

**INSTITUTO DE DIREITO PÚBLICO – IDP
MARIANA FONSECA RIBEIRO CARVALHO DE MORAES**

**A IMPORTÂNCIA DA IMPLEMENTAÇÃO DE UMA POLÍTICA
NACIONAL EFETIVA DE DOENÇAS RARAS**

**BRASÍLIA – DF
2019**

MARIANA FONSECA RIBEIRO CARVALHO DE MORAES

**A IMPORTÂNCIA DA IMPLEMENTAÇÃO DE UMA POLÍTICA
NACIONAL EFETIVA DE DOENÇAS RARAS**

Dissertação apresentada como requisito parcial à obtenção do título de Mestre, Curso de Mestrado em Administração Pública, Instituto de Direito Público –IDP.

Orientador: Alexander Cambraia

BRASÍLIA – DF

2019

MARIANA FONSECA RIBEIRO CARVALHO DE MORAES

**A IMPORTÂNCIA DA IMPLEMENTAÇÃO DE UMA POLÍTICA NACIONAL
EFETIVA DE DOENÇAS RARAS**

Dissertação apresentada como requisito parcial à
obtenção do título de Mestre, Curso de Mestrado
em Administração Pública, Instituto de Direito
Público –IDP.

Brasília, DF – 11 de dezembro de 2019.

Prof. Dr. Alexander Cambraia
Professor Orientador

Membro da Banca Examinadora

Membro da Banca Examinadora

RESUMO

A doença rara é uma dura realidade para o paciente e seus familiares, visto que a atenção devida não lhes é prestada devido à falta de informação, identificação, regulamentação de leis e o alto custo dos medicamentos, também raros. Discutir a doença rara no meio acadêmico e em plenários visa à consolidação de programas voltados para a atenção a esse paciente, que não tem cura, mas que pode ter qualidade de vida. Assim, fez-se necessário analisar o ambiente em que vive esse paciente, o que está sendo feito e o que ainda é necessário fazer para que haja efetividade nos programas de atenção à saúde. Com foco nos objetivos para responder às questões levantadas, recorreu-se à literatura afim, encontros e entrevistas foram realizadas para obtenção de respostas, cujos êxitos superaram as dificuldades encontradas no caminho. Um modelo em desenvolvimento no Estado de São Paulo motiva e ratifica esse estudo, cuja continuação para a implantação de uma Coordenação Nacional para Doenças Raras justifica e ratifica esse trabalho.

Palavras-chave: Doenças Raras. Saúde. Legislação. Medicamentos de Alto Custo.

RESUMEN

La enfermedad rara es una realidad dura para el paciente y sus familias, ya que no se les presta la debida atención debido a la falta de información, identificación, regulación de las leyes y el alto costo de los medicamentos, que también son raros. Discutir la enfermedad rara en la academia y en el plenario tiene como objetivo consolidar programas centrados en el cuidado de este paciente, que no tiene cura, pero que puede tener calidad de vida. Por lo tanto, fue necesario analizar el entorno en el que vive este paciente, lo que se está haciendo y lo que aún se necesita hacer para ser efectivo en los programas de atención médica. Centrándonos en los objetivos para responder las preguntas planteadas, utilizamos la literatura relacionada, se realizaron reuniones y entrevistas para obtener respuestas, cuyos éxitos superaron las dificultades encontradas en el camino. Un modelo en desarrollo en el Estado de São Paulo motiva y ratifica este estudio, cuya continuación para la implementación de una Coordinación Nacional de Enfermedades Raras justifica y ratifica este trabajo.

Palabras clave: Enfermedades Raras. Salud. Legislación. Medicamentos de Alto Costo.

SUMÁRIO

1 INTRODUÇÃO	8
2 DA JUDICIALIZAÇÃO DAS POLÍTICAS PÚBLICAS NO CASO DE DOENÇAS RARAS	11
2.1 DAS POLÍTICAS PÚBLICAS	11
2.1.1 Conceito e contextualização	11
2.1.2 Controle das políticas públicas pelo Poder Judiciário	13
2.2 DAS DOENÇAS RARAS	18
2.2.1 Definição	19
2.2.2 A judicialização das doenças raras	20
3 A REALIDADE DO BRASIL SOB A PERSPECTIVA DAS DOENÇAS RARAS	22
3.1 AS DOENÇAS RARAS NO BRASIL	22
3.2 ENTENDIMENTO DO STF SOBRE O FORNECIMENTO DE MEDICAMENTOS NÃO REGISTRADOS PELA ANVISA	25
3.3 DIREITO COMPARADO	29
3.4 CASOS DE DESTAQUE	32
3.5. EXPECTATIVAS	35
4 PESQUISA EM CAMPO	39
4.1 TRATAMENTO DE DOENÇAS RARAS	39
4.2 OS PODERES PÚBLICOS	45
4.3 A VISÃO DO MINISTÉRIO DA SAÚDE	47
4.3.1 A Reserva do Possível	50
4.4 DEBATES INTERNACIONAIS	53
4.5 PROJETOS DE LEI	55
4.6 PROGRAMA DE DOENÇAS RARAS PELO SUS	62
4.6.1 Alto custo e inviabilidade	66

4.7 EMENDAS PARLAMENTARES	67
4.8 PROPOSIÇÕES E PERSPECTIVAS FUTURAS	69
4.9 ESFORÇOS E DIFICULDADES	70
4.9.1 Esforços Aplicados	70
4.9.2 Dificuldades Encontradas	71
5. CONSIDERAÇÕES FINAIS	73
REFERÊNCIAS	76
APÊNDICES	81
APÊNDICE I	81
APÊNDICE II	88
APÊNDICE III	93
ANEXOS	97
ANEXO I	97
ANEXO II	113
ANEXO III	116

1 INTRODUÇÃO

Os portadores de doenças raras compõem uma parcela da sociedade estimada em 13 milhões de pessoas que necessitam, em geral, em virtude do alto custo dos medicamentos, buscar recursos junto aos poderes públicos para a obtenção da medicação que não cura, mas que lhes proporciona melhorias em seu cotidiano.

Como será explicado ao longo do presente trabalho, a Portaria 199, do Ministério da Saúde, de 30 de janeiro de 2014, em seu Art. 3º, definiu doença rara como aquela que tem incidência menor que 1,3 para cada 2.000 habitantes, que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos.

A ausência de dados, informação bilateral (pacientes e médicos), orientação, estrutura médico-hospitalar e tantos outros fatores, como as dificuldades de acesso a medicamentos e até mesmo acesso ao poder judiciário para o requerimento de atenção e assistência, coloca o paciente com doença rara em uma situação de sobrevida que lhes afeta e a todos em seu entorno, os familiares.

A busca por informações que potencializem o entendimento das questões afins e que sirvam para o beneficiamento desses cidadãos ainda é uma tarefa difícil, visto que há pouca informatização e principalmente banco de dados ou um mapeamento regional para que haja suporte para pesquisas, acompanhamento, identificação de doenças e a prestação da devida assistência médica.

