relação ao preço é maior no setor farmacêutico em função do uso específico do produto dessa indústria. Nesse setor, o vendedor conta com todas as possibilidades de aumentar preços, drenando renda de parcela dos consumidores de forma compulsória. Ao mesmo tempo, a elevação dos preços impede o acesso ao produto essencial para a vida de outra parcela de consumidores de menor renda. (2003⁷)

Tal quadro, que é resultado dos abusos praticados pela indústria farmacêutica na década de 90, levou à criação da CPI dos Medicamentos no início da década seguinte. O relatório da Comissão apontou a necessidade de regular os preços praticados no mercado da saúde, impedindo que a indústria realizasse alterações aleatórias nos medicamentos e nos produtos para a saúde, prejudicando o acesso da população a tratamentos decisivos para a vida. A regulação seria realizada por autoridade pública, que avaliaria a qualidade e o preço dos produtos, as condições de mercado e o reajuste de preços (iniciado em março de 2004), de ocorrência anual a partir de então.

O objetivo final da legislação seria a diminuição das falhas de mercado, principalmente com relação às informações fornecidas aos envolvidos, desde produtores até consumidores, e à possibilidade de negociar com o setor privado os valores máximos para a comercialização dos produtos dentro do país (Lei 10742/2003). O poder de negociação é fundamental principalmente para produtos que serão disponibilizados no SUS, pois sua compra impacta diretamente o orçamento do governo federal. Assim,

[...] os instrumentos voltados ao fortalecimento do poder de negociação direcionados aos compradores públicos - governos federal, estaduais e municipais, respeitando as restrições orçamentárias, compreenderão o estabelecimento de regras para a fixação dos preços de referência para a aquisição de medicamentos constantes das listas de produtos com distribuição governamental gratuita. Tais regras serão estabelecidas, considerando a essencialidade do medicamento, a sua efetividade clínica, a comparação do preço pretendido pelo fabricante com os que este pratica em outros países, a utilização de estudos farmacoeconômicos, entre outras. (MP 123/2003, grifo meu).

Atualmente, a estrutura da CMED se divide em três instâncias. A instância final é o Conselho de Ministros, presidido pelo Ministro da Saúde e composto pelos ministros da

⁷ Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/Exm/2003/EMI28-CCV-MS-MF-MJ-03.htm. Acesso em: <27 out. 2015>.

Fazenda, da Justiça, pelo Ministro-Chefe da Casa Civil e pelo Ministro do Desenvolvimento, Indústria e Comércio Exterior. A segunda instância é o comitê técnico da CMED, que “propõe critérios e diretrizes para o aperfeiçoamento da regulação de mercado” (Anvisa, 2014⁸). Por fim, a primeira instância é a Secretaria-Executiva, exercida pela Anvisa, que fornece “suporte técnico para subsidiar as decisões das demais instâncias” (Anvisa, 2014).

A ligação entre CMED e Anvisa possui muita relevância para o setor. A regulamentação dos preços de medicamentos está diretamente vinculada ao seu registro, realizada pela agência. Decorre disso que a partir do momento que a indústria busca incluir seu produto no mercado brasileiro através do registro, ela também deve estar apta a negociar o valor de venda que vai ser praticado, o que pode também influenciar nos valores do produto em outros países.

3.3 AÇÕES GOVERNAMENTAIS VOLTADAS PARA DOENÇAS RARAS

A Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica, cuja gestão é de responsabilidade de todas as esferas federativas, foi publicada pela Portaria 81/2009. A norma estabelece o incentivo a pesquisas em genética clínica - que busquem identificar causas para anomalias congênitas e fatores determinantes de doenças genéticas -, possibilitando com isso o desenho de políticas públicas que tratem de tais enfermidades. A Política é composta pelos níveis de *Atenção Básica*, que possui a competência de dar aconselhamento aos pacientes afetados por doenças genéticas e suas famílias, e de *Atenção Especializada em Genética Clínica*, que possui caráter multidisciplinar e é responsável pelo acompanhamento especializado dos pacientes.

Segundo Aith et al (2014), a publicação é relevante para a questão das doenças raras, pois cerca de 80% dessas doenças possuem origem genética. A Política trouxe para a discussão a necessidade de incluir os portadores de doenças raras no SUS; era necessária uma política que abrangesse do diagnóstico ao tratamento, com uma rede de assistência e maior especialização médica sobre genética clínica, ampliando a capacidade de atuação do poder público na questão. Entretanto, a Interfarma (2015) aponta que a publicação da norma não

⁸ Disponível em: <http://sindusfarma.org.br/arquivos/apresentacao_leandro_cmed_12set2014.pdf>. Acesso em: 29 nov. 2015.

teve impacto suficiente para melhorar questões de diagnóstico e tratamento dos portadores de doenças raras.

A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras foi instituída pela Portaria 199/2014 do Ministério da Saúde, ao fim da gestão do ex-Ministro da Saúde Alexandre Padilha. Seu objetivo é a redução da mortalidade, da morbimortalidade e a melhoria da qualidade de vida dos portadores de doenças raras, ao incluir o tratamento de pessoas com doenças raras aos princípios do SUS, garantindo-lhes o acesso a diagnóstico e a tratamentos adequados. Como as demais políticas que integram o SUS, sua gestão e financiamento são responsabilidades compartilhadas entre União, estado e municípios. Fator central da política é a criação do critério de classificação de uma doença rara no país: a incidência de 65 casos para 100 mil habitantes.

Entre as diretrizes e princípios estabelecidos pela Portaria, destacam-se a qualificação de profissionais para diagnosticar e tratar de doenças raras, a articulação interssetorial e, principalmente o que nos diz o inciso VI do art 6º,

[...] incorporação e uso de tecnologias voltadas para a promoção, prevenção e cuidado integral na RAS, incluindo tratamento medicamentoso e fórmulas nutricionais quando indicados no âmbito do SUS, que devem ser resultados das recomendações formuladas por órgãos governamentais a partir do processo de avaliação e aprovação pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) e Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). (Ministério da Saúde, 2014).

A Política classifica as doenças raras em dois eixos: as de origem genética e as de origem não-genética. O primeiro eixo ainda é desmembrado em: anomalias congênitas ou de manifestação tardia; deficiência intelectual; e erros inatos de metabolismo. O segundo eixo é dividido em: doenças infecciosas; inflamatórias; e autoimunes. Faz sentido, portanto, que a Política direcionada a pessoas com doenças raras seja transversal a outras políticas do SUS, como a Rede de Atenção às Pessoas com Doenças Crônicas e a Rede de Atenção à Pessoa com Deficiência.

São criados, por fim, no âmbito da Atenção Especializada, o Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras e o Serviço de Referência em Doenças Raras. Ambos possuem caráter multidisciplinar e são responsáveis por ações que promovam o diagnóstico, o tratamento e a prevenção de doenças raras, estando integrados na Rede de Atenção à Saúde (RAS). Competências específicas do Serviço de Referência em Doenças Raras, que devem ser

destacadas, são: o acompanhamento clínico multidisciplinar do paciente e o aconselhamento genético quando necessário, devido à predominância de doenças raras de origem genética.

Em audiência pública realizada no Senado Federal (2014), Pollyanna dos Santos, Especialista em Doenças Raras do Ministério da Saúde, colocou que o uso de medicamentos para doenças raras atinge uma parte muito pequena do tratamento deste grupo de doenças. Ela ainda declarou que as principais demandas recebidas pelos pacientes e suas famílias são: a possibilidade dos médicos em diagnosticarem doenças raras, e o cuidado integral em todos os níveis de atenção, de forma multidisciplinar e que agregue diferentes profissionais.

Santos ainda apresentou a pretensão do Ministério da Saúde ao publicar a Política, que seria o atendimento em todos os níveis de atenção, indo do tratamento mais generalizado ao mais específico, incluindo o aconselhamento genético e a orientação dos cuidadores. Além disso, a busca é por estimular a incorporação na CONITEC de medicamentos e fórmulas nutricionais recomendadas para atingir os objetivos da norma, citados anteriormente.

Na audiência, ainda foi destacada a publicação da Portaria 05/2014, da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde (SCTIE/MS), que estabeleceu a incorporação da avaliação tecnológica, os procedimentos laboratoriais e o aconselhamento genético para doenças raras, de acordo com as diretrizes estabelecidas pela Portaria 199/2014. A incorporação também é avaliada pela CONITEC, auxiliando a SCTIE/MS nas decisões a serem tomadas.

Em complementação à Política, foi publicada a Portaria 99/2015 da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, que estabelece que os PCDTs para o tratamento de doenças raras terão prioridade em sua elaboração pela CONITEC.

3.4 JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E POLÍTICA DE ACESSO A MEDICAMENTOS

A *judicialização da saúde* no Brasil é um problema crescente na elaboração e na execução de políticas públicas do Ministério da Saúde. Aith et al (2014) a definem como a participação do Poder Judiciário para julgar, em última instância, questões que envolvam o direito à saúde, devendo para isso ser demandado pela sociedade. O pesquisador também argumenta que a ausência de contornos específicos que delimitam o dever do Estado no que tange ao direito à saúde da população, e a obrigação do poder público em oferecer serviços que satisfaçam esse direito, contribuem para o aumento das ações judiciais por produtos e

serviços de saúde. Delcy Linhares (2015), Subsecretário Jurídico da Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro, exemplifica essa situação: entre 2007 e 2014, houve aumento de mais de 200% na demanda judicial da saúde, sendo que os maiores gastos feitos pelo estado do Rio de Janeiro se relacionam com medicamentos e insumos farmacêuticos.

A discussão em torno das demandas judiciais não envolve apenas os direitos garantidos na Constituição Federal. Nos debates travados sobre o tema, são colocados em cheque os diversos princípios do SUS e como a interferência judicial impacta na promoção da universalidade, da equidade e da integralidade do sistema. Além disso, diversos autores discorrem sobre questões orçamentárias, danos à saúde da população e sobre a utilização incorreta de medicamentos. Soares e Deprá dizem que “[...] as ações judiciais passaram a ocupar lugar de destaque na assistência farmacêutica, e desrespeitam, muitas vezes, os princípios que deveriam reger a utilização de medicamentos” (2011, p.318).

Chieffi e Barata (2009) analisam os impactos das demandas judiciais através da análise histórica da questão. As autoras nos dizem que, a partir da aprovação da Constituição Federal em 1988, a interferência do Judiciário em questões de competência do Executivo e Legislativo tem se tornado cada vez mais expressiva. Tal interferência é considerada por elas como extremamente prejudicial para a alocação racional de recursos escassos. No caso do setor de saúde, o planejamento das principais ações do Ministério da Saúde também é lesionado (CHIEFFI; BARATA, 2009).

A judicialização da saúde teve início na década de 90 com a atuação de ONGs que buscavam o acesso a medicamentos para o tratamento da AIDS. A estratégia, utilizada até os dias atuais, consistia em responsabilizar o Estado pelo direito individual à saúde (VENTURA et al, 2010). Baptista, Machado e Lima (2008), por exemplo, apontam a dificuldade de acesso a medicamentos por parte da população entre 1990 e 2002. As autoras alertam que nem mesmo com a implementação da Política Nacional de Medicamentos Genéricos, em 1999, aliviou-se o quadro de inacessibilidade. A falta de soluções por parte do Executivo e Legislativo para os problemas enfrentados no acesso ampliaram o cenário da judicialização (BAPTISTA, MACHADO e LIMA, 2008).

A judicialização de medicamentos é uma prática comum por diversos motivos que podem ser divididos em dois eixos: *tratamentos disponíveis no SUS* e *medicamentos que não foram incorporados à lista de oferta* do sistema. Em ambos os casos, podemos notar muitas vezes a falta de disponibilidade de produtos. Chieffi e Barata (2008) listam os motivos para tal situação, sendo eles: os preços abusivos praticados, a falta de estoque, a padronização de

uso, a ausência de registro no país e questões de comprovação de eficácia baseada em critérios científicos. .

No primeiro caso, as autoras argumentam que a ordem judicial para medicamentos já dispensados pelo sistema público demonstra certa falta de atenção por parte dos demandantes e dos juízes quanto às políticas públicas de saúde, tornando os pedidos contestáveis. Já Ventura et al (2010) veem que a atuação do Judiciário em muitos desses casos revela com nitidez as deficiências da administração pública em executar a política de assistência farmacêutica. Entretanto, os autores enxergam benefícios no cenário mencionado, como a responsabilização dos gestores de saúde em aprimorar os processos de incorporação, compra e dispensação de medicamentos pelo SUS. Ressaltam, ainda assim, que a prática é perigosa, pois pode tornar a judicialização a via principal de acesso a medicamentos no país. Macedo, Lopes e Barbeta (2011) convergem em parte com essa posição. Porém, também atribuem a judicialização de medicamentos que já estão no SUS à falta de atenção em observar e avaliar a execução de políticas públicas vigentes, sendo a ação judicial um importante instrumento para ampliar e revisar políticas vigentes.

Ainda no primeiro eixo, vale ressaltar que muitas vezes os medicamentos que são alvos de judicialização constam em PCDTs publicadas pelo Ministério da Saúde. Macedo, Lopes e Barbeta (Idem) argumentam que faltam opções de tratamento no sistema público de saúde, e muitas vezes os protocolos ignoram ou não consideram as contraindicações no uso de diversos medicamentos, como casos de intolerância ou alergia a substâncias. A solução, para os autores, seria a maior qualificação da assistência farmacêutica.

O segundo eixo apresenta situação mais delicada e que traz maiores debates quanto à judicialização de medicamentos. Pepe et al (2010) afirmam que há três razões para medicamentos não estarem disponíveis no SUS: a concessão recente de registro, a ausência de registro e a indicação terapêutica não autorizada. Entretanto, após a criação da CONITEC em 2011, há outras possibilidades para a não-incorporação de medicamentos que já possuem registro no país, derivadas de resultados insatisfatórios das avaliações realizadas em relação ao custo-efetividade, à eficácia, à acurácia e à segurança tecnológica.

No caso dos medicamentos sem registro, objetos de análise mais minuciosa mais adiante, a judicialização pode ser uma estratégia, perante a autoridade sanitária, para sua autorização para circulação no mercado (PEPE et al, 2010). Para medicamentos registrados, mas indisponíveis no SUS, as demandas judiciais podem ter o papel de pressionar o Ministério da Saúde a incorporá-los à lista do sistema (VENTURA et al, 2010). Chieffi e

Barata (2008) defendem que, diante da percepção de que os medicamentos que não estão disponíveis no SUS são altamente judicializados, há uma clara escolha dos juízes em ignorarem as normas estabelecidas pela legislação. Dentro dos critérios estabelecidos para a incorporação de medicamentos, as autoras refletem sobre questões que não conseguem ser avaliadas pelos juízes ao julgarem uma demanda de acesso a medicamentos indisponíveis, essenciais para sua incorporação,

Temos, portanto, o primeiro questionamento levantado pela literatura: *qual o grau de competência técnica dos juízes para interferir na política de medicamentos sem prejudicar a segurança dos pacientes?*

Ventura et al (2010) listam os critérios utilizados pelos juízes para decidirem quanto às demandas judiciais por medicamentos, sendo eles: a prescrição médica, também objeto de contestação da literatura, que será tratada mais adiante; a hipossuficiência econômica, que corresponde à capacidade financeira do paciente em obter o medicamento por via particular e; a urgência ao acesso.

Segundo Delcy Linhares (2015), em 2006, foi criado no Rio de Janeiro o Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde (NAT) que busca assessorar Magistrados e Defensores públicos nas demandas judiciais contra o estado no fornecimento de medicamentos, cujos resultados têm se mostrado positivos, evitando diversos pedidos de acesso. Entretanto, como colocam Chieffi e Barata (2010), mesmo com a apresentação de informações relevantes por gestores de saúde a pedido dos juízes, não é garantido que estes tomem decisões alinhadas com o conhecimento técnico e científico específicos do setor de saúde. Todas as informações são, segundo as autoras, passíveis de interpretações de cunho pessoal, que nem sempre vão gerar decisões que garantam a segurança do paciente e a efetividade do tratamento. A indústria é um dos atores de maior relevância para o setor de saúde no Brasil. Chieffi e Barata ressaltam a importância do SUS no mercado de medicamentos. Por ser um sistema público de caráter universal e que, portanto, garante à indústria farmacêutica um amplo mercado para a venda de seus produtos, há situações em que não há concorrência direta entre empresas do setor.

Em consonância a esse argumento, Arthur Chioro (2015), ex-ministro da saúde, ressalta o papel do SUS como regulador de mercado em nível internacional. A inserção de produtos farmacêuticos no sistema público brasileiro é, portanto, sinônimo de lucro para todo o setor regulado, principalmente quando são incluídos nos PCDTs, entrando na linha de tratamento pelo SUS. Entretanto, é preciso observar que o Estado também depende da

indústria para pesquisas e para o desenvolvimento de novas tecnologias, já que por si só não é capaz de fazê-lo (VENTURA et al, 2010).

Há vários questionamentos quanto à atuação da indústria farmacêutica dentro do mercado de saúde e de sua influência na judicialização. Soares e Deprá (2011) apontam que a mercantilização do setor, com o desenvolvimento de novas tecnologias de forma rápida, fez com que a indústria visasse cada vez mais ao lucro, desviando-se das demandas da população para tratar problemas existentes no país. Em outras palavras, a indústria passou a dar soluções para problemas criados por ela mesma, deixando de priorizar as necessidades de saúde da população.

Outro questionamento é quanto à aproximação entre o setor produtivo e as associações de pacientes, atores da sociedade civil com grande influência política e com espaço para participação no SUS. Soares e Deprá apontam que os médicos são um dos grandes alvos de marketing da farmaíndústria. A estratégia preponderante, no entanto, é a aproximação com a população leiga e com as associações de pacientes. Tais associações justificam a relação citada como forma de manter aberto e contínuo o diálogo entre fabricantes de medicamentos e pacientes, o que facilitaria a produção de novas tecnologias em saúde.

As autoras questionam essa relação ao colocar, primeiramente, que as aproximações da indústria com os referidos atores é uma tentativa de influenciar indiretamente as políticas públicas de saúde, já que a receptividade do governo às ideias propostas pelas associações são maiores do que às propostas pelo setor regulado. Além disso, há grande financiamento das ONGs de pacientes por parte da indústria farmacêutica. Em estudo realizado por Mosconi (2003), foi possível constatar a falta de transparência financeira por parte das associações, sendo que poucas delas avaliam que há conflito de interesses em jogo quando admitem que possuem patrocínio do setor privado. A recomendação da pesquisadora é a maior participação do poder público no financiamento desses órgãos (SOARES; DEPRÁ, 2011). Outros pesquisadores chegaram a evidenciar declarações que comprovam a ligação aqui citada. Segundo Lenzer (2003), a *National Alliance of State Prostate Cancer Coalitions*⁹ revelou que

⁹ A *National Alliance of State Prostate Cancer Coalitions* (NASPCC) é uma organização estadunidense da sociedade civil, cujo objetivo é ser ponte institucional entre organizações públicas e os interessados no desenvolvimento de políticas para o tratamento do câncer de próstata.

95% de seus recursos advinham de patrocínio da indústria. Soares e Deprá (2011) questionam a naturalidade em como tais relações são vistas e nos dizem que

[...] a indústria farmacêutica, evidentemente, não reconhece conflito de interesses entre o fato de associações de pacientes serem financiadas por laboratórios e, ao mesmo tempo, apoiarem causas defendidas por essas instituições, tais como a questão das patentes e muitas outras. O que parece mais grave é que 323 pacientes tampouco questionam tais relações. Como constataram Hampson e colaboradores (2006), participantes de ensaios clínicos em câncer não veem anormalidade nas ligações financeiras entre pesquisadores, centros médicos e indústrias farmacêuticas. (SOARES; DEPRÁ, 2011, p.322-323).

A aproximação com os pacientes ocasiona o pedido de medicamentos pela via judicial. O favorecimento da indústria diante deste quadro já foi mencionado anteriormente e representa certo consenso na literatura tratada. Nas palavras de Ventura et al (2010),

[...] um tema persistente que perpassa as discussões refere-se ao marketing comercial e/ou lobby exercido pela indústria e comércio farmacêutico, junto a segmentos sociais (pesquisadores, pacientes, médicos) e governamentais, para incorporação de seus produtos, o que poderia estar exercendo papel importante no sentido de estimular a demanda judicial para incorporação de novos medicamentos (p.80).

É importante ressaltar outra estratégia mencionada por Soares e Deprá. Muitas vezes a indústria apresenta tecnologias inovadoras como a melhor forma de tratamento para certa doença, quando não as colocam como a única forma de tratamento, comovendo pacientes e familiares, levando-os a utilizar a via judicial e, conseqüentemente, a pressionar o governo. As autoras observam que frequentemente os médicos apoiam e estimulam tal comportamento, auxiliando a indústria junto aos pacientes.

À atuação da indústria se relaciona também a contestação em relação ao papel dos médicos dentro da judicialização. Salomão Rodrigues, conselheiro do Conselho Federal de Medicina (CFM), anunciou em evento realizado pelo Tribunal de Contas da União que o aumento da judicialização é uma preocupação da comunidade médica e que a posição do CFM é de combate à prática. Como colocado anteriormente, um dos critérios adotados pelos juízes é a prescrição médica. Segundo Ventura et al, uma das posições do debate jurídico sobre a efetividade do direito à saúde defende que “[...] o direito à saúde implica garantia do direito à vida e integridade física do indivíduo, devendo o Judiciário considerar a autoridade absoluta do médico que assiste ao autor da ação judicial, obrigando o SUS a fornecer o tratamento indicado” (VENTURA et al, 2010, p.86).

Arthur Chioro ressaltou, entretanto, em evento realizado em 2015, a necessidade de questionar as ligações entre o médico prescritor e os laboratórios produtores dos medicamentos indicados. Segundo ele, parte dos médicos passou com o tempo a receitar medicamentos que estão em fase experimental na Europa e estão ligados a pesquisas ainda em desenvolvimento. Dentro da literatura é cada vez mais recorrente o diagnóstico segundo o qual há um “mercado” da judicialização. Chieffi e Barata (2010) observaram a concentração de demandas judiciais em determinados medicamentos, prescritos por uma pequena quantidade de médicos, com a defesa de um número restrito de advogados.

Soares e Deprá (2011) ainda nos dizem que o principal alvo de marketing por parte da indústria farmacêutica é a comunidade médica, que muitas vezes, como já citado anteriormente, reforça o discurso do setor regulado, ao afirmar que as tecnologias apresentadas pela indústria são as mais eficazes, mesmo não estando presentes no Sistema Único de Saúde Além disso, Chieffi e Barata (2010) observaram o intenso gasto da indústria em campanhas educativas, voltadas principalmente para o patrocínio e a demonstração de resultados em congresso de medicina. Nos Estados Unidos, o investimento em congressos e conferências educativas da área médica por parte da indústria farmacêutica chegou a 60% no ano de 2001. As autoras refletem que tal processo educativo é uma estratégia dos laboratórios que acabam influenciando nas prescrições feitas pelos médicos. No caso dos EUA, muitos desses medicamentos são apresentados como bem sucedidos sem que sejam indicados pela autoridade sanitária responsável (FDA¹⁰). Esta prática acaba culminando em um processo extremamente lucrativo para a indústria farmacêutica e colabora com a incorporação de produtos no rol público de oferta de medicamentos.

Inicialmente o produto é apresentado em eventos científicos, de preferência por meio de palestras ou conferências de um profissional de prestígio na especialidade. Em seguida, alguns médicos passam a prescrevê-lo. Os pacientes orientados pelos próprios médicos ou por associações de portadores da patologia, frequentemente subsidiadas pelas indústrias farmacêuticas, procuram a via judicial para obter a garantia de acesso. O processo se repete com a ampliação progressiva do número de demandantes. (CHIEFFI; BARATA, 2010, p.428). Além disso, as autoras apontam para a necessidade de conexão entre a prática médica e os tratamentos oferecidos à população. Quando há um cenário altamente judicializado, esta conexão deixa de existir, isolando a dispensação do medicamento ao seu mero fornecimento.

¹⁰ Sigla para *Food and Drug Administration*. A FDA é a agência estadunidense responsável pela regulamentação de alimentos e tecnologias de saúde. Seus objetivos institucionais são semelhantes aos da ANVISA.

A discussão mais importante dentro do contexto da judicialização é como esta afeta o orçamento público e os princípios do SUS. Chieffi e Barata (2009) colocam que as políticas de saúde são planejadas e implementadas visando ao bem estar coletivo, a fim de atender os princípios do SUS de maneira satisfatória. Entretanto, a judicialização possui, na maioria das vezes, caráter individual, o que prejudica a execução das políticas anteriormente planejadas (Idem, 2009, 2010).

Segundo dados apresentados por Delcy Linhares (2015), apenas em 2014, a Secretaria Estadual de Saúde do Estado do Rio de Janeiro gastou R\$ 71 milhões para o atendimento de 39 mil pacientes. O valor possibilitaria a criação de três novas Unidades de Pronto Atendimento e atender 360 mil pessoas no mesmo período. Ou seja, o atendimento de uma demanda judicial para um grupo limitado de pessoas prejudica a continuidade de ações de saúde que, com o mesmo orçamento, poderiam beneficiar uma quantidade muito maior de pessoas.

Arthur Chioro (2015) declarou que houve, nos últimos anos, um gasto de aproximadamente R\$15 bilhões pelo Ministério da Saúde, estando previsto, apenas para o ano de 2015, o gasto de R\$900 milhões com a prática. Chieffi e Barata (2010) ressaltam que a quantidade de recursos despendidos com a judicialização é tão alta que possui grande papel nos gastos públicos. Além disso, os estados e municípios também seguem onerados com os gastos para atender demandas judiciais. Tais entes federativos possuem recursos limitados e a má alocação dos mesmos prejudica o restante da população. Soares e Deprá (2011) ainda alertam que a transferência de recursos orçamentários para atender demandas judiciais pode levar ao desabastecimento nas secretarias de saúde dos medicamentos previstos no SUS, desorganizando, novamente, a gestão do sistema como um todo.

Como dito anteriormente, os gastos individuais gerados pela judicialização interferem nos possíveis gastos destinados à coletividade. Essa concepção, por si só, fere o princípio da equidade proposto pelo Sistema Único de Saúde. Chieffi e Barata (2009) argumentam que, ao ofertar serviços que não estão disponíveis pelo SUS para uma parcela da população que recorre à via judicial, os princípios estabelecidos pelo próprio sistema ficam prejudicados. Segundo análises realizadas pelas autoras, as demandas judiciais por medicamentos têm origem em áreas em que reside parte da população com maior poder aquisitivo, o que, conseqüentemente, as fez concluir que a judicialização da saúde tem beneficiado os mais ricos, pessoas que possuem o poder aquisitivo para contratar um advogado particular para atender suas demandas e que, no entendimento das autoras, poderiam adquirir os

medicamentos através de gastos particulares, sem acionar a justiça. As autoras também argumentam que

Em razão disso, as demandas judiciais estão ferindo o princípio da equidade do SUS, ou seja, as ações judiciais não estão fornecendo medicamentos a quem utiliza exclusiva ou preferencialmente o sistema público de saúde e depende do fornecimento gratuito de medicamentos, exatamente as pessoas residentes nos estratos de vulnerabilidade mais alta (CHIEFFI; BARATA, 2009, p.1846).

Mesmo que diversos autores concordem com a concepção que a judicialização leva à elitização da saúde, Medeiros, Diniz e Schwartz (2013) criticam tal abordagem, argumentando que a política de saúde, por seu caráter universal, não pode discriminar a população quanto à sua renda e, muitas vezes, a judicialização é uma forma legítima de promover igualdade quando tratamos de uma política universalista.

A argumentação final é de que, se há um problema distributivista relacionado à judicialização, este está relacionado com questões já mencionadas antes, como a influência dos laboratórios, as falhas das políticas de assistência farmacêutica e o impedimento do Estado de usar ferramentas administrativas para executar suas políticas públicas (como a regulação de preço e os controles de estoque) por efeito das demandas judiciais.

Aith (2014) sintetiza a questão quando nos diz que

[...] esse tipo de decisão judicial, ao desviar os já limitados recursos destinados à saúde para o cumprimento de ações específicas, acaba definindo as prioridades que devem ser adotadas pelo Poder Executivo na execução das políticas de saúde (sejam elas de assistência farmacêutica, de assistência hospitalar ou de prevenção). Este controle pode, de um lado, causar algumas injustiças, pois ao determinar que os recursos sejam destinados a uma atividade específica, o Poder Judiciário estará fatalmente desviando recursos que estavam planejados para serem gastos em outros tipos de ações (p.9).

É necessário destacar, porém, que o autor considera que a judicialização da saúde possui um lado positivo. Segundo ele, o controle das políticas públicas representa grande avanço para o controle democrático dentro das instituições e garante, de alguma forma, a cidadãos em situações excluídas pela própria política pública o acesso a um direito constitucional.

Dentro do contexto da judicialização de medicamentos, é necessário refletir sobre a determinação do Estado em fornecer medicamentos que não possuem registro na Anvisa ou que ainda estão em fase experimental. Pepe et al (2010) nos dão a definição de uso de

medicamentos *off label* como “medicamentos sem registro sanitário ou fora das indicações para as quais foram registrados” (p. 2407). Nogueira (2015) aponta o respaldo dado pela Constituição federal à necessidade de registrar medicamentos para garantir a segurança do paciente e a eficácia do tratamento, já que cabe ao SUS controlar e fiscalizar todos os produtos de saúde que circulem em território nacional. Segundo Souza (2015), a demanda por medicamentos sem registro vem ocorrendo através da prescrição médica, que muitas vezes recomenda o uso do medicamento para tratamentos diversos àqueles previstos no seu registro.

Nogueira questiona a prescrição *off label*. Segundo a autora, a opinião do médico não deve ser considerada verdade absoluta e deve ser questionada, pois muitas vezes claramente foge do consenso científico nacional, podendo ainda ser contestada a sua ligação com a indústria farmacêutica, a qual não raro, como dito anteriormente, utiliza a judicialização como uma plataforma de entrada de novas tecnologias no país, ignorando os processos burocráticos e os critérios estabelecidos pela legislação nacional.

Também é necessário observar como a distribuição de medicamentos sem registro impacta o controle de tais produtos por parte dos gestores de saúde. Uma das prerrogativas da Anvisa, relacionada à etapa de pós-registro, é a fiscalização e o monitoramento das tecnologias registradas pela agência, o que dá a ela a possibilidade de aplicar sanções caso determinadas regras sejam violadas. Com a ausência de registro, Nogueira afirma que a referida atividade é prejudicada, levando à desorganização da gestão. Conseqüentemente, a execução das empresas, cujas atividades em relação à saúde sejam indevidas, e eventuais problemas que podem ser causados pelos medicamentos fogem do controle da autoridade sanitária, podendo prejudicar a saúde dos pacientes pela ausência de vigilância.

Por fim, Souza (2015) trata de uma situação a ser questionada quanto aos medicamentos sem registro que são alvo de judicialização.

Regra geral, os medicamentos fornecidos por meio de decisão judicial são de alto custo, não sofrem controle de preço e são adquiridos por meio de compra direta, sem licitação, ou seja, o preço é estabelecido unilateralmente pelo vendedor. Tal arranjo onera demasiadamente o Estado e desestimula o pedido de registro no país, já que registrá-lo representa submissão ao controle estatal de preço (p.7).

Ou seja, a ausência de registro também corresponde à ausência de regulação de preço por parte da CMED. Portanto, tendo a judicialização como alternativa praticamente certa de inserir medicamentos no mercado brasileiro, praticando preços que atendem à vontade do

fornecedor, não há incentivos reais para a indústria farmacêutica registrar seus produtos na Anvisa.

3.5 DOENÇAS RARAS E JUDICIALIZAÇÃO DE MEDICAMENTOS ÓRFÃOS

Antes de tratarmos de judicialização de medicamentos órfãos, é necessário retomar seu conceito e o de doenças raras.

A definição de doenças raras no Brasil se baseia em sua incidência na população: 65 casos entre 100 mil habitantes. A Anvisa define medicamentos órfãos como “[...] medicamentos eficazes no tratamento ou diagnóstico de doenças raras ou negligenciadas” (Interfarma, 2015, p. 9). Importante ressaltar que a agência não considera as questões econômicas relacionadas ao alto valor dos medicamentos órfãos. Segundo Aith et al (2014) “[...] a discussão sobre doenças raras impõe uma abordagem conjunta com os denominados medicamentos órfãos, uma vez que geralmente estes são essenciais para o tratamento terapêutico dos portadores de doenças raras” (p. 28). Além disso, o debate é relevante por colocar em xeque a capacidade do Estado de oferecer aos portadores de doenças raras o direito fundamental à saúde, cumprindo os princípios do SUS de universalidade, integralidade e equidade. Pela própria definição, percebe-se que os tratamentos de doenças raras e o uso medicamentos órfãos se distinguem profundamente de doenças prevalentes e dos mecanismos utilizados para tratá-las.

A abordagem aqui delineada sobre a questão será dividida entre: tratamento internacional – em comparação com o Brasil – às doenças raras e medicamentos órfãos, o método de avaliação para a incorporação de medicamentos órfãos e os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas para Doenças Raras.

Em diversos países os medicamentos órfãos são, de fato, diferenciados dos demais em diversos aspectos. Na Europa, a responsabilidade por essa categoria de medicamentos é o *Committee for Orphan Medicinal Products (COMP)*, da *European Medicines Agency (EMA)*, criada em 1999. Aith et al (2014) nos diz que são oferecidos incentivos para o desenvolvimento de tais produtos, a partir do pressuposto de que não é interessante para a indústria farmacêutica fazê-lo em condições normais de mercado. A partir de avaliação realizada pelo comitê, um medicamento adquire ou não o status de órfão.