Diante disso, nota-se que a falta de um banco de dados sucedido do mapeamento das doenças raras e dos pacientes que as possuem para que um programa de atenção à saúde sólido possa ser criado, bem como a inexistência de apoio formal e financeiro de secretarias de saúde em âmbito estadual e federal, configuram problemas a serem solucionados para que a promoção do apoio ao portador de doença rara seja estimulado e patrocinado por recursos federais, advindos de emendas parlamentares e leis ratificadas por maioria.

Tendo em vista solucionar essa problemática, uma investigação foi iniciada a partir da observação dos casos levados ao Poder Judiciário, cuja despesa com medicamentos e assistência médica são demasiadamente onerosas aos cofres públicos pela ausência de todo suporte que tornaria a vida desses pacientes menos

dolorosa, bem como, em consequência, promover a redução desses custos com a implementação de programas efetivos de atenção à saúde.

A busca por conceitos e estudos sobre o tema junto à legislação vigente, artigos afins e pareceres jurídicos, assim como observações e proposituras de legisladores, com especialistas e gestores de secretarias de saúde, através de entrevistas estruturadas, fundamentaram os debates e posicionamento deste trabalho, que está sendo apresentado em três capítulos, sendo o primeiro “Da Judicialização das Políticas Públicas no Caso de Doenças Raras”, apresentando a problemática, o segundo “A Realidade do Brasil sob a Perspectiva das Doenças Raras”, tratando de forma empírica o tema e o terceiro “Pesquisa em Campo”, com a apresentação da proposta de mudança possível em território nacional, tendo em vista os modelos existentes em outros países.

O entendimento da doença rara como questão de saúde pública, ao mesmo tempo em que a gestão afim é ponto em discussão e propósito maior desse trabalho, a divulgação de resultados, criação de ferramentas de apoio e elaboração de leis para assegurar o direito desses pacientes, que já têm o direito à saúde garantido por lei maior, informatização e gerenciamento de dados, bem como compartilhamento e acessibilidade aos mesmos pelos envolvidos, o fortalecimento da humanização dessa questão de saúde e promoção do bem estar coletivo justificam a realização desse trabalho, com vistas a fomentar discussões futuras para o aprofundamento de estudos para que o bem desse grupo negligenciado possa ser alcançado com dignidade e humanidade.

Com o apoio de literatura específica, estudos de caso, consulta à legislação vigente e periódicos, entrevistas e aplicação de questionários, buscou-se responder aos seguintes objetivos:

- 1) Analisar a atual estrutura de assistência à saúde do portador de doença rara no sistema de saúde pública nacional, o SUS (Sistema Único de Saúde);
- 2) Identificar as medidas práticas que o atual sistema de saúde pública já aplica ao apoio e tratamento do paciente portador de doença rara;
- 3) Discutir a dificuldade enfrentada por pacientes de doenças raras, familiares e até mesmo o corpo médico em relação à identificação da doença, forma de tratamento e obtenção de medicação apropriada;

- 4) Elencar propostas de melhorias corroboradas por projetos de lei ou emendas constitucionais que assegurem aos pacientes o direito à medicação e sua consequente melhoria em qualidade de vida;
- 5) Caracterizar modelos e estruturas de efetivo funcionamento ao tratamento de doentes e apoio aos familiares, bem como as proposituras legais em vigor, identificando seus pontos fortes e funcionalidade sob o aspecto humano e econômico;
- 6) Fundamentar a necessidade da criação de leis, bancos de dados, universalização de informações e armazenamento e disponibilidade de recursos para a aquisição de equipamentos, informação e demais componentes que permitam o tratamento do paciente com doença rara;
- 7) Explicar as dificuldades e entraves enfrentados por gestores do executivo no trato com a doença rara e suas demandas peculiares, como compra e distribuição de medicamentos, apoio aos sistemas já existentes.

Nesse contexto, o presente trabalho busca evidenciar se existe uma Política Nacional efetiva sobre doenças raras. O que se almeja é a conquista do acesso aos tratamentos de saúde e a consequente redução, ou extinção, do uso do recurso do processo judicial para que os direitos à saúde e à vida sejam garantidos, do mesmo modo que se pretende fomentar as ações legais e de gestão pública em relação ao assunto, presente na sociedade através de seus aproximados 13 milhões de casos.

Como é sabido, só se pode recorrer à força da lei para que os direitos civis sejam respeitados e seus direitos assegurados, e no caso da doença rara, através de demandas judiciais, o que sobrecarrega o terceiro poder e gera dividendos incabíveis à União, colocando em risco a atual estrutura de atendimento à saúde, uma das poucas de custo zero em todo mundo, que é o Sistema Único de Saúde.

No intuito de elucidar objetivos citados, o presente estudo é composto por cinco capítulos: o primeiro, ora apresentado, com breves considerações introdutórias a respeito do trabalho; o segundo, abrangendo o tema da judicialização das políticas públicas no caso das doenças raras; o terceiro, apresentando a realidade do Brasil sob a perspectiva das doenças raras; o quarto, envolvendo as pesquisas realizadas em campo e as discussões a elas pertinentes; e, por fim, o quinto, trazendo as considerações finais do trabalho.

2 DA JUDICIALIZAÇÃO DAS POLÍTICAS PÚBLICAS NO CASO DE DOENÇAS RARAS

Neste capítulo, apresentaremos a judicialização das políticas públicas nos casos de doenças raras. Para tanto, realizaremos uma abordagem sobre as políticas públicas, apresentando o seu conceito e contextualização, bem como o controle das políticas públicas realizado pelo Poder Judiciário.

Em seguida, trataremos especificamente sobre as doenças raras, abordando a sua definição e a questão da judicialização. Neste último caso, será exposto que pela falta de políticas públicas, o Estado acaba por ter gastos elevados, haja vista que o cidadão busca o Poder Judiciário para satisfazer o seu direito.

2.1 DAS POLÍTICAS PÚBLICAS

2.1.1 Conceito e contextualização

As políticas públicas, de acordo com Di Pietro (2019, p. 1.658), "são metas e instrumentos de ação que o Poder Público define para a consecução de interesses públicos que lhe incumbe proteger". Em outras palavras, as políticas públicas, podem ser definidas como ações voltadas para a concretização dos direitos sociais do cidadão.

Este tema - políticas públicas - despertou grande atenção aos juristas a partir do início do século XXI. Pois, nesta época, passou-se a analisar os limites do controle do Poder Judiciário sob a implementação das políticas públicas pelo Estado.

Ocorre que, o estabelecimento de ações e o cumprimento de metas exige um planejamento adequado, além de existência de recursos orçamentários para tanto. Mas os recursos do Estado são finitos e, em consequência disso, não há um montante suficiente para atender todas as demandas da população, especialmente os direitos sociais.

Nesse sentido, Di Pietro (2019, p. 1.660) cita que é uma utopia acreditar que o Estado brasileiro tem possibilidade de cumprir todas as metas estipuladas pela Constituição Federal de 1988 (CF/1988). Vejamos:

O próprio rol dos direitos sociais e a contrapartida dos deveres a serem assumidos pelo Estado na garantia dos direitos já leva a uma conclusão: constitui utopia achar que o Estado brasileiro possui condições de cumprir todas as metas constitucionais e satisfazer a todos os “direitos” dos cidadãos. Por isso mesmo, tais normas sempre foram consideradas programáticas, já que dependem de leis e medidas administrativas para serem concretizadas. Daí a necessidade e importância das políticas públicas: dentre tantas metas postas pela Constituição, as políticas públicas definem as que devem ser atendidas prioritariamente.