A França, a título de exemplo em relação aos países europeus, possui atuação própria na questão de doenças raras, com o Plano Nacional para Doenças Raras, do Ministério da Saúde francês, que envolve a atuação de especialistas, associações e profissionais de saúde em 67 centros de atuação para o tratamento de 18 categorias de doenças raras (INTERFARMA, 2015).

O Japão apresenta uma abordagem singular na questão através do Programa Nacional de Doenças Raras e Intratáveis, de 1972. Segundo a Interfarma (2015), cerca de 60 grupos de pesquisa estudam 123 doenças raras no país. Os grupos, financiados pelo governo, devem divulgar em uma rede as informações encontradas, focadas em questões como prevalência das doenças, diagnóstico e tratamento.

Já nos Estados Unidos, o Office of Orphan Products Development (OOPD), ligado ao FDA, é responsável por lidar com tais medicamentos. A princípio, sua atuação se baseava em fatores econômicos, de acordo com o que foi instituído pelo Orphan Act (1983). A partir de 2004 a OOPD passou a considerar fatores epidemiológicos (Aith et al, 2014).

São três os fundamentos para esse critério: o medicamento deve ser mais efetivo que o medicamento disponível, mais seguro que o aprovado e, no caso de não haver medicamento órfão, este novo produto, apesar de não garantir efetividade ou segurança, deve contribuir significativamente para o tratamento do paciente (Aith et al, 2014, p.28).

Segundo Federhen et al (2014), as políticas públicas para doenças raras nos Estados Unidos e Europa tiveram início a partir da pressão da sociedade civil organizada, através de associações de pacientes e familiares que sofrem com a incidência de doenças raras.

Outros países que incluem ações voltadas para a atenção de portadores de doenças raras em seus sistemas de saúde são, por exemplo, a Austrália, com o *Orphan Drug Program* (TGA) de 1998, e a Colômbia, através da Lei 1392 de 2010 (Federhen et al, 2014).

Os problemas em desenvolver produtos para a saúde de portadores de doenças raras geralmente giram, no mundo como um todo, em torno da restrita quantidade de pacientes, o que afeta a realização de pesquisas clínicas, o embasamento científico sobre a importância clínica e de custo-efetividade da tecnologia, o respaldo científico das pesquisas, e o fator econômico, que se refere ao custo elevado no desenvolvimento de novos fármacos, sendo que estes possuem mercado extremamente restrito se comparados com as doenças prevalentes (AITH et al, 2014). Entretanto, é importante ressaltar que o desenvolvimento de medicamentos para doenças raras, mesmo com seu alto custo, implica na redução de outros

custos despendidos pelo sistema público de saúde, como a redução das internações em hospital e o uso ineficaz de outros tratamentos e medicamentos (Federhen et al, 2014).

No caso do Brasil, a discussão sobre o atendimento às doenças raras teve início nos anos 2000, quando foi criado um grupo de trabalho sobre genética clínica no SUS, que posteriormente originou a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. Federhen et al (2014) observa que a abordagem dada pela referida discussão era insuficiente para tratar da questão das doenças raras de forma devida pelo foco apenas nas doenças de origem genética. A evolução real no país, após a pressão exercida pela sociedade, foi a publicação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, já mencionada anteriormente. No que tange ao desenvolvimento de novas tecnologias para o atendimento das doenças raras, através da realização de pesquisas clínicas, o Brasil possui uma legislação desfavorável para que a indústria farmacêutica opte por desenvolver seus estudos no país.

A regulamentação atual exige que o patrocinador da pesquisa ofereça a melhor terapia disponível após o término do estudo, incluindo terapias às quais os pacientes deveriam ter acesso via sistema de saúde independentemente de estarem participando de um estudo clínico, tais como fisioterapia, terapia ocupacional, entre outras. As doenças raras, geralmente, afetam múltiplos órgãos e exigem uma série de exames periodicamente, os quais nem sempre estão disponíveis pelo sistema de saúde. (FEDERHEN et al., 2014, p. 20).

A crítica realizada por Federhen et al (2014), semelhante a críticas feitas à incorporação de medicamentos órfãos pelo SUS, é a falta de critérios que levem em conta as peculiaridades das doenças raras para que as pesquisas clínicas sejam realizadas e tenham resultados satisfatórios. Além disso, a burocracia enfrentada frente às autoridades sanitárias para a realização de pesquisas clínicas no país costuma ser impeditiva e desencorajadora quando o assunto é o desenvolvimento de novas tecnologias. O tempo de espera para a autorização de uma pesquisa clínica no Brasil chega a ser de um ano, enquanto que em outros países o prazo médio de espera é de três meses. O desenvolvimento de pesquisas clínicas não é relevante apenas para trazer novos medicamentos ao mercado, mas também para garantir aos portadores de doenças raras o acesso a drogas experimentais de maneira antecipada. É importante observar, não obstante, que mesmo não desenvolvendo medicamentos órfãos em território nacional, o Brasil já colaborou no desenvolvimento de alguns tratamentos para doenças raras realizados por laboratórios estrangeiros.

Quanto aos medicamentos órfãos, cabe à Anvisa, como órgão responsável pelo registro e monitoramento de medicamentos, o tratamento dado a estes produtos no Brasil. Mesmo havendo uma publicação que defina restritivamente os medicamentos órfãos, diferenciando-os dos demais, a agência nem por isso estabelece processos de registro e de determinação de preço diferenciados para os medicamentos órfãos – estes são avaliados da mesma forma que medicamentos para doenças de alta prevalência. Aith et al (2014) observa que a agência não possui a prerrogativa de conferir ao medicamento o status de órfão.

Aith et al (2014) observa ainda a possibilidade legal e com previsão de gastos no orçamento do Ministério da Saúde para que este possa adquirir medicamentos órfãos para o tratamento de doenças raras, processo iniciado em 2009 com a publicação da Portaria 2981 – posteriormente revogada pela Portaria 1554/2013 – que trata do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), substituindo a noção de dispensação de medicamentos excepcionais.

Segundo a própria norma, o CEAF pode ser definido como

[...] uma estratégia de acesso a medicamentos no âmbito do SUS, caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas publicados pelo Ministério da Saúde (Portaria 1554/2013).

O Ministério da Saúde definiu, ainda, que os medicamentos com alto impacto financeiro, com alto grau de complexidade para o tratamento ou que apresentem resistência aos cuidados dados nas primeiras linhas de atenção, devem ser financiados pela União e são divididos em dois grupos: o de medicamentos com compra centralizada pela União e, posteriormente, distribuídos aos estados e municípios; e o de medicamentos financiados pelo Ministério da Saúde através da distribuição de recursos para os demais entes federados para que possam ser adquiridos pelas Secretarias de Saúde. Importante ressaltar que, mesmo financiados pela União, é de responsabilidade dos estados e municípios a programação, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos. Os medicamentos pertencentes aos três grupos elencados pela portaria devem constar na RENAME e só serão dispensados para as doenças elencadas na Classificação Estatística Internacional de Problemas e Doenças Relacionados à Saúde (CID-10). A alteração na lista de medicamentos do CEAF cabe à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, com o auxílio da CONITEC, e as questões relacionadas ao seu financiamento devem ser debatidas no âmbito da Comissão de Intergestores Tripartite (CIT). Por fim, o art. 14 nos diz que

[...] a não disponibilização de medicamentos no âmbito deste Componente não garante a integralidade do tratamento e provoca desequilíbrio financeiro, devendo os gestores do SUS, em pactuação nas instâncias gestoras, promover ações que restabeleçam o acesso aos medicamentos estabelecidos nas linhas de cuidado definidas nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas publicados na versão final pelo Ministério da Saúde e o equilíbrio financeiro (Portaria 1554/2013).

A partir da análise de medicamentos listados no CEAF, Aith et al (2014) concluiu que cerca de 100 doenças raras serão atendidas pela norma. Entretanto, apenas cerca de 7% dos medicamentos listados são direcionados para o tratamento de tais enfermidades. A disponibilidade dos medicamentos órfãos no sistema de saúde também depende da incorporação em um PCDT, o que daria aos portadores de doenças raras seu acesso.

Simões, Lessa e Fagundes (2014) apontam os resultados da Consulta Pública 20/2014, publicada pela SCTIE visando à elaboração de uma portaria que priorize a elaboração de PCDTs para doenças raras, publicada posteriormente. Os dados fornecidos pela Secretaria apontam a existência, até então, de 35 PCDTs para doenças raras já publicadas. Entretanto, observa-se que apenas um deles (o protocolo para Doença de Gaucher) incorpora medicamento órfão. Os demais incorporam medicamentos direcionados para doenças prevalentes, cujo efeito apenas diminui os efeitos colaterais causados pelas doenças raras, sem afetar sua progressão. As autoras ainda ressaltam que

[...] os PCDTs apresentados como já disponíveis não trazem, no texto de descrição da doença, a classificação de doença rara e também não seguem o padrão de prevalência que está sendo utilizado na Política Nacional para Pessoas com Doenças Raras (Portaria 199), colocando obstáculos, em última instância, à sua garantia de assistência (SIMÕES, LESSA e FAGUNDES, 2014, p.46).

Os problemas relacionados à incorporação de medicamentos órfãos passam pelo critério de avaliação para a inclusão de tratamentos no SUS. O método conhecido como *Avaliação de Tecnologias de Saúde (ATS)* é considerado, pela maioria dos atores, como ineficaz na avaliação das referidas tecnologias. Para Simões, Lessa e Fagundes (2014) isso devido à falta de distinção entre a análise de medicamentos para doenças prevalentes e a de medicamentos órfãos, que possui características muito específicas, criando-se a partir daí um processo de avaliação ineficiente e prejudicial para a incorporação de medicamentos de alto custo.

A análise feita pelo método ATS pondera três questões: evidência, custo-efetividade e impacto orçamentário. Conforme nos diz Araujo (2014), a avaliação a partir do custo-efetividade requer uma análise comparativa com outras tecnologias já existentes para o

tratamento previsto pelos medicamentos sob análise. Pelo alto custo de seu desenvolvimento e por sua singularidade no mercado, a análise comparativa requerida pelo critério de custo-efetividade não é aplicável a medicamentos órfãos (SIMÕES, LESSA e FAGUNDES, 2014). Araujo (2014) conclui, portanto, que por seu alto custo, toda avaliação feita através do método ATS a medicamentos órfãos concluirá por uma relação de custo-efetividade alta demais para a incorporação em protocolos. Araujo ainda questiona:

Deslocar recursos para o tratamento de Doenças Raras significaria que haveria menos recursos para o tratamento de doenças mais comuns. Essa constatação levanta a questão do porquê incentivar o desenvolvimento de tais medicamentos se eles serão posteriormente julgados por um critério no qual estão fadados ao fracasso (ARAUJO, 2014, p. 26).

É necessário ressaltar, ainda, que o papel do poder público como instrumento de acesso a medicamentos órfãos é fundamental, considerando que estes são, na maioria das vezes, o único tratamento disponível para portadores de doenças raras e que seu alto valor torna inviável a aquisição privada sem qualquer auxílio governamental (ARAUJO, 2014).

Em diversos países os medicamentos órfãos são, de fato, diferenciados dos demais em diversos aspectos. Na Europa, a responsabilidade por essa categoria de medicamentos é o *Committee for Orphan Medicinal Products* (COMP), da *European Medicines Agency* (EMA), criada em 1999. Aith et al (2014) nos diz que são oferecidos incentivos para o desenvolvimento de tais produtos, a partir do pressuposto de que não é interessante para a indústria farmacêutica fazê-lo em condições normais de mercado. A partir de avaliação realizada pelo comitê, um medicamento adquire ou não o status de órfão.

A França, a título de exemplo em relação aos países europeus, possui atuação própria na questão de doenças raras, com o Plano Nacional para Doenças Raras, do Ministério da Saúde francês, que envolve a atuação de especialistas, associações e profissionais de saúde em 67 centros de atuação para o tratamento de 18 categorias de doenças raras (INTERFARMA, 2015).

O Japão apresenta uma abordagem singular na questão através do Programa Nacional de Doenças Raras e Intratáveis, de 1972. Segundo a Interfarma (2015), cerca de 60 grupos de pesquisa estudam 123 doenças raras no país. Os grupos, financiados pelo governo, devem divulgar em uma rede as informações encontradas, focadas em questões como prevalência das doenças, diagnóstico e tratamento.

Já nos Estados Unidos, o *Office of Orphan Products Development* (OOPD), ligado ao FDA, é responsável por lidar com tais medicamentos. A princípio, sua atuação se baseava em

fatores econômicos, de acordo com o que foi instituído pelo *Orphan Act* (1983). A partir de 2004 a OOPD passou a considerar fatores epidemiológicos (AITH et al, 2014).

[...] São três os fundamentos para esse critério: o medicamento deve ser mais efetivo que o medicamento disponível, mais seguro que o aprovado e, no caso de não haver medicamento órfão, este novo produto, apesar de não garantir efetividade ou segurança, deve contribuir significativamente para o tratamento do paciente (AITH et al, 2014, 28).

Segundo Federhen et al (2014), as políticas públicas para doenças raras nos Estados Unidos e Europa tiveram início a partir da pressão da sociedade civil organizada, através de associações de pacientes e familiares que sofrem com a incidência de doenças raras.

Outros países que incluem ações voltadas para a atenção de portadores de doenças raras em seus sistemas de saúde são, por exemplo, a Austrália, com o *Orphan Drug Program* (TGA) de 1998, e a Colômbia, através da Lei 1392 de 2010 (FEDERHEN et al, 2014).

Os problemas em desenvolver produtos para a saúde de portadores de doenças raras geralmente giram, no mundo como um todo, em torno da restrita quantidade de pacientes, o que afeta a realização de pesquisas clínicas, o embasamento científico sobre a importância clínica e de custo-efetividade da tecnologia, o respaldo científico das pesquisas, e o fator econômico, que se refere ao custo elevado no desenvolvimento de novos fármacos, sendo que estes possuem mercado extremamente restrito se comparados com as doenças prevalentes (AITH et al, 2014). Entretanto, é importante ressaltar que o desenvolvimento de medicamentos para doenças raras, mesmo com seu alto custo, implica na redução de outros custos despendidos pelo sistema público de saúde, como a redução das internações em hospital e o uso ineficaz de outros tratamentos e medicamentos (FEDERHEN et al, 2014).

No caso do Brasil, a discussão sobre o atendimento às doenças raras teve início nos anos 2000, quando foi criado um grupo de trabalho sobre genética clínica no SUS, que posteriormente originou a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. Federhen et al (2014) observa que a abordagem dada pela referida discussão era insuficiente para tratar da questão das doenças raras de forma devida pelo foco apenas nas doenças de origem genética. A evolução real no país, após a pressão exercida pela sociedade, foi a publicação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, já mencionada anteriormente. No que tange ao desenvolvimento de novas tecnologias para o atendimento das doenças raras, através da realização de pesquisas clínicas, o Brasil possui

uma legislação desfavorável para que a indústria farmacêutica opte por desenvolver seus estudos no país.

A regulamentação atual exige que o patrocinador da pesquisa ofereça a melhor terapia disponível após o término do estudo, incluindo terapias às quais os pacientes deveriam ter acesso via sistema de saúde independentemente de estarem participando de um estudo clínico, tais como fisioterapia, terapia ocupacional, entre outras. As doenças raras, geralmente, afetam múltiplos órgãos e exigem uma série de exames periodicamente, os quais nem sempre estão disponíveis pelo sistema de saúde. (FEDERHEN et al., 2014, p. 20).

A crítica realizada por Federhen et al (2014), semelhante a críticas feitas à incorporação de medicamentos órfãos pelo SUS, é a falta de critérios que levem em conta as peculiaridades das doenças raras para que as pesquisas clínicas sejam realizadas e tenham resultados satisfatórios. Além disso, a burocracia enfrentada frente às autoridades sanitárias para a realização de pesquisas clínicas no país costuma ser impeditiva e desencorajadora quando o assunto é o desenvolvimento de novas tecnologias. O tempo de espera para a autorização de uma pesquisa clínica no Brasil chega a ser de um ano, enquanto que em outros países o prazo médio de espera é de três meses. O desenvolvimento de pesquisas clínicas não é relevante apenas para trazer novos medicamentos ao mercado, mas também para garantir aos portadores de doenças raras o acesso a drogas experimentais de maneira antecipada. É importante observar, não obstante, que mesmo não desenvolvendo medicamentos órfãos em território nacional, o Brasil já colaborou no desenvolvimento de alguns tratamentos para doenças raras realizados por laboratórios estrangeiros.

Quanto aos medicamentos órfãos, cabe à Anvisa, como órgão responsável pelo registro e monitoramento de medicamentos, o tratamento dado a estes produtos no Brasil. Mesmo havendo uma publicação que defina restritivamente os medicamentos órfãos, diferenciando-os dos demais, a agência nem por isso estabelece processos de registro e de determinação de preço diferenciados para os medicamentos órfãos – estes são avaliados da mesma forma que medicamentos para doenças de alta prevalência. Aith et al (2014) observa que a agência não possui a prerrogativa de conferir ao medicamento o status de órfão.

Aith et al (2014) observa ainda a possibilidade legal e com previsão de gastos no orçamento do Ministério da Saúde para que este possa adquirir medicamentos órfãos para o tratamento de doenças raras, processo iniciado em 2009 com a publicação da Portaria 2981 – posteriormente revogada pela Portaria 1554/2013 – que trata do Componente Especializado

da Assistência Farmacêutica (CEAF), substituindo a noção de dispensação de medicamentos excepcionais.

Segundo a própria norma, o CEAF pode ser definido como

[...] uma estratégia de acesso a medicamentos no âmbito do SUS, caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas publicados pelo Ministério da Saúde (Portaria 1554/2013).

O Ministério da Saúde definiu, ainda, que os medicamentos com alto impacto financeiro, com alto grau de complexidade para o tratamento ou que apresentem resistência aos cuidados dados nas primeiras linhas de atenção, devem ser financiados pela União e são divididos em dois grupos: o de medicamentos com compra centralizada pela União e, posteriormente, distribuídos aos estados e municípios; e o de medicamentos financiados pelo Ministério da Saúde através da distribuição de recursos para os demais entes federados para que possam ser adquiridos pelas Secretarias de Saúde. Importante ressaltar que, mesmo financiados pela União, é de responsabilidade dos estados e municípios a programação, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos. Os medicamentos pertencentes aos três grupos elencados pela portaria devem constar na RENAME e só serão dispensados para as doenças elencadas na Classificação Estatística Internacional de Problemas e Doenças Relacionados à Saúde (CID-10). A alteração na lista de medicamentos do CEAF cabe à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, com o auxílio da CONITEC, e as questões relacionadas ao seu financiamento devem ser debatidas no âmbito da Comissão de Intergestores Tripartite (CIT). Por fim, o art. 14 nos diz que

[...]. a não disponibilização de medicamentos no âmbito deste Componente não garante a integralidade do tratamento e provoca desequilíbrio financeiro, devendo os gestores do SUS, em pactuação nas instâncias gestoras, promover ações que restabeleçam o acesso aos medicamentos estabelecidos nas linhas de cuidado definidas nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas publicados na versão final pelo Ministério da Saúde e o equilíbrio financeiro (Portaria 1554/2013).

A partir da análise de medicamentos listados no CEAF, Aith et al (2014) concluiu que cerca de 100 doenças raras serão atendidas pela norma. Entretanto, apenas cerca de 7% dos medicamentos listados são direcionados para o tratamento de tais enfermidades. A disponibilidade dos medicamentos órfãos no sistema de saúde também depende da incorporação em um PCDT, o que daria aos portadores de doenças raras seu acesso.

Simões, Lessa e Fagundes (2014) apontam os resultados da Consulta Pública 20/2014, publicada pela SCTIE visando à elaboração de uma portaria que priorize a elaboração de PCDTs para doenças raras, publicada posteriormente. Os dados fornecidos pela Secretaria apontam a existência, até então, de 35 PCDTs para doenças raras já publicadas. Entretanto, observa-se que apenas um deles (o protocolo para Doença de Gaucher) incorpora medicamento órfão. Os demais incorporam medicamentos direcionados para doenças prevalentes, cujo efeito apenas diminui os efeitos colaterais causados pelas doenças raras, sem afetar sua progressão. As autoras ainda ressaltam que

[...] os PCDTs apresentados como já disponíveis não trazem, no texto de descrição da doença, a classificação de doença rara e também não seguem o padrão de prevalência que está sendo utilizado na Política Nacional para Pessoas com Doenças Raras (Portaria 199), colocando obstáculos, em última instância, à sua garantia de assistência (SIMÕES, LESSA e FAGUNDES, 2014, p.46).

Os problemas relacionados à incorporação de medicamentos órfãos passam pelo critério de avaliação para a inclusão de tratamentos no SUS. O método conhecido como *Avaliação de Tecnologias de Saúde* (ATS) é considerado, pela maioria dos atores, como ineficaz na avaliação das referidas tecnologias. Para Simões, Lessa e Fagundes (2014) isso devido à falta de distinção entre a análise de medicamentos para doenças prevalentes e a de medicamentos órfãos, que possui características muito específicas, criando-se a partir daí um processo de avaliação ineficiente e prejudicial para a incorporação de medicamentos de alto custo.

A análise feita pelo método ATS pondera três questões: evidência, custo-efetividade e impacto orçamentário. Conforme nos diz Araujo (2014), a avaliação a partir do custo-efetividade requer uma análise comparativa com outras tecnologias já existentes para o tratamento previsto pelos medicamentos sob análise. Pelo alto custo de seu desenvolvimento e por sua singularidade no mercado, a análise comparativa requerida pelo critério de custo-efetividade não é aplicável a medicamentos órfãos (SIMÕES, LESSA e FAGUNDES, 2014). Araujo (2014) conclui, portanto, que por seu alto custo, toda avaliação feitas através do método ATS a medicamentos órfãos concluirá por uma relação de custo-efetividade alta demais para a incorporação em protocolos. Araujo ainda questiona:

Deslocar recursos para o tratamento de Doenças Raras significaria que haveria menos recursos para o tratamento de doenças mais comuns. Essa constatação levanta a questão do porquê incentivar o desenvolvimento de tais medicamentos se eles

serão posteriormente julgados por um critério no qual estão fadados ao fracasso (ARAUJO, 2014, p. 26).

É necessário ressaltar, ainda, que o papel do poder público como instrumento de acesso a medicamentos órfãos é fundamental, considerando que estes são, na maioria das vezes, o único tratamento disponível para portadores de doenças raras e que seu alto valor torna inviável a aquisição privada sem qualquer auxílio governamental (ARAUJO, 2014).

Em um cenário que se mostra desfavorável para a incorporação pelo poder público de medicamentos de alto custo, com práticas regulatórias ineficientes, como o estabelecimento de preço máximo para vendas para o governo e comercialização no país, e com a ausência de critérios e processos que diferenciam as drogas órfãs das que tratam de doenças de alta prevalência, a indústria farmacêutica que desenvolve esse tipo de medicamento opta por não registrá-los no país, deixando aos pacientes como única opção a judicialização para obter acesso ao tratamento existente.

O impacto orçamentário da judicialização de medicamentos órfãos é ainda maior, considerando, principalmente, aqueles que não possuem registro no país e, logo, sem preço máximo a ser praticado em território nacional. Nestes casos, o governo federal perde, frente à empresa, o poder de barganha e deve pagar valores estabelecidos unilateralmente, deslocando volumosos recursos de outros programas de saúde que atingiriam diversas pessoas. Segundo reportagem da Carta Capital, o medicamento adquirido por via judicial que mais onerou o orçamento do Ministério da Saúde foi o *Soliris*, único remédio produzido pela farmacêutica norte-americana *Alexion*, voltado ao tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), doença sanguínea ultrarrara. O *Soliris* custa cerca de dois milhões de reais por paciente ao ano (cerca de 400 mil dólares) e, nos últimos cinco anos, arrecadou no Brasil através da judicialização cerca de 55 milhões de reais.

No início de 2015, países integrantes do MERCOSUL estabeleceram a compra conjunta de medicamentos de alto custo, com intuito de aumentar o poder de barganha dos países frente à indústria farmacêutica. Mesmo visando à aquisição de medicamentos órfãos, melhorando a capacidade de planejamento de gastos para a aquisição de tais tratamentos, a medida não altera a situação dos medicamentos que continuam sem registro no país e, conseqüentemente, não há redução no processo de sua judicialização.

Num cenário de impasse em que o Judiciário determina e o Executivo é obrigado a executar, o poder Legislativo tem se atentado para a questão, principalmente frente aos problemas orçamentários enfrentados pelo setor de saúde, causados não só pelas demandas

judiciais, mas por mudanças aprovadas pelo Orçamento Impositivo, ao fim de 2014, e pelos cortes ocasionados pela crise econômica de 2015. Além disso, a mobilização das associações de pacientes pelo acesso a medicamentos, e da indústria farmacêutica visando a um ambiente regulatório mais favorável, levou os parlamentares a proporem debates e proposições sobre doenças raras e sobre o acesso de seus portadores aos tratamentos disponíveis mundialmente. As discussões, no entanto, avançam lentamente, adiando possíveis avanços na legislação que garantam aos portadores de doenças raras o direito constitucional à saúde.

4. PODER LEGISLATIVO E DOENÇAS RARAS

Em um contexto de alta judicialização dos medicamentos para tratamentos de doenças raras, mais especificamente de medicamentos órfãos, a atuação do Poder Legislativo pode ser decisiva para mediar as divergências enfrentadas pelo Executivo e pelo Judiciário. A capacidade de realizar eventos, especialmente audiências públicas, que trazem ao debate atores diversos com diferentes perspectivas, dá ao Legislativo o caráter de mediar as discussões e, a partir daí, elaborar leis que diminuam as interferências da justiça em políticas públicas programadas pelo governo.

Além disso, a abertura oferecida pelos parlamentares à sociedade civil para a participação na elaboração de novas normas é notadamente maior do que aquela oferecida pelo Poder Executivo, o que aproxima atores como a associação de pacientes, os profissionais de saúde e a indústria da possibilidade de mudar o cenário existente no Brasil de acordo com seus interesses. Essa participação colabora para a ampliação do debate e das formas de como o tema pode ser abordado.

A discussão sobre doenças raras e o acesso a medicamentos órfãos ganhou força no Congresso Nacional em 2011. Serão analisados dois projetos de lei, bem como as audiências públicas referentes a eles, que são: o Projeto de Lei 1606/2011, de autoria do deputado Marçal Filho, e o Projeto de Lei do Senado 530/2013, de autoria do senador Vital do Rêgo. Ambos propõem mudanças importantes no tratamento de doenças raras no país e na forma que os medicamentos órfãos são avaliados. Também foram realizados na Câmara dos Deputados eventos que comemoram o Dia Nacional de Doenças Raras, que não serão analisados pela falta de informação disponível.

4.1 PROJETO DE LEI 1606 DE 2011

O Projeto de Lei 1606, de 15 de junho de 2011, foi apresentado pelo deputado Marçal Filho (PMDB/MS) e “dispõe sobre a dispensação de medicamentos para doenças raras e graves, que não constam em listas de medicamentos excepcionais padronizadas pelo Sistema Único de Saúde - SUS.”. Foi apensado a ele o Projeto de Lei 2669, de 09 de novembro de 2011, de autoria do deputado Jean Wyllys (PSOL/RJ). Os projetos foram despachados para as Comissões de Seguridade Social e Família (CSSF), Finanças e Tributação (CFT) e Constituição e Justiça e de Cidadania (CCJC). O PL tramita, atualmente, na forma do

substitutivo aprovado pela CSSF, que atualizou a ementa proposta para “Institui a Política Nacional para Doenças Raras no Sistema Único de Saúde, o SUS.”. O substitutivo tramita de forma conclusiva e em regime ordinário.

O projeto apresentado pelo deputado Marçal Filho foca em uma única questão: a distribuição de medicamentos voltados para o tratamento de doenças raras pelo poder público, independente se este consta no rol de medicamentos essenciais ou em PCDTs. O critério para a dispensa de tais medicamentos é, apenas, o laudo médico que indica o diagnóstico da doença rara e o tratamento a ser seguido. Caberia ao Ministério da Saúde estabelecer procedimentos a serem adotados para o fornecimento do medicamento, indicando apenas que, na ausência do medicamento em estoque, é permitida a dispensa de licitação para a compra.

O deputado justifica a apresentação do projeto argumentando que o Sistema Único de Saúde não possui preparo para tratar de doenças raras ou graves, já que muitas dessas doenças não possuem PCDTs. A falta de tratamentos adequados para estas doenças é, segundo Filho, uma violação do direito integral à saúde garantido pela Constituição Federal de 1988.

Marçal Filho é advogado e radialista, exerceu cargo de deputado federal durante quatro mandatos pelo PMDB do Mato Grosso do Sul. Além da apresentação do PL 1606/2011, também é autor do PL 596/2011 que versa sobre o tratamento pelo SUS de esclerose múltipla, uma doença rara que afeta o sistema nervoso,. Em discurso proferido em fevereiro de 2013, o deputado criticou a falta de pesquisa para doenças raras no Brasil, bem como a baixa produtividade do país na produção de medicamentos. Filho defendeu, ainda, a judicialização como meio legal para acesso a medicamentos para o tratamento de doenças raras, justificando que esta é, muitas vezes, a única alternativa para o acesso dos pacientes a tratamentos existentes.

Apensado ao PL 1606/2011, está o PL 2669/2011. O Projeto de Lei apresentado pelo deputado Jean Wyllys estabelece que o tratamento de pessoas com doenças raras seja realizado pelo SUS. O projeto também estabelece: critério de identificação de uma doença rara no país (incidência de 65 casos em uma população de 100mil) e; a classificação do portador de doença rara como deficiente, para efeitos legais.

O objetivo principal do PL é estabelecer diretrizes para o tratamento de doenças raras dentro do SUS, o que não existia até sua apresentação. Destacam-se: o fornecimento de medicamentos órfãos e de suprimentos e alimentos específicos para o tratamento de doenças raras; o diagnóstico, tratamento e mapeamento das doenças raras e; a avaliação e o

acompanhamento dos medicamentos administrados aos pacientes, inclusive de medicamentos órfãos.

A proposta altera, ainda, a Lei Orgânica da Saúde (8080/1990), incluindo no campo de atuação do SUS a assistência médica, farmacêutica e de reabilitação dos portadores de doenças raras, o fornecimento de dispositivos médicos especializados e a adequação do atendimento em domicílio dos pacientes. Também inclui formalmente à Lei a definição de doenças raras no país, como mencionado anteriormente.

Dentro da justificativa do projeto apresentado, o deputado Wyllys coloca a estimativa de que cerca de 13 milhões de pessoas no Brasil são afetadas por doenças raras, sendo inexistente uma política de Estado voltada para a questão, levando à exclusão dos portadores, além da realização de procedimentos e tratamentos desnecessários devidos à falta de diagnóstico correto e da ausência de processos próprios e adequados para lidar com as diversas doenças que podem ser classificadas como raras. Isso ocorre pela falta de conhecimento por parte da comunidade médica quanto à própria existência das doenças e pela inexistência de protocolos de atendimentos voltados a elas. Muitas doenças raras levam seus portadores a óbito, ou causam graves deficiências que prejudicam sua qualidade de vida e impossibilitam que estes aproveitem as oportunidades postas em suas trajetórias, não sendo possível a e essas pessoas, portanto, atingir todo seu potencial.

O deputado ainda expõe a necessidade de inclusão cotidiana dos pacientes, sem que estes sejam vistos como fatores de oneração para o Estado e para a sociedade como um todo, mas como parte integrante dela. Segundo ele, a qualificação, o diagnóstico e o tratamento adequado para portadores de doenças raras não beneficiam apenas pacientes e suas famílias, mas a sociedade como um todo, trazendo economia ao poder público ao proporcionar atendimento de qualidade e apropriado, sem serem desperdiçados recursos em procedimentos sem utilidade. Além disso, é uma forma do Estado garantir o direito à saúde e à dignidade humana para essa parcela da população.

Jean Wyllys é jornalista, professor universitário, escritor e comunicador, eleito deputado federal duas vezes pelo estado do Rio de Janeiro. Atuante na pauta das minorias políticas, especialmente na defesa da comunidade LGBT, Wyllys tem forte atuação em prol dos portadores de doenças raras.

4.1.1 SUBSTITUTIVO AO PL 1606/2011

O deputado Darcísio Perondi (PMDB/RS) foi designado relator da matéria em agosto de 2011. Apresentou o primeiro parecer na forma de substitutivo somente em março de 2013 e um segundo substitutivo em junho do mesmo ano. Darcísio Perondi é médico pediatra e está em seu sexto mandato como deputado federal. Participou de diversos eventos sobre doenças raras, sendo um ator ativo e influente na pauta da saúde.

No relatório apresentado, Perondi destaca a importância de debater o tema partindo-se do fato de que doenças raras afetam cerca de 13 milhões de brasileiros, sendo indispensável o mapeamento das doenças (quais são e onde se propagam) para elaborar estratégias de atuação. O maior desafio é, evidentemente, o diagnóstico das doenças, já que grande parcela dos profissionais de saúde não está capacitada para lidar com tais enfermidades. Quando o diagnóstico é possível, apresenta-se outra dificuldade: o acesso aos medicamentos disponíveis no mercado. Muitos dos medicamentos para o tratamento de doenças raras não estão incorporados ao SUS e possuem custo extremamente elevado, levando à judicialização dos mesmos. O deputado conclui que o SUS não está estruturalmente preparado para tratar de doenças pouco conhecidas e que possuem alto impacto na saúde da população.