Portanto, verifica-se a importância das políticas públicas no cenário brasileiro, visto que define as ações e metas a serem adotadas, priorizando as necessidades da população. Isso porque o interesse público deve sempre visar à satisfação dos interesses da coletividade e a concretização dos princípios constitucionais.

A Constituição Federal, no seu art. 165, menciona três importantes instrumentos para concretização das metas estabelecidas por leis de iniciativa do Poder Executivo, sendo estas: o Plano Plurianual, as Leis de Diretrizes Orçamentárias e as Leis Orçamentárias Anuais. Ressalta-se que algumas diretrizes possuem natureza vinculante, ou seja, devem estar obrigatoriamente nas leis orçamentárias, como por exemplo, a exigência de percentual mínimo de gastos com a educação e a saúde, conforme previsão dos artigos 212 e 198 da CF/1988.

De todo modo, verificado essas diretrizes gerais elencadas na Constituição, caberá ao legislador, em segundo plano, garantir o atendimento sobre esses regramentos. Nessa linha, cita Di Pietro (2019, p. 1.661):

Postas as metas, em termos genéricos, pela Constituição, cabe ao legislador, em segundo plano, discipliná-las de modo a garantir o seu atendimento, por meio dos atos legislativos previstos no artigo 59. Além do Plano Plurianual e da Lei de Diretrizes Orçamentárias, já referidos, outras leis vão sendo promulgadas para áreas específicas. É o caso da Lei nº 10.257, de 10-07-2001 (Estatuto da Cidade), que regulamenta os artigos 182 e 183 da Constituição Federal e estabelece diretrizes gerais da política urbana. É o que consta da Lei nº 6.983, de 31-08-1981, que define a Política Nacional do Meio Ambiente, da Lei nº 9.433, de 8-01-1997, que define a Política Nacional de Recursos Hídricos, da Lei nº 9.478, de 06-08-1997, que dispõe sobre a Política Energética Nacional e as Atividades Relativas ao Monopólio do Petróleo. Por sua vez, na área da saúde, os princípios e diretrizes constam da Lei nº 8.080, de 19-09-1990.

Verifica-se, portanto, que não cabe apenas às leis orçamentárias as metas a serem cumpridas pelo Estado. Isso porque, de acordo com sua área específica, outras leis disciplinam a questão, como por exemplo, a Lei 10.257/01 (Estatuto da

Cidade), a Lei 6.983/81 (Política Nacional do Meio Ambiente), a Lei 9.433/97 (Política Nacional de Recursos Hídricos), dentre outras.

A maioria das leis atribui ao Poder Executivo a competência para complementar e definir as suas políticas públicas, colocando-as em prática. Desse modo, cabe a este poder, por meio do poder discricionário, definir qual medida melhor atenderá o interesse público.

2.1.2 Controle das políticas públicas pelo Poder Judiciário

Os direitos sociais, culturais e econômicos são classificados como direitos de segunda dimensão/geração e, para que este direito seja exercido pelo cidadão, exige-se uma prestação estatal positiva, ou seja, demanda gasto público para a efetivação daquele direito.

Surge, então, de acordo com Lenza (2019, p. 2.045), o dilema entre a efetivação destes direitos, tendo em vista que os recursos financeiros do Estado são finitos. Desta forma, cabe ao Estado decidir quais políticas públicas devem ser implementadas em determinada situação.

Nesse sentido, anotou o Ministro Celso de Mello em seu voto SL 47-AgR/PE no ano de 2010 ao apreciar essa questão dos recursos do Estado:

Essa relação dilemática (...) conduz os Juízes deste Supremo Tribunal a proferir decisão que se projeta no contexto das denominadas 'escolhas trágicas' (GUIDO CALABRESI e PHILIP BOBBITT, *'Tragic Choices'*, 1978, W. W. Norton & Company), que nada mais exprimem senão o estado de tensão dialética entre a necessidade estatal de tornar concretas e reais as ações e prestações de saúde em favor das pessoas, de um lado, e as dificuldades governamentais de viabilizar a alocação de recursos financeiros, sempre tão dramaticamente escassos, de outro (voto — SL 47-AgR/PE, j. 17.03.2010).

Desta forma, é possível verificar, de um lado, a dificuldade do Estado em viabilizar aquele direito, por ausência de recursos financeiros e, de outro, a necessidade do cidadão em ter aquela política pública efetivada.

Nesse cenário, diante da inexistência do direito, surge ao cidadão uma necessidade de procurar o Poder Judiciário para prestação de sua tutela jurisdicional. Assim, importantes decisões nos últimos anos foram proferidas pelo judiciário no sentido de controle e intervenção das políticas públicas do Estado,

especialmente quando se deparam com a inércia estatal injustificável ou a prática abusiva adotada pelo Poder Público.

Nesse sentido, cita-se a ementa da Ação de Descumprimento de Preceito Fundamental 45 MC/DF:

EMENTA: Arguição de descumprimento de preceito fundamental. A questão da legitimidade constitucional do controle e da intervenção do Poder Judiciário em tema de implementação de políticas públicas, quando configurada hipótese de abusividade governamental. Dimensão política da jurisdição constitucional atribuída ao Supremo Tribunal Federal. Inoponibilidade do arbítrio estatal à efetivação dos direitos sociais, econômicos e culturais. Caráter relativo da liberdade de conformação do legislador. Considerações em torno da cláusula da 'reserva do possível'. Necessidade de preservação, em favor dos indivíduos, da integridade e da intangibilidade do núcleo consubstanciador do 'mínimo existencial'. Viabilidade instrumental da arguição de descumprimento no processo de concretização das liberdades positivas (direitos constitucionais de segunda geração).

Com relação ao fornecimento de medicamentos não previstos na lista do SUS, ou ao custeamento do Estado pelo tratamento de saúde do cidadão, buscando a sobrevida e melhora na qualidade de vida do paciente, de acordo com Lenza (2019, p. 2.050), o “Supremo Tribunal Federal vem proferindo decisões de modo a garantir o direito à saúde ao cidadão”.