Perondi acredita não ser necessário o enquadramento de portadores de doenças raras como portadores de deficiências. Segundo ele, muitos dos pacientes já se enquadrariam como portadores de deficiência, não sendo necessário categorizá-los como tal desde o princípio.

O deputado destaca a amplitude do substitutivo apresentado através do estabelecimento de uma Política Nacional para Doenças Raras no sistema público, com a estruturação de centros especializados e o aprofundamento no diagnóstico, baseando-se em princípios do SUS. Além disso, coloca como ponto central as medidas de acesso a medicamentos órfãos.

Tratando do substitutivo em si, é importante ressaltar que Perondi mantém a definição proposta por Wyllys: a ocorrência da doenças raras a partir do critério de 65 casos em um universo de 100 mil. Propõe o acesso a tratamentos disponíveis no mercado, defendendo ações diferenciadas para o registro e a incorporação de medicamentos órfãos no SUS. Estabelece também que a política deve ser implementada com a participação da União e dos estados e municípios, com a criação da Rede Integrada de Cuidados ao Paciente com Doença Rara. Entre as diretrizes da referida Rede, podem ser destacadas: a promoção da equidade, da aceitação dos pacientes na população, a garantia de acesso a tratamentos de forma integral e multissetorial, a realização de ações educativas e a promoção de pesquisa clínica e inovação

tecnológica. Nos objetivos, possuem maior relevância: a promoção de ações que visam à prevenção e à identificação precoce de doenças raras, a elaboração de estratégias que envolvam a sociedade civil e organizações governamentais; a disseminação sobre direitos, cuidados e medidas de prevenção aos pacientes; medidas que qualifiquem e facilitem a incorporação de tratamentos pelo SUS; a capacitação dos profissionais de saúde e; a elaboração de indicadores para monitoramento e avaliação da política. O atendimento a doenças raras se dará no âmbito da atenção básica e da atenção especializada. A primeira atenderá pacientes e familiares que são afetados por doenças raras que não possuem origem genética. A segunda prevê atendimento multidisciplinar, sendo composta por Unidades de Atenção Especializada e Reabilitação e por Centros de Referência.

Quanto às responsabilidades de cada ente federativo, serão de incumbência dos municípios, principalmente, as atividades de monitoramento e avaliação da Rede de Cuidados à Pessoa com Doença Rara em nível local. Aos estados cabe o apoio à implementação e o financiamento dos pontos de referência em nível municipal. Por fim, cabe à União apoiar todas as atividades a serem desenvolvidas pela Rede, como o financiamento e o monitoramento.

Fator central da proposta de Perondi é, certamente, o acesso a medicamentos órfãos por portadores de doenças raras. Os tratamentos com tais medicamentos devem ser recomendados pelos Centros de Referência de cada estado, com a terapia revista a cada seis meses, e o paciente registrado em uma base de dados para o monitoramento do uso. Para isso, o deputado propõe meios que facilitam a incorporação dos referidos fármacos no SUS. Inicialmente, os medicamentos órfãos terão análise prioritária pela Anvisa para a concessão de registro, que deverá atribuir à droga o status de órfão quando o tratamento desta for direcionado a doenças raras. Será estabelecido ainda o prazo de quarenta e cinco dias para o registro, cuja análise poderá ser realizada concomitantemente com o processo de estabelecimento de preços pela CMED.

Sobre a incorporação propriamente dita, Perondi propõe mudanças relevantes para a tomada de decisões, colocadas pelo art. 28 do substitutivo.

Art. 28 A incorporação do medicamento órfão deve ser considerada sob o aspecto da relevância clínica e não sob o aspecto da relação custo-efetividade.

§1º No que se refere aos critérios de segurança, eficácia e efetividade dos medicamentos órfãos analisados pela CONITEC, estes devem ser ponderados de acordo com as especificidades das doenças raras.

§2º No que se refere à análise mencionada no parágrafo anterior, ela será feita posteriormente ao fornecimento do medicamento, através de um sistema nacional de acompanhamento e monitoramento de todos os pacientes que receberem medicamentos órfãos em território nacional.

Para a inclusão de medicamentos órfãos em PCDTs, há a determinação de alguns critérios como: (a) o registro na Anvisa e a atribuição do status de “órfão” pela agência; (b) evidências científicas que a doença a ser tratada prejudica a qualidade de vida do paciente de forma considerável; (c) que o medicamento pode trazer melhoras na qualidade de vida do paciente e; (d) a doença a ser tratada pode ser, minimamente, diagnosticada. A elaboração ou revisão do PCDT de determinada doença deve ser realizada uma vez que o medicamento for incorporado e a revisão de preços deve ser realizada anualmente. O deputado propõe, ainda, que a decisão sobre a incorporação de medicamentos caiba à Secretaria de Atenção à Saúde (SAS) com o auxílio da CONITEC.

A Comissão de Seguridade Social e Família votou pela aprovação do substitutivo apresentado por Perondi, com voto contrário do deputado Assis Carvalho (PT/PI) em 02 de abril de 2014, seguindo para a Comissão de Finanças e Tributação, última movimentação até julho de 2015.

4.1.2 AUDIÊNCIA PÚBLICA

O deputado Alexandre Roso (PSB/RS) apresentou, em março de 2013, um requerimento para a realização de audiência pública para tratar de políticas governamentais para doenças raras. Entretanto, é importante ressaltar que mesmo com a apresentação do requerimento anterior à apresentação do relatório, a audiência foi realizada posteriormente e, considerando que o substitutivo não sofreu alterações após a sua apresentação, não foram agregadas contribuições feitas na audiência pública.

O deputado justifica no requerimento apresentado (REQ CSSF 315/2013) a necessidade de se retomar a discussão sobre doenças raras na Câmara dos Deputados, iniciada em 2011, quando foi proposta uma audiência pública e esta não ocorreu. Roso critica a falta de uma definição da classificação de doenças como raras, que deveria ser estabelecida pelo

Estado brasileiro, sendo utilizada, até então, a definição internacional de 1 (um) caso para 2000 habitantes. Seria necessário debater questões como a falta de diagnóstico preciso para doenças raras, o acesso por parte dos pacientes e suas famílias quanto aos melhores tratamentos disponíveis e maneiras para melhorar sua qualidade de vida.

Ocorrida em setembro de 2013, a audiência pública contou com quatro convidados. Jorge Borges, representante do Conselho Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência (CONADE), destacou a importância de se estender o debate sobre pessoas com deficiência para o campo das doenças raras, em que há pouco conhecimento por parte de deficientes. Grande parte das deficiências são, atualmente, causadas por doenças raras incapacitantes.

Ponto inicial no debate é a Convenção da ONU, ratificada em Nova Iorque em 2007, sendo sua principal contribuição a definição de deficiência como sendo as barreiras impostas pela sociedade à pessoa com deficiência. A mudança é relevante, pois adequa a avaliação do paciente à CID-10, mesmo que esta seja inadequada para embasar políticas públicas. Borges ressalta, então, a relação entre a CID e a Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde (CIF), modelo capaz de avaliar individualmente as capacidades sociais de cada pessoa e, conseqüentemente, capaz de oferecer informações detalhadas para a elaboração de políticas públicas. Para Borges, o debate sobre deficiência e doenças raras deve se referir aos seus portadores, através de uma análise transversal, extrapolando o setor de saúde.

O desafio atual para os conselhos de pessoas com deficiência é, atualmente, garantir integralmente os direitos dos portadores de deficiência. No que tange às doenças raras, mesmo sendo de conhecimento a grande relação entre estas e as deficiências da população, há pouca apropriação das pessoas com deficiência e seus familiares sobre a discussão. O CONADE tem atuado nesse sentido para influenciar as atividades do Congresso Nacional com a emissão de pareceres para os projetos de lei que estão tramitando. O parecer é enviado aos conselhos regionais que, em seguida, encaminham o texto para os deputados de base para influenciar no processo.

Rogério Lima, outro convidado da audiência, é Diretor-Presidente da Associação Maria Vitória (AMAVI), associação de pacientes com neurofibromatose. Para Lima, a discussão sobre doenças raras é recente, iniciada no Congresso Nacional em 2011. Isso não significa, no entanto, que o assunto é novo; só foi obtida uma nova perspectiva, sendo adotada uma forma mais generalista de se encarar o tema das doenças raras. O perfil dos portadores de doenças raras e seus familiares ainda é desconhecido e cabe às associações preencher a lacuna

da identificação dos pacientes e suas famílias. Nesse processo todo, o Ministério da Saúde ainda é um agente omissor.

Lima colocou que o fator que une as doenças raras, dentro de sua diversidade, em uma única classificação é, primeiramente, a falta de informação referente ao diagnóstico e à doença em si. Há também a falta de tratamento, inexistente na maioria dos casos. O que se observa é a tentativa de melhorar a qualidade de vida dos portadores de doenças raras e, por fim, a necessidade de transversalidade para tratar dessas enfermidades. É necessária a atuação integrada de diversos órgãos e de diferentes setores para discutir a situação das doenças raras. O diretor observou ainda que a oferta de tratamento para doenças raras não é uniforme no país, geralmente com concentração nas regiões Sudeste e Sul. As demais regiões carecem de informação, já pouco difundida, de como tratar seus familiares acometidos por doenças graves.

Há a necessidade da articulação entre governo, mercado, academia e associações de pacientes, sendo o diálogo contínuo e aberto entre tais atores excepcional, sempre focado no bem-estar dos pacientes, independente de interesses específicos. As associações se diferem dos demais atores por seu poder de mobilização social, que é o instrumento central para observar a transformação da sociedade.

Para ele, é essencial uma mudança estrutural sobre como a sociedade vê o SUS. Atualmente, não há confiança por parte dos pacientes nos profissionais do SUS, levando-os, muitas vezes, ao atendimento particular e onerando suas despesas pessoais. O trajeto, a partir do diagnóstico pelo SUS, não é claro e leva à perda de tempo do paciente e sua família. Há, também, desconhecimento por parte da população sobre as políticas direcionadas às doenças raras. A AMAVI ainda reivindica a melhoria no diagnóstico, o tratamento multidisciplinar, o fortalecimento social com a promoção e a integração das associações de pacientes e, por fim, a geração de informação.

Marcelo Neves, professor de Direito Público da Universidade de Brasília, ressaltou que o problema de inclusão social também representa um problema de inclusão jurídica. O tipo de exclusão que atinge os portadores de doenças raras se baseia na falta de reconhecimento, o que leva a problemas de acesso ao direito à saúde.

Neves aponta, então, as formas de abordar o acesso à saúde. A primeira abordagem trata o direito à saúde como um direito individualista. A segunda abordagem, com interpretação dominante no direito, refere-se ao direito à saúde como um direito social, que deve ser tratado de forma ampla, sem individualização. Em relação às doenças raras,

observou-se o aumento da judicialização, sendo considerado o Judiciário a resposta para solucionar os problemas encontrados, sem levar em conta as políticas públicas vigentes, inserindo-se a partir daí o direito à saúde no modelo individualista. Neves considera este caminho como desastroso, inclusive do ponto de vista econômico, com gastos extensos com parte da população de alta renda, o que, muitas vezes, acaba por esgotar os recursos orçamentários dos municípios. Mesmo considerando compreensível a ação judicial que beneficia o pedido individual de acesso à saúde, acredita que há consequências para a execução de políticas que promovem a equidade e que são mais abrangentes para a promoção da saúde.

Neves defendeu o direito à saúde, que pode ser interpretado individualmente, com um background de base social, deixando o Judiciário em segundo plano. O que pode expandir o acesso à saúde é a interação entre Legislativo e Executivo na formulação e implementação de políticas públicas. Atualmente, há um bloqueio de ações entre os dois poderes. Entretanto, não se devem isolar as ações em projetos de lei. É necessário o diálogo entre instituições, já que muitas vezes a aprovação de um projeto de lei representa legislação simbólica, sendo que esta pode não encontrar condições práticas para sua execução. Sendo assim, a criação da legislação é insuficiente para mudar a realidade. Neste contexto, também é relevante a participação da sociedade civil organizada, com articulação em rede para oferecer direcionados para as políticas públicas.

No contexto de doenças raras, Neves acredita que a dificuldade de se implementar políticas públicas adequadas está na delimitação do tema, sendo fundamental a elaboração de projetos que contemplem, através da construção de unidades especializadas e com capacitação profissional que possibilite a inclusão dos portadores de doenças raras, ações de diagnóstico e de tratamento, mesmo que este não leve à cura. Também defende o acesso a medicamentos pelo SUS, através da incorporação ou da redução dos preços de medicamentos comprados por renda particular, para que o acesso seja facilitado. O foco das ações deve ser sempre o indivíduo em sua integralidade, visando a sua inclusão social.

Em seguida, palestrou o Dr. Mário Saporta, pesquisador do Laboratório Nacional de Células-tronco Embrionárias da Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ), especialista em uma doença rara denominada *Charcot-Marie-Tooth*. Inicialmente, o pesquisador coloca que há desafios relacionados às doenças raras no mundo todo, mas o Brasil apresenta peculiaridades neste sentido. Para ele, as políticas de saúde atuais são generalistas e continuam a seguir tal tendência em vez de se buscar a especialização.

Em concordância com falas anteriores, Saporta reforçou a afirmação de que não há muitos tratamentos disponíveis para os portadores de doenças raras. A atuação do poder público quanto à questão é insuficiente pela falta de investimentos, o que também ocorre no setor privado. Destaca-se, portanto, a atuação das associações de pacientes que incentivam ações sociais que buscam promover a educação e pesquisa sobre as doenças. Tais ações são consideradas pelo pesquisador como a grande fonte de sucesso para conquistar políticas de atenção para doenças raras, como já foi observado na Europa e Estados Unidos. A coletividade dos pacientes, que representa um grande número de doenças raras, dá volume ao movimento por tratamentos, já que políticas individuais para cada doença são impossíveis de ser implementadas por questões econômicas.

Ainda centrado na questão da dispersão de doenças, relatou as dificuldades enfrentadas para a realização de pesquisas clínicas para desenvolvimento de tratamentos para doenças raras. Para viabilizar este tipo de atividade, seria necessário criar um sistema em rede que englobe centros especializados capazes de captar pacientes isoladamente para a participação em ensaios clínicos. Também é necessária a educação médica, através da capacitação em centros de excelência para a formação de especialistas em doenças raras, combinando-se a isso a realização de pesquisas. É fundamental o treinamento de médicos generalistas que sejam capazes de encaminhar os pacientes para centros de referência onde irão receber o diagnóstico, o tratamento e o acompanhamento adequados.

Saporta apresentou, então, um modelo que se baseia em dois tripés. O primeiro é composto por apoio, assistência e pesquisa, elementos que possuem a competência de criar e difundir informação sobre doenças raras. Além do acesso à informação, é importante que os pacientes e familiares que são atingidos por doenças raras tenham conhecimento do que está sendo feito em termos de pesquisa e políticas públicas. O segundo tripé é formado por pacientes, governo e pesquisadores/médicos, que devem trabalhar para que as pesquisas sejam viabilizadas, seja pelo financiamento adequado ou pela redução da burocracia que atrapalha o desenvolvimento de estudos científicos no país. Concluiu, por fim, que os pacientes que sofrem com doenças raras necessitam que haja um avanço nas pesquisas feitas no país, bem como do atendimento especializado, com a participação do governo, das associações, da academia e das famílias que são atingidas por doenças raras.

Em intervenção, a deputada Mara Gabrilli (PSDB/SP) colocou o problema de importação de equipamentos e materiais para a realização de pesquisas no país, que muitas vezes, pela burocracia governamental, não ocorre em tempo hábil suficiente para o avanço

dos estudos programados, representando um problema maior que a falta de financiamento. Outra demanda dos portadores de doenças raras e suas famílias, exposta por Gabrielli, é o auxílio que o governo deve fornecer para que estas possuam um cuidador, para dar autonomia ao paciente e possibilitar que membros da família percam a oportunidade de trabalhar e gerar renda para cuidar do membro doente. A deputada criticou, por fim, a ausência do Ministério da Saúde nos debates sobre doenças raras e a pouca receptividade do Ministro – na época o doutor Arthur Chioro – para atender as reivindicações dos parlamentares, associações, pacientes e familiares. Em seguida, o deputado Marcus Pestana apontou as questões cotidianas que geralmente são levantadas pelos gestores de saúde pública, como o alto gasto despendido no tratamento de doenças raras, tornando-se até mesmo insustentável, uma vez que o gasto *per capita* do SUS é de 800 reais. Pestana reforçou a necessidade de se fortalecer uma rede de assistência, com a criação de centros especializados multidisciplinares direcionados para doenças raras. Para finalizar, criticou a falta de informação disponível sobre doenças raras no Brasil.

4.2 PROJETO DE LEI DO SENADO 530/2013

O Projeto de Lei do Senado 530, de 16 de dezembro de 2013, foi apresentado pelo senador Vital do Rêgo (PMDB/PB) e “institui a Política Nacional para Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde; altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, para dispor sobre registro e importação, por pessoa física, de medicamentos órfãos; e altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critério diferenciado para avaliação de medicamentos órfãos”. O projeto foi despachado para as Comissões de Assuntos Econômicos (CAE), na qual recebeu parecer favorável do deputado Eduardo Suplicy (PT/SP), e de Assuntos Sociais (CAS), na qual a senadora Ana Amélia (PP/RS) apresentou parecer na forma de substitutivo. O substitutivo já foi aprovado no Senado Federal e tramita na Câmara dos Deputados como PL 2657/2015.

A matéria apresentada por Vital do Rêgo é abrangente e cria diversas definições importantes para uma política pública direcionada a doenças raras. Assim como os projetos já citados, o PLS também define como doença rara aquela que possui incidência de 65 casos a cada 100 mil habitantes. O senador vai além ao trazer a definição de medicamentos órfãos e tratar da importação dos mesmos por pessoa física.

Ao estruturar uma Política Nacional para Doenças Raras no SUS, Rêgo propõe diversas diretrizes (art. 2), a saber:

I – elaboração de plano de ação anual;

II – previsão de recursos orçamentários, em cada esfera de governo;

III – criação de centros de referência para a atenção à saúde de pessoas com doenças raras;

IV – criação de cadastro nacional de doenças raras;

V – adoção de política farmacêutica que garanta o acesso dos pacientes com doença rara a medicamentos com efetividade clínica;

VI – edição e atualização periódica de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas de doenças raras, conforme estabelecidos pelo art. 19-O da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990;

VII – incorporação de medicamentos com efetividade clínica comprovada destinados ao tratamento de doenças raras, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS);

VIII – adoção de critérios e instrumentos regulatórios específicos para facilitar o registro e a entrada de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras no mercado nacional e no Sistema Único de Saúde, assegurando-se o atendimento aos parâmetros de segurança;

IX – produção e divulgação de indicadores epidemiológicos sobre doenças raras, de forma a subsidiar o planejamento, o monitoramento e a avaliação da Política;

X – estímulo à pesquisa científica e ao desenvolvimento científico e tecnológico voltados para prevenção e tratamento de doenças raras, com ênfase para a produção de novos medicamentos e imunobiológicos;

XI – capacitação de profissionais de saúde e de gestores para atuação no âmbito da Política, bem como de cuidadores, familiares e responsáveis;

XII – incentivo à participação social, com a realização de conferências periódicas, na forma do regulamento, para formular propostas e avaliar ações voltadas para a consolidação e o aperfeiçoamento da Política Nacional para Doenças Raras.

Em seguida, o senador propõe iniciativas que podem ser consideradas inovadoras para o tratamento de medicamentos órfãos no Brasil. Em primeiro lugar, traz uma definição para a classe dessas drogas, como aquelas que visam ao tratamento de doenças raras. Em seguida, autoriza a importação de medicamentos órfãos para uso individual por pessoa física, mesmo que a droga não tenha registro no país, sendo vedada sua comercialização, e propõe que a avaliação dos medicamentos será feita respeitando-se suas características específicas e de acordo com as determinações elaboradas pela autoridade sanitária.

Ao justificar a apresentação do projeto, Rêgo coloca a importância da Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica que, embora tenha impacto relevante no que tange o tratamento de doenças raras, ainda é insuficiente por excluir diversas enfermidades que podem ser consideradas raras e que não possuem origem genética. O senador ressalta os problemas de gestão que impactam os portadores de doenças raras, como a falta de pesquisa, de informação e de preparação dos profissionais de saúde no diagnóstico e tratamento. Ressalta a falta de protocolos elaborados para o tratamento dessas doenças e o impacto, especialmente financeiro, causado pela judicialização de medicamentos destinados aos pacientes.

Ele finaliza ressaltando a necessidade da elaboração no âmbito do SUS de uma política pública, até então inexistente, que atenda de maneira devida os portadores de doenças raras, garantindo-lhes o direito constitucional à saúde.

Vital do Rêgo é médico e advogado, foi eleito deputado federal por dois mandatos e senador por um mandato. Renunciou a cadeira no Senado para assumir a vaga de Ministro do Tribunal de Contas da União (TCU).

A matéria foi inicialmente despachada para a Comissão de Assuntos Econômicos (CAE), na qual recebeu parecer favorável pelo senador Eduardo Suplicy (PT/SP). Suplicy é graduado em administração de empresas, com mestrado, doutorado e pós-doutorado em economia. Ligado às causas sociais, apresentou em 2012 o PLS 231, destinado ao financiamento de pesquisas para doenças raras e com definição de incentivos ao tratamento semelhante ao dado às doenças negligenciadas no Brasil.

Em relatório, o senador explica a prerrogativa da comissão em analisar o impacto orçamentário causado pela proposição. Segundo ele, a aprovação da matéria não significaria um aumento de gastos expressivos por parte do poder público, considerando-se a aplicação da Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica que, mesmo não abarcando expressamente doenças raras, incluem estas naturalmente, já que 80% das doenças raras são

causadas por fatores genéticos. Ressaltou, ainda, a aprovação por parte do Senado Federal do PLS 231/2012, de sua autoria, que estabelece o Fundo Nacional de Pesquisa para Doenças Raras e Negligenciadas (FNPDRN), o que já garantiria recursos financeiros para doenças raras. Suplicy votou pela aprovação integral do texto, sem incluir emendas.

4.2.1 AUDIÊNCIA PÚBLICA

No início de 2014, o senador Cícero Lucena (PSDB/PB) apresentou o requerimento 24/2014 para a realização de audiência pública na Comissão de Assuntos Econômicos (CAS) sobre o tema “tratar sobre o acesso a medicamentos órfãos por portadores de doenças raras”. O requerimento não apresenta justificativa para a realização da audiência. Cícero Lucena é empresário do ramo de construção civil, atuou ativamente nas pautas de saúde enquanto senador com a apresentação de projetos de lei como o PLS 162/2012, que determina um percentual mínimo da receita corrente líquida que a União deverá aplicar anualmente em ações e serviços públicos de saúde.

Ocorrida em dezembro de 2014, a audiência pública realizada na CAS reuniu representantes do Ministério da Saúde, da indústria e de associações de pacientes.

A audiência foi iniciada por José Eduardo Fogolin, Coordenador-Geral de Alta e Média Complexidade do Ministério da Saúde, que fez uma fala voltada para a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Destacou que a sociedade civil teve ampla participação em sua formulação, porém, problemas de implementação foram encontrados pelo Ministério da Saúde devido às diferenças regionais encontradas na sociedade brasileira, impedindo a execução uniforme da política. Além disso, alegou não existirem subsídios suficientes para a informação e a formação de profissionais direcionados para doenças raras. A norma busca cobrir desde a atenção básica até a atenção especializada. Entretanto, é evidente a dificuldade estrutural que reside no fato de o SUS carecer de competências que vão desde o diagnóstico ao tratamento específico das doenças, expondo a falta de preparo do sistema, principalmente da organização da rede de atenção. É necessária a aproximação da União com os estados e municípios para a implementação adequada da política.

Fogolin colocou ser fundamental o uso de medicamentos para o tratamento de doenças raras. Uma política específica sobre o tema, no entanto, deve focar em outros fatores, pois poucas enfermidades possuem tratamento medicamentoso conhecido e eficaz. Nesse sentido, caso a norma fosse baseada em medicamentos, poucas doenças raras seriam contempladas.

Como ponto positivo, destacou a capacidade de incorporação de medicamentos e tecnologias que poderão promover o diagnóstico precoce de doenças raras, possibilitando o financiamento de novos serviços especializados, muitos deles já existentes, mas que não são utilizados há tempo. Há, ainda, a possibilidade de incorporação de medicamentos e fórmulas nutricionais através da elaboração de PCDTs, e da realização aconselhamento genético, ambos como parte do SUS.

Exemplificando as ações do Ministério da Saúde, alegou que foram realizados treinamentos de profissionais em todas as esferas de governo na atenção básica, através de orientações das diretrizes básicas para doenças raras. Para 2015, foram traçados objetivos de serviços e cuidados para portadores de doenças raras, através das secretarias de saúde estaduais e municipais, além da elaboração de indicadores de gestão da política pública vigente e da divulgação de informações referentes a doenças raras para conhecimento da população. O Ministério planeja, ainda, lançar protocolos que abarcam 19 grupos de doenças raras, com a formação de aconselhores genéticos e a elaboração de parâmetros de qualidade para os laboratórios que realizam exames de apoio de diagnóstico.

Por fim, Fogolin destacou os avanços feitos pelo SUS, que atualmente consegue notar a importância da discussão e da promoção de uma política para doenças raras que foque na qualidade de vida dos pacientes. A norma estabelecida não busca a redução da judicialização, ou seja, não é focada no acesso a medicamentos. O objetivo é aumentar qualidade de vida da população.

Clarice Petramale, presidente da CONITEC, colocou que há um acolhimento das doenças raras pelo SUS, e pode ser justificada a criação de uma política pública específica para o tema. Como ponto central de abordagem da questão, acredita que as ações de maior relevância são os diagnósticos precoces, as diretrizes terapêuticas para tratamentos adequados, o aconselhamento genético e o diagnóstico pré-natal. Segundo Petramale, a discussão sobre o tratamento de doenças raras não pode ser focada em medicamentos, pois estes não se mostram eficazes em boa parte dos casos conhecidos. O objetivo da gestão pública deveria ser a expansão de terapias genéticas e no tratamento de maneira mais multidisciplinar, por serem métodos que têm se mostrado mais eficazes, devendo ser o principal alvo de investimentos para o tratamento de doenças raras.

É necessário que os profissionais da atenção básica sejam mais bem orientados sobre as doenças raras, gerando maior oportunidade de diagnóstico precoce e, conseqüentemente, facilitando o tratamento dos pacientes. Sobre o diagnóstico neonatal, acredita ser relevante

que os cuidados comecem a ocorrer ainda neste período, sendo acompanhado do aconselhamento genético, facilitando a partir daí o entendimento por parte das famílias sobre o que esperar da doença.

Maria José Delgado, Diretora da Interfarma e responsável pelas áreas de Responsabilidade Social, Doenças Raras, Inovação e Biotecnologia, Descarte de Medicamentos, *Patient Advocacy* e *Compliance*, colocou que o esforço feito pelo governo através de uma política pública específica é reconhecido pela indústria, mas ainda é insuficiente frente a sua capacidade de atuação. Atualmente, dos 237 estudos de doenças raras realizados no mundo, apenas quatro são feitos no Brasil. Em sua avaliação, o cenário legislativo mundial sobre o tema mostra que os medicamentos órfãos devem ser encarados e avaliados de maneira diferenciada pelas autoridades reguladoras, defendendo que a CONITEC flexibilize os critérios de avaliação utilizados para que os medicamentos órfãos possam ser avaliados de forma justa e devida, possibilitando a posterior incorporação. No que se trata de pesquisas clínicas, mesmo com as dificuldades impostas pelo governo, o setor regulado ainda investe em pesquisas para novos medicamentos e tecnologias. Destacou ainda a importância de se diferenciar as doenças raras das demais enfermidades existentes, através da utilização da terminologia específica para criar uma referência aos portadores. Por fim, colocou que o atual modelo de precificação, vinculado ao registro e estabelecido pela CMED, pode impedir a entrada de terapias inovadoras e necessárias, além de afastar novos investimentos da indústria no país.

Maria Cecília Oliveira, Presidente da Associação dos Familiares, Amigos e Portadores de Doenças Graves (AFAG), também criticou as falas que diminuem o tratamento medicamentoso para doenças raras. Oliveira acredita que o ideal seria a terapia genética aliada ao uso de medicamentos, o que não ocorre atualmente. Também apontou o papel das associações de pacientes no auxílio de portadores de doenças raras, principalmente na busca de tratamentos e de assistência adequada, o que deveria ser papel do governo. Quanto ao acesso aos medicamentos órfãos, tratou do acesso por via judicial, considerado por ela como um processo custoso e demorado, ocasionado pela falta de proatividade do governo em incorporar tratamentos adequados para os pacientes.

Oliveira defendeu uma aproximação sincera entre o Ministério da Saúde e as associações de pacientes, o que significa que o governo deve buscar atender os interesses dos portadores de doenças raras em primeiro lugar. Hoje, a indústria passa por vários entraves burocráticos para solicitar a incorporação de medicamentos, prejudicando o acesso por parte

dos pacientes. A demanda por incorporação de medicamentos para o tratamento de doenças raras já existe, resta a reorganização do sistema e proatividade do governo para promover o direito à saúde dos pacientes.

Respondendo as colocações de Delgado, Petramale tratou da questão do preço, alegando que as afirmações colocadas relevam falta de informação sobre o funcionamento da CONITEC, não sendo sua função a negociação de preços junto à indústria. Esclareceu ainda que a CONITEC atua sob demanda e, caso haja falta de medicamentos órfãos no SUS, significa que não há demandas das empresas para incorporação de tais tecnologias. Ainda sobre os preços praticados na venda de medicamentos órfãos, afirmou que não há limite de custo-efetividade, sendo a exigência de custos econômicos aplicável a todas as tecnologias avaliadas. Um medicamento não é desconsiderado para a incorporação exclusivamente por conta do seu preço. Atualmente, o Ministério estabelece valores a serem praticados a partir do preço médio mundial, o que não é bem recebido pela indústria farmacêutica. Segundo ela, garantir preços baixos de medicamentos órfãos é extremamente complicado pela falta de concorrência do mercado. Por fim, colocou que na maioria dos países não há custeio de tratamentos e medicamentos, mesmo quando registrados no país, como ocorre no Brasil.

Em resposta, Maria José Delgado alegou que o registro do produto e do preço devem ser processos separados. Para ela, as especificidades dos medicamentos órfãos devem ser levadas em conta pelas autoridades sanitárias do país nos momentos de avaliação, precificação e incorporação. Colocou que há pedidos de incorporação de medicamentos órfãos na CONITEC, mas não são devidamente analisados pela ausência de um modelo fármaco-econômico adequado para essa modalidade de medicamentos. Há também a necessidade de se permitir a solicitação de incorporação de medicamentos e terapias por parte dos pacientes, principais beneficiários da disponibilização pelo SUS.

A senadora Ana Amélia (PP/RS), também presente, colocou a importância do PLS 530/2013, do qual é relatora na CAS, pela necessidade de se criar um conceito preciso para medicamentos órfãos, o que não é feito pela política publicada pelo Ministério da Saúde. Também relatou o interesse que a sociedade tem mostrado pela matéria, pelo alto grau de contribuições que seu gabinete vêm recebendo para a apresentação de um texto final.

4.2.2 SUBSTITUTIVO AO PLS 530/2013

O substitutivo apresentado pela senadora Ana Amélia altera, majoritariamente, a redação da iniciativa proposta pelo senador Vital do Rêgo, e traz em maior detalhamento questões relacionadas ao tratamento pelo poder público e formas de acesso a medicamentos órfãos.

Em primeiro lugar, o substitutivo trata do registro, relacionando-o com um dos problemas impostos à pesquisa clínica e comprovação de eficácia de medicamentos órfãos: a quantidade insuficiente de pacientes para a participação de estudos que viabilizem o registro dos medicamentos. Indo além, a proposta altera critérios de avaliação e determinação de preços, impostos pela CMED, ao estabelecer que estes devam ser definidos considerando as especificidades dos medicamentos órfãos. Além disso, no que se refere à revisão dos valores a serem praticados em território nacional, a referência para alterações deve ser feita estritamente considerando outros medicamentos classificados como órfãos. A proposta também se adéqua à determinação inicial dos preços de tais drogas.

Quanto à dispensação dos medicamentos órfãos, a senadora propõe (art 19-M do substitutivo) as seguintes diretrizes:

I – cadastramento do paciente em base de dados nacional;

II – atendimento da prescrição, acompanhada de relatório médico, realizada por profissional de saúde legalmente habilitado e em exercício no Sistema Único de Saúde ou em serviços privados de assistência à saúde;

III – obrigatoriedade de renovação da prescrição a cada seis meses;

IV – dispensação imediata e fornecimento ininterrupto, para evitar atraso ou descontinuidade do tratamento.

Por fim, altera pontos relacionados ao trabalho desenvolvido pela CONITEC, especialmente na produção de PCDTs de doenças raras que visam à incorporação de medicamentos órfãos. Nesses casos, a comissão deverá realizar fóruns de discussão com especialistas e associações de pacientes. Ainda mais relevante, na avaliação de incorporação de medicamentos órfãos, o substitutivo determina que os resultados que tratam da efetividade clínica devem ter precedência sobre a análise de custo-efetividade.