Nesse sentido, segue o RE 271.286-AgR de relatoria do Ministro Celso de Melo:

O direito público subjetivo à saúde representa prerrogativa jurídica indisponível assegurada à generalidade das pessoas pela própria Constituição da República (art. 196). Traduz bem jurídico constitucionalmente tutelado, por cuja integridade deve velar, de maneira responsável, o Poder Público, a quem incumbe formular — e implementar — políticas sociais e econômicas idôneas que visem a garantir, aos cidadãos, inclusive àqueles portadores do vírus HIV, o acesso universal e igualitário à assistência farmacêutica e médico-hospitalar. O direito à saúde — além de qualificar-se como direito fundamental que assiste a todas as pessoas — representa consequência constitucional indissociável do direito à vida. O Poder Público, qualquer que seja a esfera institucional de sua atuação no plano da organização federativa brasileira, não pode mostrar-se indiferente ao problema da saúde da população, sob pena de incidir, ainda que por censurável omissão, em grave comportamento inconstitucional. A interpretação da norma programática não pode transformá-la em promessa constitucional insequente. O caráter programático da regra inscrita no art. 196 da Carta Política — que tem por destinatários todos os entes políticos que compõem, no plano institucional, a organização federativa do Estado brasileiro — não pode converter-se em promessa constitucional insequente, sob pena de o Poder Público, fraudando justas expectativas nele depositadas pela coletividade, substituir, de maneira ilegítima, o cumprimento de seu impostergável dever, por um gesto irresponsável de

infidelidade governamental ao que determina a própria Lei Fundamental do Estado (...)”. (RE 271.286-AgR, Rel. Min. Celso de Mello, j. 12.09.2000, 2.ª Turma, DJ de 24.11.2000).

Constata-se, por meio das respostas judiciais e governamentais para o enfrentamento da judicialização da saúde, que este é um processo que não apenas vem ganhando uma dimensão importante para o sistema público de saúde, mas também vem representando um desafio para nosso sistema de justiça, que precisou promover uma reengenharia institucional para manejá-lo (OLIVEIRA, 2019, p. 186).

Entretanto, conforme aponta Lenza (2019, p. 2.052), deve-se ter atenção especial à chamada judicialização da saúde. Isso porque, atualmente, tramitam no Supremo algumas ações que ainda estão pendentes de julgamento. Vejamos, por exemplo, o RE 566.471:

RE 566.471: recurso extraordinário em que se discute, à luz dos arts. 2º; 5º; 6º; 196; e 198, §§ 1º e 2º, da Constituição Federal, a obrigatoriedade, ou não, de o Estado fornecer medicamento de alto custo a portador de doença grave que não possui condições financeiras para comprá-lo.

Cabe ressaltar que, recentemente, o Superior Tribunal de Justiça estabeleceu alguns critérios para concessão de tutela judicial no fornecimento de medicamentos que não integram as listas oficiais do Sistema Único de Saúde (SUS). A decisão foi proferida no julgamento do Recurso Especial 1.657.156, em 25 de abril de 2018, em que ficou definido que o Estado é obrigado a fornecer medicamentos que estejam fora das listas do SUS, desde que estejam presentes três requisitos, cumulativamente: i) laudo médico que afirme que o medicamento é necessário; ii) alegação de incapacidade financeira do usuário; iii) existência de registro do medicamento na Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA.

Neste ponto, cabe destacar que ao Poder Judiciário não cabe a definição nem implementação de políticas públicas, seu papel é apenas de controlar a constitucionalidade e legalidade de leis e atos administrativos pertinentes às políticas públicas, inclusive quando se trata de omissões.

Entretanto, atualmente o Judiciário vem interferindo nas políticas públicas definidas pelos poderes competentes. Assim, Di Pietro (2019, p. 1.661) diz que

"parte da doutrina defende essa possibilidade, colocando em xeque a forma de aplicação do princípio da separação de poderes".

Em razão disso, de um lado tem o dever constitucional de atender as suas imposições e, de outro, encontra-se a escassez dos recursos públicos para atender a todos esses direitos. Surge, então, o princípio da reserva do possível que, segundo Di Pietro (2019, p. 1.662), é oriundo do direito alemão e significa que "os deveres estatais, impostos pelo ordenamento jurídico, devem ser cumpridos na medida em que o permitam os recursos públicos disponíveis".

Di Pietro (2019, p. 1.662), entende e descreve que não cabe ao Poder Judiciário interferir de forma extrema nas políticas públicas, tendo em vista que essa competência é do Poder Público. Vejamos:

Rigorosamente, não pode o Judiciário interferir em políticas públicas, naquilo que a sua definição envolver aspectos de discricionariedade legislativa ou administrativa. O cumprimento das metas constitucionais exige planejamento e exige destinação orçamentária de recursos públicos. Estes são finitos. Não existem em quantidade suficiente para atender a todos os direitos nas áreas social e econômica. Essa definição está fora das atribuições constitucionais do Poder Judiciário. Este pode corrigir ilegalidades e inconstitucionalidades, quando acionado pelas medidas judiciais previstas no ordenamento jurídico, mas não pode substituir as escolhas feitas pelos poderes competentes.

No entanto, o Poder Judiciário vem interferindo, direta ou indiretamente, na formulação das políticas públicas. É o que se considera a judicialização das políticas públicas, o que ocasiona o aumento de gastos na prestação daquele direito ao cidadão.

De acordo com Mazza & Mendes (2014:48),

O STF tem entendido, em grande parte dos seus julgados, que o direito à saúde é um direito individual e que pode ser gozado individualmente por cada indivíduo. No entanto, aceitar que somente uma pessoa ou determinado grupo tenha direito à saúde pelo fato de tê-lo alcançado por vias jurídicas não implementa o direito à saúde conforme a Constituição. Ao contrário, agindo assim atribui-se o requerido direito somente aos que tiveram acesso ao Poder Judiciário e àquela decisão.

Por fim, vale mencionar como um aspecto negativo os impactos financeiros gerados pela não observância, pelo Judiciário, do princípio federativo do SUS. Esta questão, pouco explorada pela literatura, foi discutida por Wang e colaboradores

(2015), ao analisarem o caso dos impactos financeiros da judicialização no orçamento da saúde no município de São Paulo. Segundo os autores, os juízes tendem a desconsiderar o impacto orçamentário de suas decisões e, ainda, entendem que os três níveis governamentais devem ser igualmente responsabilizados pelo fornecimento de qualquer tipo de medicamento, independentemente da divisão de responsabilidades entre os entes federados na estrutura de gestão do SUS. A não observância do princípio federativo do SUS pelo Judiciário, portanto, tende a impactar sobremaneira os governos municipais, que não são os gestores responsáveis por medicamento de mais alto custo.

Vários fatores são responsáveis por essa judicialização, podemos citar, por exemplo, a inércia do Poder Público, sua ineficiência no planejamento, corrupção, desvio de finalidade nas prioridades, dentre outras. E nesse viés, o judiciário prejudica o planejamento orçamentário, aspecto negativo salientado nos estudos sobre o tema.

Um aspecto negativo salientado nos estudos sobre o tema é a não observância, pelo Judiciário, do planejamento orçamentário elaborado pelos Legislativos e pelos Executivos, necessário para o cumprimento das exigências legais estabelecidas pela Lei de Responsabilidade Fiscal (LRF) (MAZZA & MENDES, 2014). De acordo com tais análises, a desatenção em relação à questão do planejamento orçamentário pelas cortes, inclusive pelo STF, pode prejudicar toda a política de saúde, tornando-a insustentável e, conseqüentemente, inviabilizando a garantia desse direito. Ademais, pode-se assim levar os gestores públicos a uma situação de impasse legal: ou descumpre-se a decisão judicial, ou comete-se um crime de responsabilidade ou um crime contra a administração pública (MAZZA & MENDES, 2014).

Contudo, conforme apresenta Di Pietro (2019, p. 1.663), essa interferência do Poder Judiciário na implementação de políticas públicas tem ganhado bastante força, com base nos argumentos extraídos da Constituição Federal.

Alega-se que, ao interferir em políticas públicas, o Judiciário não está invadindo matéria de competência dos outros Poderes do Estado, nem a discricionariedade que lhes é própria, porque está fazendo o seu papel de intérprete da Constituição. Ele está garantindo o núcleo essencial dos direitos fundamentais ou o mínimo existencial indispensável para a dignidade da pessoa humana. Tratando-se de mínimo existencial, alega-se que as normas constitucionais que o garantem não são meramente programáticas (como sempre se entendeu em relação aos dispositivos

garantidores dos direitos sociais), mas, ao contrário, têm eficácia imediata, não dependendo de medidas legislativas ou administrativas para a sua implementação. Em decorrência disso, a omissão do Poder Público, afrontando metas constitucionais, pode ser corrigida pelo Poder Judiciário, quando provocado pelos interessados ou por órgãos de defesa de interesses coletivos, dentre os quais o Ministério Público. Em resumo, alega-se que o Judiciário não estaria analisando aspectos de discricionariedade, mas fazendo cumprir a Constituição. Para defender as normas garantidoras dos direitos sociais.

Apesar destes argumentos a favor e contra sobre a atuação do Poder Judiciário na concretização das políticas públicas, o fato é que, com essa judicialização, os gastos da implementação daquela política aumentam bastante, podendo chegar, por exemplo, a elevação de três vezes o valor de um remédio ou tratamento.

Enfim, Judiciário, Executivo e Legislativo, além do Ministério Público, Defensoria Pública e uma série de atores sociais não estatais foram mobilizados e envolvidos nesse tipo de judicialização, gerando respostas diversas: demandas sociais e garantia de direitos; novas estruturas institucionais, recursos e políticas públicas; relações intergovernamentais e institucionais (OLIVEIRA, 2019, p. 178).

2.2 DAS DOENÇAS RARAS

Atualmente, o estudo que é realizado sobre as doenças raras ainda é limitado, tendo em vista a sua própria característica, isto é, sua raridade. Nesse sentido, Clark e Clark (2013, p. 3) citam que:

Como estudar em profundidade patologias como a Síndrome de AbruZZo-Erickson, com prevalência inferior a um por milhão ou a Doença de Pelizaeus-Merzbacher, que atinge apenas 9 por milhão? Mesmo as mais “comuns” entre as doenças raras ainda têm taxas de prevalência que tornam desafiador o processo de agrupar um grande número de pacientes.

Desta forma, as dificuldades para esse tipo de doença são enormes, tendo em vista que, não raras vezes, os pacientes ficam durante anos sem sequer saber o seu diagnóstico pela falta de especialista na área e investimentos por parte do Poder Público.

Apesar disso, verifica-se um aumento de publicações científicas nessa área nos últimos anos, o que demonstra um caminho a ser seguido. Isso porque, de

acordo com a base de dados do Pubmed, mais de 80 mil artigos publicados citam no seu contexto as doenças raras. Assim, Clark e Clark (2013, p. 4) citam que "na década de 1990 foram publicados 16 mil artigos sobre o tema, nos dez anos seguintes este número saltou para 32 mil".

2.2.1 Definição

No mundo existem aproximadamente 7.000 doenças consideradas raras, no entanto, até o momento, não existe um conceito para a expressão "doença rara". Tais doenças são caracterizadas por sua reduzida aparição na população.

Ressalta-se que, na maioria dos países, para se classificar uma doença como rara, utiliza-se um número de corte na taxa de prevalência. Desta maneira, Clark e Clark (2013, p. 7) afirmam que:

Na União Europeia (UE), doenças raras são consideradas potencialmente fatais ou cronicamente debilitantes, com uma prevalência menor do que 5:10.000 e que demandam esforços combinados entre várias áreas para prevenir a morbimortalidade significativa ou a redução considerável da qualidade de vida ou do potencial socioeconômico do paciente. Estima-se que o número de pacientes afetados na UE seja próximo a 36 milhões. Nos Estados Unidos, o *OrphanDrugAct* de 1983 define doença rara como qualquer doença ou condição que afete menos de 200 mil pessoas no país. No Japão, pela definição do *Japanese Medicines Act* de 1993, uma doença rara não pode afetar mais do que 50 mil pessoas no país.

Com a edição da Portaria 199, de 30 de janeiro de 2014, em seu Art. 3º, o Ministério da Saúde passou a definir doença rara como aquela que tem incidência menor que 1,3 para cada 2.000 habitantes, que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos.

Cabe fazer um alerta sobre a diferença entre as doenças raras e as doenças negligenciadas. Na primeira, sua denominação decorre da baixa prevalência na população, enquanto as doenças negligenciadas se referem às doenças tropicais, ou seja, aquelas conhecidas do país ou da região que atingem a população de baixa renda. Como exemplo, temos o mal de Chagas, a Hanseníase e outras endemias causadas por agentes infecciosos e parasitários.

2.2.2 A judicialização das doenças raras

Conforme vimos neste capítulo, a judicialização ocorre quando o cidadão busca o Poder Judiciário para obter o provimento de um direito que não é cumprido pelo Poder Público. Assim, caso um cidadão seja diagnosticado com alguma doença rara e não tenha condições de arcar com o tratamento e remédios, este irá procurar o Estado para que lhe ofereça condições para permanecer com sua vida. Caso este pleito não seja aceito pelo Estado, o Poder Judiciário será acionado para a apreciação deste conflito.

Ocorre que essa judicialização gera gastos desnecessários para o Estado. Isso porque o gasto com o tratamento e o remédio aumenta consideravelmente quando a questão é judicializada. Desse modo, entende-se que deve ser implantada uma política pública econômica, traçando ações, metas e diretrizes para o atendimento das pessoas com doenças raras.

Contudo, apenas citando de forma breve, pois isso será aprofundado no próximo capítulo, as políticas públicas voltadas para as doenças raras são mínimas. Nesse sentido, Vital (2016) exemplifica citando Salmo Raskim, especialista em genética e professor do curso de Medicina da Pontifícia Universidade Católica do Paraná (PUC-PR), em audiência pública da Comissão de Seguridade Social e Família da Câmara dos Deputados, que assim se manifestou: “O número de casos destas doenças equivale ao de diabetes e de asma. E 75% delas afetam crianças. São crônicas, graves, degenerativas, há pouco conhecimento médico e desinteresse completo da indústria farmacêutica”.

Prosseguiu dizendo que:

As dificuldades burocráticas e o desinteresse desestimulam laboratórios estrangeiros a fornecerem medicamentos experimentais para este público no Brasil. Pacientes brasileiros não terão acesso a esses medicamentos porque a indústria tem que procurar a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Atualmente empresas estrangeiras, com tudo o que está acontecendo no Brasil, não têm interesse em vir.