O substitutivo apresentado pela senadora Ana Amélia foi aprovado no dia 05 de agosto de 2015, em caráter terminativo, seguindo para a apreciação da Câmara dos Deputados.

4.3 ANÁLISE

É possível observar que a discussão sobre doenças raras e medicamentos órfãos é negligenciada nos debates dentro do próprio campo da saúde. Muitas críticas feitas à judicialização e seu impacto pouco consideram as características das doenças raras e dos tratamentos de alto custo relacionados a elas, revelando que há um longo caminho a ser trilhado até que a questão ganhe algum protagonismo.

Em primeiro lugar, a literatura geral sobre judicialização da saúde desconsidera em termos financeiros os impactos produzidos pela demanda de medicamentos sem registro. Em termos quantitativos de pedidos de acesso por via judicial, tais drogas são consideradas minoria, uma porcentagem praticamente insignificante. Como foi colocado anteriormente, boa parte dos medicamentos órfãos não possuem registro na Anvisa pelas condições de mercado e pela burocracia que desfavorece a entrada desses produtos no país. Entretanto, o alto custo dessas drogas possui, muitas vezes, um impacto orçamentário muito mais relevante que o da judicialização de medicamentos com registro no país. Retomamos aqui o exemplo do medicamento órfão *Soliris* que, como mencionado anteriormente, não possui registro no país e é o principal gasto do Ministério da Saúde com a judicialização; cerca de R\$55 milhões foram gastos com ele em cinco anos.

Os medicamentos órfãos são pouco mencionados na literatura geral sobre assistência farmacêutica ou sobre judicialização da saúde. Pouco se discute, e muito se critica, quanto ao direito ao acesso a tratamentos mais complexos e quanto a como o poder público pode agir para atender os portadores de doenças raras de maneira integral considerando a individualidade desses pacientes. As análises apontam muito para os problemas gerados pela judicialização, mas não apontam soluções alternativas para questões peculiares que precisam ser englobadas pelo SUS para promover, de fato, seus princípios.

No que tange à literatura específica sobre a situação de doenças raras e medicamentos órfãos, a discussão sobre a carga financeira que atinge as famílias dos portadores de doenças raras se restringe ao acesso a medicamentos e tratamentos de alto custo, geralmente inacessíveis sem o auxílio monetário do Estado. Os problemas vão além, pois em grande parte dos casos familiares deixam de trabalhar para oferecer assistência ao portador de doença rara,

a qual incapacita o paciente a viver de forma independente e autônoma. Um gargalo nas discussões sobre doenças raras e maneiras de solucionar problemas que afetam as famílias financeiramente é a elaboração de uma política específica de cuidadores custeada pelo Estado.

Quanto à Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, valem algumas considerações. Mesmo com os esforços apresentados pelo Ministério da Saúde para a elaboração, de forma colaborativa e com a contribuição de especialistas, a referida política ficou muito aquém do ideal para o tratamento de pessoas com doenças raras. É importante ressaltar que a definição de doença rara, tirando o país do limbo quanto ao conceito, foi uma ação de extrema relevância que gerou espaço para a discussão sobre o tema.

Mesmo prevendo a incorporação de tratamentos para doenças raras e, posteriormente ter sido estabelecido pelo Ministério da Saúde a priorização na elaboração de PCDTs para tais enfermidades, a política não relaciona as doenças raras aos medicamentos órfãos, ou sequer menciona tais drogas, deixando como vigente o entendimento dado pela Anvisa sobre sua classificação. Ou seja, a Política que visa à redução dos impactos causados pelas doenças raras ignora por completo os tratamentos medicamentosos disponíveis no mercado que foram elaborados especificamente para essas males. A partir de tal constatação, é possível concluir que não há, dentro da norma, nenhuma solução aos problemas encontrados pela avaliação inadequada e indistinta dos demais medicamentos para os processos de registro, precificação e incorporação de medicamentos órfãos e, conseqüentemente, não há efeito direto sobre sua judicialização e não cria incentivos para sua entrada no país.

A Portaria traz, ainda, como responsabilidade do Ministério da Saúde a promoção de pesquisas sobre doenças raras. Entretanto, não cria mecanismos que solucionem os problemas encontrados pela academia e pela indústria para a inovação tecnológica direcionada para doenças raras, como a falta de número de pacientes em número suficiente para a realização de uma pesquisa clínica, não criando, conseqüentemente, condições para o desenvolvimento de novos fármacos em território nacional que poderiam diminuir a dependência de medicamentos importados.

Nas regras de financiamento estabelecidas também não consta nenhuma porcentagem ou valor específico direcionado para a realização de pesquisas que visam à inovação tecnológica ou a novos tratamentos. Além disso, a partir do financiamento tripartite, é apenas estabelecido que é responsabilidade da União a aquisição dos medicamentos de média e alta complexidade, mas não é estabelecida a divisão percentual dos gastos extras que certamente serão financiados pelos estados e municípios, que atualmente sofrem para cobrir os gastos

com a saúde. A Política também não estabelece a criação de um planejamento orçamentário direcionado às doenças raras.

Como dito por José Eduardo Fogolin, em audiência pública do Senado, a política não tem como objetivo a diminuição da judicialização de medicamentos órfãos e, considerando o alto custo destes medicamentos e sua ausência nos PCDTs, a via judicial continua sendo o principal meio de acesso a medicamentos órfãos.

Quanto às discussões sobre doenças raras e medicamentos órfãos no Poder Legislativo, destaco algumas questões. Retomando novamente a questão dos cuidadores, observa-se que o tema foi pouco abordado dentro das audiências públicas e sequer foi mencionado pelos projetos de lei e seus substitutivos. Apenas a deputada Mara Gabrilli apontou a questão como relevante, mas não houve aprofundamento sobre o tema.

Observa-se que o PL 1606/2011, por si só, traz poucas propostas quanto a formas de tratamento para os portadores de doenças raras. O texto apresentado por Marçal Filho é raso ao abordar os tratamentos medicamentosos para doenças raras e traz apenas dois pontos de mínima relevância: a possibilidade de dispensa de licitação para a compra de tais drogas e a sua dispensação independente de sua presença no rol de medicamentos excepcionais. O autor não chega a abordar os medicamentos órfãos ou problemas relacionados à burocracia que envolve sua vigilância. O PL 2669/2011, do deputado Jean Wyllys, é claramente mais abrangente, pois traz pela primeira vez a ideia de uma política que trate de doenças raras no âmbito legislativo, não se limitando apenas ao tratamento medicamentoso, estabelecendo diretrizes no SUS que estruturam o acesso aos portadores de doenças raras ao direito à saúde e inclui explicitamente o fornecimento de drogas órfãs.

O substitutivo apresentado pelo relator da CSSF Darcísio Perondi amplia ainda mais a questão e consegue englobar as iniciativas propostas pelos deputados Marçal Filho e Jean Wyllys, indo além em alguns aspectos. Certamente houve contribuições da sociedade civil para o texto apresentado por Perondi, já que aborda algumas questões de forma pioneira. Primeiro, estabelece mecanismos diferenciados para o registro e a avaliação para a incorporação de medicamentos órfãos no SUS. Entretanto, vale observar que o substitutivo oferecido pela senadora Ana Amélia ao PLS 530/2013 traz a mesma proposta, mas estabelece regras para que a análise seja, de fato, diferenciada, como a precedência da eficácia clínica em relação à análise de custo-efetividade – uma resposta às críticas feitas na bibliografia sobre judicialização de medicamentos órfãos e o uso de modelo ATS para sua avaliação tecnológica –, e a realização de debates com especialistas e associações de pacientes na elaboração de

PCDTs de doenças raras, tendo em vista que as reuniões realizadas pela CONITEC são sigilosas e não permite a participação da sociedade civil. A proposta feita pela senadora traz maior envolvimento da sociedade no processo de incorporação de drogas órfãs, tornando o processo mais transparente e aperfeiçoando uma das diretrizes que compõe o SUS: a participação popular na gestão da saúde pública.

Os dois substitutivos convergem quando preenchem a lacuna deixada pela Portaria 199/2014 ao relacionarem o tratamento de doenças raras ao uso de medicamentos órfãos. A aproximação é importante, pois pressiona para que o debate em torno do tratamento de doenças raras aponte o uso de medicamentos órfãos como a melhor forma de tratamento, constringendo a ideia de incorporação de outros medicamentos que apenas reduzem os efeitos das doenças, mas não retardam seu desenvolvimento, como foi exposto na bibliografia.

Ainda de forma comparativa, os dois substitutivos analisados também tratam dos processos estabelecidos pela CMED. O texto de Perondi fica, entretanto, aquém das necessidades apresentadas pela indústria quando trata da precificação por parte do governo. O deputado se prende mais aos trâmites burocráticos e aos prazos para a liberação dos medicamentos órfãos no mercado, ao estabelecer que análise por parte da CMED deva ocorrer concomitantemente com a análise de concessão de registro feita pela Anvisa. O texto de Ana Amélia interfere de forma mais incisiva nas atividades de regulação de mercado, propondo, de fato, que os medicamentos órfãos passem por critérios de avaliação diferentes dos medicamentos para doenças prevalentes, isto é, que realmente atenda as especificidades das drogas órfãs e considere seu alto valor.

É interessante observar que, diferentemente do substitutivo ao PL 1606/2011, o texto da senadora não delega à Anvisa a competência de atribuir a um medicamento o status de órfão, um problema bem colocado na bibliografia sobre o tratamento que esses fármacos recebem no Brasil. Portanto, para que as propostas da senadora Ana Amélia tenham efeito prático, é necessário que a Anvisa tenha a possibilidade de qualificar um medicamento como órfão e, por conseguinte, este possa receber tratamento diferenciado diante dos processos de registro, precificação e avaliação tecnológica.

Na justificativa apresentada pelo deputado Darcísio Perondi, ele coloca que foi excluída do texto a qualificação de portadores de doenças raras como pessoas com deficiência. O PLS 530/2013 e seu substitutivo sequer relacionam as questões. Tal exclusão pode acarretar em prejuízos para os portadores de doenças raras, tendo em vista que: (a) o debate sobre direitos das pessoas com deficiência possui maior visibilidade dentro da

sociedade, sendo muito mais reconhecido e reivindicado cotidianamente; (b) a legislação sobre os direitos das pessoas com deficiência já existe e está mais bem consolidado do que os portadores de doenças raras e; (c) considerando que as doenças raras levam seus portadores a uma situação de deficiência, esta pode se manifestar tarde na vida, como é o caso de portadores de Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA), sendo necessário promover o direito dessas pessoas o quanto antes.

Quanto ao PLS 530/2013, o senador Vital do Rêgo traz uma proposta de criação de uma Política Nacional de Doenças Raras com o foco no acesso a medicamentos. O substitutivo da senadora Ana Amélia expande a ideia inicial e trata de forma minuciosa questões relevantes sobre a incorporação, o registro e a precificação dos medicamentos órfãos, como mencionado anteriormente.

Focando na questão da judicialização em si, o senador propõe a compra de medicamentos órfãos por pessoas físicas, mesmo que este não tenha registro, desde que não seja para fins de comercialização. Embora apresente uma solução para o acesso a medicamentos ainda não fornecidos no país, alguns pontos quanto a esse artigo devem ser ressaltados. Em primeiro lugar, a importação de medicamentos sem registro não soluciona o problema apontado da falta de garantia sobre questões relacionadas à segurança e à eficácia do medicamento, umas das grandes críticas apontadas na judicialização de tais drogas. Retoma-se, também, a questão da autoridade da prescrição médica, como documento absoluto que sobrepõe até questões de vigilância sanitária. Neste caso, ainda é mantida a falta de incentivo para que a indústria entre com o processo de registro no país e passe pelos processos burocráticos para sua comercialização. Em segundo lugar, considerando que o alto valor dos medicamentos apontados torna-os praticamente impossíveis de serem adquiridos por via particular, mesmo com a possibilidade de compra por pessoa física, há a grande possibilidade que estas recorram ao Estado para pagar a conta através da judicialização. O proposto pelo senador só teria impactos sobre a judicialização caso fosse estabelecida uma política de reembolso por parte do governo, a exemplo do que acontece em alguns países europeus.

O substitutivo oferecido ao PLS 530/2013 traz como proposta a dispensação imediata e interrupta de medicamentos órfãos. Entretanto, seria interessante que o texto trouxesse, como fez o texto original do PL 1606/2011, a possibilidade de dispensa de licitação para a compra de medicamentos para doenças raras, eliminando eventuais barreiras burocráticas que podem ser colocadas na distribuição de medicamentos órfãos.

Por fim, uma crítica colocada pela bibliografia, e que não encontra nenhuma resposta nas propostas feitas pelo Poder Legislativo, é a existência de um órgão específico para doenças raras. A questão foi levantada na audiência pública feita no Senado Federal, através de pergunta recebida pelo gabinete do senador Cícero Lucena. A resposta de José Eduardo Fogolin, representante do Ministério da Saúde na ocasião, é que a criação de uma coordenação específica para cada modalidade de enfermidade existente não é possível e fragmentaria as políticas criadas. No entanto, o argumento dado é contraditório quando se fala em qualificar o desenvolvimento científico do país em doenças raras, trazendo mais qualidade de vida aos seus portadores, quando não há órgãos especializados e qualificados, que busquem trazer incentivos para desenvolver tais incentivos em conjunto com a sociedade civil e a indústria.

5. CONCLUSÃO

A Constituição Federal de 1988 definiu o Estado como provedor do direito à saúde da população de forma universal, integral e com equidade através da criação do Sistema Único de Saúde, sendo a sua gestão e seu financiamento responsabilidade da União, dos estados e dos municípios. Certamente não foram previstos, durante a elaboração do texto constitucional, as transformações e os avanços tecnológicos do setor de saúde, o avanço da medicina – que a cada dia descobre novas doenças e formas de tratá-las – e a complexidade dos fatores que podem ser incluídos no direito à saúde.

Ao se responsabilizar pela promoção do direito à saúde, o Estado brasileiro deve garantir a melhoria da qualidade de vida da população de forma integral, o que nos últimos anos têm extrapolado as medidas democráticas impostas pela constituição. A partir dos anos 90, os portadores de HIV deram início à prática da judicialização da saúde, quando buscavam tratamentos medicamentosos que estavam fora de seu alcance para garantir sua vida. Desde então, a judicialização tem se tornado um fenômeno complexo no campo da saúde, pois ao mesmo tempo em que promove um direito constitucional, traz complicações que envolvem desde o lançamento de novos produtos – muitas vezes sem comprovação alguma de eficácia – , até a ligação entre associações de pacientes, médicos e indústria farmacêutica em ações contra o Estado.

Nos últimos anos, o país tem sofrido com a sobrecarga financeira causada pelos medicamentos órfãos, que possuem alto custo e são altamente judicializados e, por isso, não se enquadram no ciclo da assistência farmacêutica, que tem como fator central o planejamento para a aquisição de medicamentos. Claramente, os demandantes de medicamentos órfãos estão visando a apenas uma coisa: garantir sua sobrevivência em um contexto em que nada funciona ao seu favor. Além disso, o cenário altamente burocrático do país não traz incentivos para que tais drogas sejam aqui comercializadas, muito menos por preços que possam ser considerados razoáveis, levando à própria indústria a tornar a judicialização dos medicamentos órfãos uma forma alternativa de comércio de seus produtos.

A judicialização da saúde traz diversas tensões entre os Poderes Executivo e Judiciário. O primeiro se vê prejudicado na execução de suas políticas, enquanto o segundo toma decisões visando cumprir a Constituição, mesmo que isto signifique agir sem qualquer conhecimento técnico sobre a saúde. O Poder Legislativo surge, então, como uma terceira via que pode trazer soluções para este impasse.

Com início em 2011, a discussão sobre doenças raras e medicamentos órfãos caminha de forma lenta dentro do Congresso Nacional, já que os dois principais projetos que trazem qualquer impacto na judicialização de medicamentos órfãos demoraram ao menos dois anos para ter qualquer movimentação significativa. Mesmo com a realização de fóruns e audiências públicas, as discussões pouco abordam a judicialização e os impactos trazidos por ela, e não estimulam o andamento dos projetos de lei que poderiam ter impacto considerável na vida dos portadores de doenças raras.

Também é observada a dificuldade do diálogo com o Poder Executivo. É certo que o crescimento do debate sobre doenças raras no Legislativo especialmente em 2013 levou à publicação da Portaria 199/2014, que institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, uma norma insuficiente que não se atenta, em momento algum, para os problemas causados pela judicialização e não promove melhorias no cenário brasileiro para o avanço de pesquisas, além de trazer incentivos para a indústria trazer novos medicamentos para o país.