Nesse sentido, a Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa (Interfarma), em seu artigo publicado em março de 2013 sobre as doenças raras e suas contribuições para uma Política nacional, asseverou que:

Em torno de 80% das doenças raras têm origem genética. O restante decorre de infecções bacterianas e virais, alergias, ou causas degenerativas. A maioria das doenças raras (75%) se manifesta no início da vida e afeta, sobretudo, crianças de 0 a 5 anos. Elas contribuem ainda significativamente para a morbimortalidade nos primeiros 18 anos de vida.

Vital (2016) ainda dispôs que:

No complexo universo das doenças raras, existem pelo menos três diferentes situações que devem ser contempladas em qualquer política de saúde: 95% não possuem tratamento e demandam serviços especializados de reabilitação que promovam a melhoria da qualidade de vida dos pacientes.

Diante disso, percebe-se que o Poder Público deve dar maior atenção para esses casos. Pois, mostra-se evidente a necessidade de buscar uma política pública assistencial a essas pessoas vulneráveis. Ademais, essa atuação preventiva evita gastos com a judicialização do caso.

É importante ressaltar que a interferência do Poder Judiciário não resolve este problema, apenas faz com que o Poder Público eleve os seus gastos com aquele caso. Por isso, o Estado deve adotar medidas necessárias para a concretização destes direitos, a fim de garanti-los aos cidadãos.

Sabe-se que o Estado não tem como garantir todos os direitos previstos na Constituição aos cidadãos, pois os recursos são escassos, o que inviabiliza o atendimento a todos os direitos. Contudo, o mínimo existencial deve ser garantido pelo Poder Público através de ações, diretrizes e metas, sendo possível agir preventivamente quanto a este problema, não sendo necessário que esta questão seja judicializada. Com essa atuação, vislumbra-se uma economia nos gastos públicos, podendo, com isso, atender uma maior quantidade de pessoas.

Assim, no próximo capítulo iremos apresentar a realidade do Brasil sobre a perspectiva das doenças raras. Desse modo, demonstraremos as estatísticas e variáveis deste tema, bem como comparações entre estados e países.

3 A REALIDADE DO BRASIL SOB A PERSPECTIVA DAS DOENÇAS RARAS

Doenças Raras é um tema fundamental para a concretização do direito à saúde do cidadão. Assim, em razão da raridade dessas doenças, sua aparição é reduzida e atinge apenas uma minoria da população. Em razão disso seus gastos com medicamentos são mais elevados que uma doença comum.

Por isso, neste segundo capítulo, apresentaremos a realidade do Brasil no tocante às doenças raras. Além de detalhar a recente decisão do STF sobre o fornecimento pelo Estado de medicamentos que não tenham registro da Agência Nacional de Vigilância Sanitária.

Em seguida, faremos um estudo das doenças raras sob o enfoque do direito comparado, analisando os modelos de alguns países. E, por fim, realizaremos uma abordagem sobre as expectativas para as doenças raras, analisando as estruturas ou treinamentos para a problemática de falta de políticas públicas para estas doenças.

3.1 AS DOENÇAS RARAS NO BRASIL

Os estudos relacionados com doenças raras têm ganhado cada vez mais espaço no contexto social. Segundo Barbosa (2015, p. 58), uma das possíveis explicações para este crescimento está relacionada com o impacto das associações civis de doenças raras na sociedade. Pois, por meio destas, ocorreu um avanço nas pesquisas genéticas que culminaram na descoberta de tratamentos para doenças consideradas incuráveis.

No passado, muitos pacientes com doenças raras não tinham sequer o diagnóstico da doença. Atualmente, com o avanço da tecnologia e o conhecimento entre os profissionais da saúde, os pacientes já conseguem um diagnóstico e um caminho para o seu tratamento.

O *boom* da Aids em todo mundo, chegando ao Brasil nos anos de 1980, chamou a atenção da medicina, que aprofundou-se em estudos. Aos doentes, coube buscar informação e apoio junto ao Estado para a efetivação de tratamentos (o que se tinha na época). Dos anos de 1990 até o ano 2000 muitos pedidos judiciais foram impetrados e concedidos para o tratamento desta doença.

As pesquisas de Oliveira (2019, p. 179) identificaram que, enquanto em 2002 houve cerca de setenta decisões judiciais envolvendo esse tipo de pedido, em 2003, o número caiu para menos de vinte e, em 2006, zerou (banco de sentenças analisado pelos autores), demonstrando como o recurso ao sistema de justiça foi uma via importante para a institucionalização da política pública que garantia o tratamento universal à Aids, e deixou de ser necessário quando o direito foi garantido de maneira universal e gratuita pelo Estado.

No entanto, no Brasil, ainda há muitos obstáculos para esses acessos, haja vista a precariedade na definição do diagnóstico e a falta de política pública no tocante ao tratamento da doença rara. É evidente que um diagnóstico precoce e um tratamento adequado estabelecem a qualidade de vida ao paciente e sua família, tanto no caso do HIV quanto nas DRs.

Em São Paulo, por exemplo, um dos grandes problemas é a falta de informatização do atendimento e assistência aos pacientes portadores de doenças raras. Contudo, este Estado, tem realizado um mapeamento de pessoas que possuem a mesma doença rara, para se obter um maior desconto na compra dos medicamentos. Isso porque, ao invés de comprar apenas um medicamento para determinada pessoa, realiza-se o mapeamento das pessoas que possuem a doença e efetivam a compra em maior quantidade, conseguindo um desconto considerável.

Ocorre que, no Brasil, na maioria dos casos, o cidadão busca o poder judiciário para que o seu direito à saúde seja respeitado. Pois, conforme vimos, esse campo de atuação é recente e merece um investimento por parte do Poder Público para que se efetive esse direito. Entretanto, a maioria dos medicamentos que são requeridos pelo cidadão em uma demanda judicial, não possui registro na ANVISA, o que gera consequências indesejadas.

A falta de registro na ANVISA ocasiona uma extrema desorganização financeira e administrativa dos entes federativos, haja vista que os valores envolvidos para o fornecimento do medicamento não constam nos seus orçamentos, devendo ser realizados contingenciamentos para que a decisão judicial seja cumprida.

Não deixa de ser relevante, nesse processo, o tempo de incorporação dos medicamentos pela rede pública de saúde, ainda que a relação entre tempo de incorporação e judicialização não seja linear, ao menos no caso dos antirretrovirais (Salazar, Grou & Scheffer, 2008 *apud* Oliveira, 2019, p. 179): a judicialização

depende de outras variáveis além da não incorporação dos medicamentos pela rede pública, embora exista alguma relação entre essas variáveis. Conforme lembram os autores, outra questão que deve ser levada em consideração é a estratégia adotada pelos laboratórios farmacêuticos que detêm as patentes e podem gerar o aumento da demanda judicial por tais medicamentos, pressionando assim a sua incorporação pelo sistema público.

Outra questão prejudicial está relacionada com a escassez de recursos do ente federativo, tendo em vista que os gastos para a compra de medicamentos não registrados na Agência são realizados em prejuízo do atendimento de outras demandas prioritárias, afetando a saúde dessas outras pessoas que necessitam do atendimento.

Em alguns casos, o valor utilizado para o tratamento de apenas um cidadão poderia servir para o atendimento de saúde a centenas e até milhares de pessoas. Nessa linha, o Ministro Barroso no julgamento sobre a concessão de medicamentos não registrados na ANVISA, salientou que: “Por vezes, o valor que é utilizado para custear o tratamento de um único paciente poderia ser aplicado para conferir atendimento de saúde a centenas e até milhares de pessoas”.

Ademais, a falta de autorização da Agência incentiva a atuação de empresas farmacêuticas oportunistas. Pois, especialmente no caso de doenças raras, as empresas podem concluir ser mais interessante instituir um mercado paralelo para o fornecimento desses medicamentos no Brasil – pela via judicial –, haja vista que ficaram isentas dos elevados custos envolvidos no processo de registro, bem como do controle de preços praticados. Ou seja, ao final do processo judicial, caso o Estado seja condenado a fornecer o tratamento ao paciente, este deverá cumprir a decisão judicial com base no preço definido de forma unilateral pelo fornecedor do fármaco.

O Ministro Barroso citou um exemplo que justifica a afirmação acima mencionada:

Um exemplo interessante é o do Soliris (princípio ativo eculizumabe), indicado para o tratamento de uma forma rara de anemia, a Hemoglobinúria Proxística Noturna (HPN). A administração do medicamento a um paciente custa cerca de R\$ 1 milhão ao ano, sendo considerado o tratamento mais caro do mundo. E o fármaco não é capaz de curá-lo, mas apenas aumentar sua qualidade de vida. Somente em 2012 a União despendeu cerca de R\$ 20,9 milhões com o medicamento para o atendimento de pouco mais de 20 pacientes. O que não se costuma mencionar é que a empresa fabricante do

Soliris sequer solicitou o registro perante a ANVISA. E por que não o fez, embora se estime que mais de 5 mil pessoas sejam portadoras da doença no Brasil? A possibilidade de venda do medicamento não registrado no país via decisões judiciais pode inclusive ser mais vantajosa, pois permite que a empresa não se submeta à legislação brasileira, nem ao controle de preços que é realizado pela agência regulaREde. Ao deferir o medicamento, o Poder Judiciário também não leva em consideração que há alternativas terapêuticas, paliativas e curativas, custeadas pelo SUS. Por fim, há inclusive parecer do Departamento de Ciência e Tecnologia do Ministério da Saúde – DECIT-MS que questiona a própria segurança e eficácia do medicamento, à luz da medicina baseada em evidências, apontando que há “limitações de evidência de eficácia” e “escassez de dados de segurança”, uma vez que o Soliris (eculizumabe) favorece “o surgimento de doenças infecciosas/virais importantes”.

Portanto, verifica-se que a determinação judicial de fornecimento de fármacos não registrados na ANVISA deve ser como regra, incabível. A interferência do Poder Judiciário deveria se legitimar apenas em um contexto de deficiência estrutural e sistêmica do procedimento de registro dos novos medicamentos. Assim, somente diante de uma mora administrativa irrazoável, estaria justificada a intervenção do Judiciário nessas políticas públicas, visando garantir a normatividade e efetividade das disposições constitucionais relacionadas ao direito à saúde.

3.2 ENTENDIMENTO DO STF SOBRE O FORNECIMENTO DE MEDICAMENTOS NÃO REGISTRADOS PELA ANVISA

O Supremo Tribunal Federal, no dia 22 de maio de 2019, decidiu que o Estado não está obrigado a fornecer medicamentos que não tenham registro da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), salvo quando se tratar de casos excepcionalíssimos. Na decisão, o plenário da Corte estabeleceu que não cabe ao Poder Judiciário a concessão de medicamento experimental ao paciente.

Para melhor elucidação deste tema, realizaremos uma abordagem sobre o caso que ensejou a repercussão geral. Inicialmente, uma mulher interpôs recurso contra o Estado de Minas Gerais, pois segundo o acórdão, se o medicamento indicado pelo médico não possui registro na ANVISA, não há como exigir do Estado o fornecimento deste medicamento, tendo em vista que implicitamente está proibida a sua comercialização.

Contudo, a recorrente alegou que a falta de medicamento prescrito poderia causar danos irreparáveis à sua saúde. Alegou ainda que a ausência de registro não se confunde com a vedação de importação do remédio.

Por tais razões, o plenário do Supremo Tribunal Federal, em 2016, começou a julgar o caso. Nessa ocasião, o relator, Ministro Marco Aurélio, negou provimento ao recurso, pois entendeu que o posicionamento adotado em segunda instância era correto, ou seja, o Estado não estava obrigado a fornecer medicamentos não registrados pela agência reguladora.

O Ministro Roberto Barroso votou pelo parcial provimento do recurso, determinando o fornecimento do medicamento. Isso porque, no decorrer da ação, o remédio foi registrado pela ANVISA e incorporado ao SUS. Dessa maneira, o Ministro entendeu que, como regra geral, o Estado não poderia ser obrigado por decisão judicial a fornecer medicamentos que não estejam registrados pela Agência. Pois, de acordo com o Ministro, esse registro na agência reguladora constitui saúde pública, disciplinando sobre a qualidade e segurança dos medicamentos comercializados no Brasil, garantindo, inclusive, o controle de preços.

O Ministro Edson Fachin, votou pelo total provimento do recurso. Segundo este Ministro, durante o trâmite da demanda, o remédio passou a ser registrado na Anvisa e incluído na política de assistência à saúde (SUS). Contudo, o falecido Ministro Teori Zavascki, naquela época (2016), pediu vista dos autos.

Em seguida, durante o trâmite do processo, a recorrente veio a falecer. Com isso, o Ministro Marco Aurélio julgou extinto o recurso extraordinário. Diante dessa decisão do Ministro, a Defensoria Pública da União (DPU), interpôs Agravo Regimental. O Defensor Público – Gustavo de Almeida Ribeiro – alegou que era válido o prosseguimento do processo, tendo em vista que o julgamento deste caso iria além deste caso em específico, devendo atribuir a este, a fixação de tese geral.

Nesse sentido, cito o entendimento da Defensoria Pública da União:

A importância do julgamento vai além do caso concreto subjacente, sendo relevante a fixação de tese geral. São duas, portanto, as fortes razões que justificam o provimento do presente agravo, com o prosseguimento da análise do apelo excepcional. Em primeiro lugar, a relevância do tema em discussão, que não atingiria apenas a autora. Aliás, o medicamento por ela postulado já se encontrava registrado na ANVISA pelo que o objeto da ação, quanto ao pleito autoral, já tinha se esgotado – situação há muito informada nos autos.

Prossegue dispondo que:

A matéria transcende o mero interesse das partes, sendo relevante sua análise. Aliás, saúde é um bem urgente, pelo que qualquer demora poderá

causar o mesmo deslinde ocorrido neste caso. Além disso, como demonstra o longo trâmite processual, o recomeço, com possíveis novas sustentações orais, novos votos, caso seja escolhido novo processo, significará demora ainda maior na apreciação do tema. Assim, como para a fixação da tese a ser aplicada em casos semelhantes, o processo em análise continua perfeitamente adequado, tal como ocorreu nos precedentes acima colacionados ele deve ser preservado em homenagem à celeridade. Interessa a todos os que necessitam de medicamentos a rápida solução do feito para que possam, em havendo resultado favorável, no que acredita a Defensoria Pública, buscar seus fármacos de forma mais breve possível.