Entre os projetos analisados, ainda que proponham a tentativa de melhorar o acesso de portadores de doenças raras aos medicamentos órfãos, os textos iniciais do PL 1606/2011, do PL 2669/2011, e do PLS 530/2013 ainda eram muito tímidos em promover ações que poderiam trazer mudanças nas ações judiciais para tratamentos medicamentosos de alto custo. Isso foi certamente ampliado com a apresentação dos textos substitutivos por parte do Deputado Darcísio Perondi e da Senadora Ana Amélia, que admitiram ter recebido diversas contribuições para a elaboração da minuta final. Este foi, certamente, um processo importante, pois abriu espaço para que as associações e a indústria trouxessem reivindicações sólidas que, caso atendidas, podem trazer melhorias no tratamento de doenças raras.

É possível observar, entretanto, que mesmo que acarrete na diminuição da judicialização, a aprovação das duas propostas ainda não trazem um cenário ideal que resolve todos os problemas. Destaco aqui a questão dos medicamentos sem registro que, em caso de aprovação das matérias, ainda podem entrar no país sem serem submetidos a processos de vigilância sanitária que são de extrema importância para a promoção da saúde de maneira responsável por parte do Estado.

Por fim, as mudanças apresentadas pelos substitutivos em relação aos projetos originais, como já mencionado anteriormente, mostram a relevância do Poder Legislativo e sua acessibilidade para a elaboração de políticas públicas que atendam, de fato, aos interesses dos pacientes e seus familiares na construção do direito à saúde do país. É perceptível que a

discussão sobre doenças raras neste âmbito foi uma forma de chamar a atenção para o Poder Executivo sobre a questão, levando à publicação de atos normativos que focam nesta categoria de enfermidade.

Quanto à judicialização da saúde em si, o assunto tem chamado cada vez mais a atenção do governo e sociedade civil, e mais ações devem ser tomadas, principalmente por se tratar de um fenômeno crescente. Inicialmente pelo impacto financeiro em um cenário de crise econômica, em que o Ministério da Saúde tem sofrido profundos cortes orçamentários e tem sacrificado programas estratégicos na promoção da saúde, como é o caso do *Farmácia Popular*, que não receberá verba suficiente em 2016¹¹. No caso de medicamentos de alto custo, mesmo sem a mudança profunda de cenário para criar incentivos reais para seu desenvolvimento e sua comercialização no país, o governo tem buscado aumentar seu poder de barganha para amortecer preços e torná-los mais acessíveis à população, como a compra coletiva por países do Mercosul, como já mencionado anteriormente.

No âmbito do Poder Legislativo, outras discussões estão sendo levantadas e abordam a judicialização da política de forma geral. Um exemplo é o avanço da discussão sobre o PL 8058/2014, de autoria do Deputado Paulo Teixeira (PT/SP), que “institui processo especial para o controle e intervenção em políticas públicas pelo Poder Judiciário e dá outras providências”. O posicionamento do Congresso Nacional frente a temas que abordam o Executivo e o Judiciário é extremamente importante, principalmente para reforçar seu papel como representante da sociedade no cenário institucional.

Conclui-se que as discussões sobre doenças raras e medicamentos órfãos avançam, mesmo que de forma lenta, dentro do Congresso Nacional, principalmente se considerarmos os últimos dois anos, em que os crescentes gastos com medicamentos de alto custo fornecidos em resposta a demandas judiciais têm onerado as contas governamentais de forma significativa. As propostas analisadas solucionam alguns problemas apontados pela bibliografia após a apresentação de seus respectivos substitutivos, principalmente a tratar de formas diferenciadas para a incorporação de medicamentos órfãos e ao relacioná-los, diretamente, com o tratamento de doenças raras.

Embora se tratem de processos demorados e que não solucionam o problema de forma completa, as discussões sobre o direito à saúde têm avançado, trazendo maior consciência à

¹¹ Conforme reportagem veiculada no Estadão em 28 de setembro de 2015. Disponível em: <http://saude.estadao.com.br/noticias/geral,governo-zera-repasse-de-recursos-para-farmacia-popular-em-2016,1770428>>. Acesso em: 13 dez. 2015.

população sobre seus direitos e as formas (muitas delas novas) de demandá-los perante o Estado. Ainda estamos muito longe de implementar uma política ideal para os portadores de doenças raras, mas os avanços conquistados são significativos e trazem uma nova realidade para a saúde no Brasil.

REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

AITH, Fernando et al. Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. **Revista de Direito Sanitário**, v.15, n.1, p.10-39, jul. 2014. Disponível em: <<http://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/82804>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

AITH, Fernando Mussa Abujamra. O direito à saúde e a política nacional de atenção integral os portadores de doenças raras no Brasil. **Jornal Brasileiro de Econ. da Saúde**, suplemento 1, p.4-12, 2014. Disponível em: <http://www.jbes.com.br/images/edicao-especial2014/jbes-especial01.pdf>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

ARAUJO, Denizar Vianna. Limitações dos métodos de ATS para decisão de incorporação de tecnologias para doenças raras. **Jornal Brasileiro de Econ. da Saúde**, suplemento 1, p.24-29, 2014. Disponível em: <http://www.jbes.com.br/images/edicao-especial2014/jbes-especial04.pdf>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BAPTISTA, Tatiana Wargas de Faria; MACHADO, Cristiani Vieira; LIMA, Luciana Dias de. State responsibility and right to health in Brazil: a balance of the Branches' actions. **Ciênc. saúde coletiva**, Rio de Janeiro, v. 14, n.3, p.829-839, mai./jun. 2009. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1413-81232009000300018&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Conselho Nacional de Saúde. Resolução n. 338, de 06 de maio de 2004. Brasil, 2004. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/cns/2004/res0338_06_05_2004.html>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Conselho Nacional de Secretários de Saúde. **Assistência Farmacêutica no SUS**. Brasília: CONASS, 2011, 186p. (Coleção Para Entender a Gestão do SUS - 2011, v.7). Disponível em: <http://www.conass.org.br/colecao2011/livro_7.pdf>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Conselho Nacional de Secretários de Saúde. **Assistência Farmacêutica no SUS**. Brasília: CONASS, 2011, 186p. (Coleção Para Entender a Gestão do SUS - 2011, v.7, Atualização Junho/2015). Disponível em: <

http://www.conass.org.br/biblioteca/pdf/atualizacao-2015/L07_Assis-Farmaceutica-no-SUS_jun2015.pdf>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Conselho Nacional de Secretários de Saúde. **Vigilância em Saúde**. Brasília: CONASS, 2011, 113p. (Coleção Para Entender a Gestão do SUS - 2011, v.6, p.II). Disponível em: <http://www.conass.org.br/colecao2011/livro_6.pdf>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Constituição (1988). **Constituição [da] República Federativa do Brasil**. Brasília: Senado Federal, 1988.

BRASIL. Decreto n. 7.508, de 28 de junho de 2011. Regulamenta a Lei no 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a organização do Sistema Único de Saúde - SUS, o planejamento da saúde, a assistência à saúde e a articulação interfederativa, e dá outras providências. Brasil, 2011. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/decreto/D7508.htm>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Define normas de regulação para o setor farmacêutico, cria a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED, altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e dá outras providências. Medida provisória nº 123, de 26 de junho 2003. Brasil, 2003. Disponível em: <<http://www3.dataprev.gov.br/sislex/paginas/45/2003/123.htm>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Lei n. 10.742, de 6 de outubro de 2003. Define normas de regulação para o setor farmacêutico, cria a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED e altera a Lei no 6.360, de 23 de setembro de 1976, e dá outras providências. Brasil, 2003. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/2003/L10.742.htm>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Lei n. 6.360, de 23 de setembro de 1976. Dispõe sobre a vigilância sanitária a que ficam sujeitos os medicamentos, as drogas, os insumos farmacêuticos e correlatos, cosméticos, saneantes e outros produtos, e dá outras providências. Brasil, 1976. Disponível em: <<http://www2.camara.leg.br/legin/fed/lei/1970-1979/lei-6360-23-setembro-1976-357079-normaatualizada-pl.html>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Lei n. 8.142, de 28 de dezembro de 1990. Dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre as transferências intergovernamentais de recursos financeiros na área da saúde e dá outras providências. Brasil,

1990. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/LEIS/L8142.htm>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Lei n. 8080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. Brasil, 1990. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/Leis/L8080.htm>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999. Define o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária, cria a Agência Nacional de Vigilância Sanitária, e dá outras providências. Brasil, 1999. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/L9782.htm. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Ministério da Saúde. Dispõe sobre as regras de financiamento e execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Portaria n. 1.554, de 30 de julho de 2013. Brasil, 2013. Disponível em: <http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Ministério da Saúde. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. Portaria n. 199, de 30 de janeiro de 2014. Brasil, 2014. Disponível em: <http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Ministério da Saúde. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. Portaria n. 199, de 30 de janeiro de 2014. Brasil, 2014. Disponível em: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Ministério da Saúde. Institui, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. Portaria n. 81, de 20 de janeiro de 2009. Brasil, 2009. Disponível em:

<http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2009/prt0081_20_01_2009.html>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Ministério da Saúde. Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Apresentação, 2014. Disponível em: <<http://www19.senado.gov.br/sdleg-getter/public/getDocument?docverid=2b2e8f25-ea17-434b-87e3-d27e84decaf0;1.0>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Regulamenta a Lei no 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a organização do Sistema Único de Saúde - SUS, o planejamento da saúde, a assistência à saúde e a articulação interfederativa, e dá outras providências. Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011. Brasil, 1990. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/decreto/D7508.htm. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos – Ministério da Saúde. Torna pública a decisão de aprovar a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Portaria n. 19, de 26 de maio de 2015. Brasil, 2015. Disponível em: <ftp://ftp.saude.sp.gov.br/ftpssp/bibliote/informe_eletronico/2015/iels.mai.15/Iels97/U_PT-MS-SCTIE-19_260515.pdf>. Acesso em: 11 dez. 2015.

BRASIL. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. PETRAMALE, Clarice Alegre. **Incorporação Tecnológica no SUS**. Apresentação, 2015. Disponível em: <<http://download.rj.gov.br/documentos/10112/607009/DLFE-49204.pdf/PalestraIncorporacaoTecnologicanoSUSClariceA.Petramale.pdf>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

CHIEFFI, Ana Luiza; BARATA, Rita Barradas. Judicialização da política pública de assistência farmacêutica e equidade. **Cad. Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v.25, n.8, p.1839-1849, ago. 2009. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0102-311X2009000800020&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

CHIEFFI, Ana Luiza; BARATA, Rita de Cássia Barradas. Ações judiciais: estratégia da indústria farmacêutica para introdução de novos medicamentos. **Rev. Saúde Pública**, São

Paulo, v.44, n.3, p.421-429, jun. 2010. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0034-89102010000300005&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

DELDUQUE, Maria Célia; CASTRO, Eduardo Vazquez de. A Mediação Sanitária como alternativa viável à judicialização das políticas de saúde no Brasil. **Saúde debate**, Rio de Janeiro, v.39, n.105, p.506-513, jun. 2015. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0103-11042015000200506&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

FEDERHEN, Andressa et al. **Pesquisa clínica e doenças raras: a situação no Brasil. Jornal Brasileiro de Econ. da Saúde**, suplemento 1, p.17-23, 2014. Disponível em: <<http://www.jbes.com.br/images/edicao-especial2014/jbes-especial03.pdf>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

FORMENTI, Lígia. Mercosul estuda compra conjunta de medicamentos de alto custo: medicamentos para doenças raras são fortes candidatos a entrarem na lista; ideia é aumentar poder de negociação e reduzir preços. **O Estado de S. Paulo** (online), São Paulo, 11 jun. 2015. Saúde. Disponível em: <http://saude.estadao.com.br/noticias/geral,mercosul-vai-criar-plataforma-para-compra-conjunta-de-remedios-de-alto-custo,1704608>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

FORMENTI, Lígia. Governo federal zera repasse para farmácia popular em 2016: programa criado em 2016 permite a compra de medicamentos com desconto de até 90%; neste ano, verbas somam R\$ 578 milhões. **O Estado de S. Paulo** (online), São Paulo, 26 set. 2015. Saúde. Disponível em: <http://saude.estadao.com.br/noticias/geral,governo-zera-repasse-de-recursos-para-farmacia-popular-em-2016,1770428>>. Acesso em: 13 dez. 2015.

INTERFARMA. **Proposta para Incorporação de medicamentos em Doenças Raras: definição de critérios para avaliação de reembolso de medicamentos órfãos para tratamento de doenças raras no SUS**. São Paula: Interfarma, 2015. Disponível em: <<http://www.interfarma.org.br/uploads/biblioteca/62-doencas-raras-painel-delphi-site.pdf>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

MACEDO, Eloisa Israel de; LOPES, Luciane Cruz; BARBERATO-FILHO, Silvio. Análise técnica para a tomada de decisão do fornecimento de medicamentos pela via judicial. **Rev.**

Saúde Pública, São Paulo, v.45, n.4, p.706-713, ago. 2011. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0034-89102011000400010&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

MARTINS, Miguel. Quando o juiz vira médico: decisões da Justiça sobre medicamentos, tratamentos e até insumos básicos sangram os cofres federais em 1 bilhão de reais. **Carta Capital** (online), São Paulo, 11 nov. 2015. Saúde. Disponível em: <<http://www.cartacapital.com.br/revista/874/quando-o-juiz-vira-medico-6392.html>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

MEDEIROS, Marcelo; DINIZ, Debora; SCHWARTZ, Ida Vanessa Doederlein. A tese da judicialização da saúde pelas elites: os medicamentos para mucopolissacaridose. **Ciênc. saúde coletiva**, Rio de Janeiro, v.18, n.4, p.1079-1088, abril 2013. Disponível em: <http://www.scielo.br/pdf/csc/v18n4/22.pdf>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

NOGUEIRA, Marcia Coli. Medicamentos sem registro: legislação, causas para a demanda, danos à saúde e consequências para a gestão. In: SANTOS, René (Org.). **Direito à Saúde**. Brasília: CONASS, 2015. (Coleção Para Entender a Gestão do SUS – 2015). Disponível em: <http://www.conass.org.br/biblioteca/pdf/colecao2015/CONASS-DIREITO_A_SAUDE-ART_26.pdf>. Acesso em: 11 dez. 2015.

PEPE, Vera Lúcia Edais et al. A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. **Ciênc. saúde coletiva**, Rio de Janeiro, v.15, n.5, p.2405-2414, ago. 2010. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1413-81232010000500015&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

SILVA, Hudson P; PETRAMALE, Clarice A; ELIAS, Flavia T S. Avanços e desafios da política nacional de gestão de tecnologias em saúde. **Rev. Saúde Pública**, São Paulo, v.46, supl.1, p.83-90, dez. 2012. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0034-89102012000700012&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

SIMÕES, Fernanda; LESSA, Fernanda; FAGUNDES, Maria José Delgado. Política nacional para pessoas com doenças raras: desafios de implementação e incorporação de tecnologias no SUS – Sistema Único de Saúde. **Jornal Brasileiro de Econ. da Saúde**, suplemento 1, p.41-47, 2014. Disponível em:

<http://www.flip3d.com.br/web/pub/cfm/index9/index.jsp?ipg=163770>. Acesso em: 11 dez. 2015.

SOARES, Jussara Calmon Reis de Souza; DEPRA, Aline Scaramussa. Ligações perigosas: indústria farmacêutica, associações de pacientes e as batalhas judiciais por acesso a medicamentos. **Physis**, Rio de Janeiro, v.22, n.1, p.311-329, jan. 2012. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0103-73312012000100017&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

SOUZA, Mário Luis Gurgel de; BITTENCOURT, Sidney Aguiar. **A saúde no Brasil**: história do Sistema Único de Saúde, arcabouço legal, organização, funcionamento, financiamento do SUS e as principais propostas de regulamentação da Emenda Constitucional nº 29, de 2000. Câmara dos Deputados, Consultoria de Orçamento e Fiscalização Financeira, Brasília, 2011, 88p. (Série Estudo Técnico). Disponível em: <<http://bd.camara.gov.br/bd/handle/bdcamara/7346>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

SOUZA, Maxiliano D'Avila Cândido de. Medicamentos sem registros e suas consequências. In: SANTOS, René (Org.). **Direito à Saúde**. Brasília: CONASS, 2015. (Coleção Para Entender a Gestão do SUS – 2015). Disponível em: <http://www.conass.org.br/biblioteca/pdf/colecao2015/CONASS-DIREITO_A_SAUDE-ART_8B.pdf>. Acesso em: 11 dez. 2015.

SOUZA, Renilson Rehem de. Políticas e práticas de saúde e equidade. **Revista da Escola de Enfermagem da USP**, v. 41, p. 765-770, dez. 2007. Disponível em: <<http://www.revistas.usp.br/reeusp/article/view/41682>>. Acesso em: 11 dez. 2015.

TAYLOR, Matthew M. O judiciário e as políticas públicas no Brasil. **Dados**, Rio de Janeiro, v.50, n.2, p.229-257, 2007. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0011-52582007000200001&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.

VENTURA, Miriam et al. Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde. **Physis**, Rio de Janeiro, v.20, n.1, p.77-100, jan. 2010. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0103-73312010000100006&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 11 dez. 2015.