Diante disso, o Plenário, por maioria, deu provimento ao agravo interposto pela DPU, reconhecendo o caráter geral do tema, ou seja, a obrigatoriedade ou não do Estado fornecer medicamentos sem registro na ANVISA.

Desta forma, o julgamento prosseguiu e o Ministro Alexandre de Moraes, seguindo o Ministro Barroso, se posicionou no sentido de que o Estado não pode ser obrigado a fornecer o medicamento sem o registro da agência sanitária. Segundo este Ministro, a competência da agência reguladora é muito importante ao selecionar estes medicamentos, pois visa à qualidade e segurança do paciente.

De acordo com Moraes, os magistrados estariam autorizados apenas em determinar que a ANVISA avalie a possibilidade de registro do medicamento no prazo estabelecido pela Lei 13.411/16. O Ministro asseverou que a tutela judicial neste caso, estaria autorizada apenas quando não se tivesse resposta administrativa no prazo estipulado pela Lei. Além disso, os casos autorizados para a concessão do medicamento seriam nas situações de doenças raras ou ultrarraras.

Os Ministros Gilmar Mendes, Luiz Fux, Ricardo Lewandowski, Cármen Lúcia e Rosa Weber acompanharam o voto de parcial provimento do Ministro Barroso. Já o Ministro Edson Fachin reajustou seu voto para dar provimento parcial ao recurso. No entanto, manteve seu entendimento de que o Estado tem o dever de fornecer o medicamento ao cidadão, cabendo ao Poder Público fixar os parâmetros para que esse fornecimento seja garantido.

O Ministro Dias Toffoli desproveu integralmente o recurso, seguindo o Ministro Relator Marco Aurélio. Segundo o Ministro, o registro é uma forma de o Estado contribuir para a própria garantia do direito à vida e à saúde. Por isso, o registro é fundamental, inclusive para regulamentar o preço. De acordo com o Ministro, existem laboratórios que não pedem o registro perante a agência, justamente para não se submeter à regulamentação de preços.

Nesse sentido, cito a decisão da Corte:

EMENTA: DIREITO CONSTITUCIONAL. RECURSO EXTRAORDINÁRIO COM REPERCUSSÃO GERAL. MEDICAMENTOS NÃO REGISTRADOS NA ANVISA. IMPOSSIBILIDADE DE DISPENSAÇÃO POR DECISÃO JUDICIAL, SALVO MORA IRRAZOÁVEL NA APRECIÇÃO DO PEDIDO DE REGISTRO.

1. Como regra geral, o Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos não registrados na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) por decisão judicial. O registro na ANVISA constitui proteção à saúde pública, atestando a eficácia, segurança e qualidade dos fármacos comercializados no país, além de garantir o devido controle de preços.

2. No caso de medicamentos experimentais, i.e., sem comprovação científica de eficácia e segurança, e ainda em fase de pesquisas e testes, não há nenhuma hipótese em que o Poder Judiciário possa obrigar o Estado a fornecê-los. Isso, é claro, não interfere com a dispensação desses fármacos no âmbito de programas de testes clínicos, acesso expandido ou de uso compassivo, sempre nos termos da regulamentação aplicável.

3. No caso de medicamentos com eficácia e segurança comprovadas e testes concluídos, mas ainda sem registro na ANVISA, o seu fornecimento por decisão judicial assume caráter absolutamente excepcional e somente poderá ocorrer em uma hipótese: a de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016). Ainda nesse caso, porém, será preciso que haja prova do preenchimento cumulativo de três requisitos. São eles: (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras); (ii) a existência de registro do medicamento pleiteado em renomadas agências de regulação no exterior (e.g., EUA, União Europeia e Japão); e (iii) a inexistência de substituto terapêutico registrado na ANVISA. Ademais, tendo em vista que o pressuposto básico da obrigação estatal é a mora da agência, as ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União.

4. Provimento parcial do recurso extraordinário, apenas para o fim de determinar o fornecimento do medicamento pleiteado, tendo em vista que, no curso da ação, este foi registrado perante a ANVISA e incorporado pelo SUS para dispensação gratuita. Afirmação, em repercussão geral, da seguinte tese: “1. O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais. 2. A ausência de registro na Anvisa impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial. 3. É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido de registro (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos: (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras); (ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e (iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil. 4. As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa deverão necessariamente ser propostas em face da União”.

Percebe-se, de acordo com a decisão, que a Suprema Corte, por maioria dos votos, seguindo o voto do Ministro Roberto Barroso, fixou a seguinte tese:

- a) O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais.
- b) A ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial.
- c) É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:
 - (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras);
 - (ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e
 - (iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.
- d) As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União.

3.3 DIREITO COMPARADO

Cada país estuda e analisa de forma diferente as doenças raras. Isso porque existe uma diversidade na aplicabilidade prática das políticas públicas, ocasionando diferenças de um país para o outro. De acordo com Moura (2013, p. 37), "em alguns países da União Europeia, Estados Unidos e Japão, esta temática tem evoluído e contribuído para avanços nos diagnósticos, tratamento e assistência em geral".

Segundo Ramalle-Gõmara *et al.* (2015, p. 199), o conhecimento dos profissionais sobre as doenças raras ainda é escasso. Isso porque, na Espanha, por volta de 234 estudantes da área de saúde foram questionados sobre as doenças raras e, com base neste questionamento, somente 25% conheciam sobre essas doenças e seus tratamentos. Além disso, ficou evidente a falta de experiência dos médicos residentes em diagnosticar e tratar tais doenças.

Diante disso, verifica-se que este problema do diagnóstico precoce não assombra somente o Brasil, mas também outros países. Fato é que mesmo com o recente diagnóstico das doenças raras, a criança passa por um atendimento

desigual, haja vista a falta de tecnologia e conhecimento para o seu tratamento. Por isso, acabam não tendo um tratamento eficaz e, muitas vezes, procuram o Poder Judiciário para adquirir um tratamento com mais qualidade.

Hennekam (2011 *apud* Aguiar et al, 2018, p. 237) cita que para se ter um diagnóstico adequado e uma boa prestação no tratamento das doenças raras é preciso um grupo especializado. Assim, "na Europa, existem diversos centros dedicados a distúrbios individuais e variado número de departamentos de genética clínica". Estes centros e departamentos possuem pessoas treinadas para a avaliação das famílias e pacientes, além de efetuar estudos adicionais para desempenhar um diagnóstico com mais qualidade.

De acordo com Storf *et al.* (2014, p. 678), na Alemanha, é desenvolvido um projeto conhecido como "se-atlas", que desenvolve opções de cuidados médicos para pessoas com doenças raras por meio de um mapa interativo, onde se cria um portal de informação central, com as visões gerais dos especialistas. Tal projeto tem como objetivo concentrar uma representação de opções de cuidados médicos para as pessoas que possuam as doenças raras. Desta forma, este recurso enseja uma visão rápida sobre os diferentes serviços prestados pelos médicos para o atendimento das doenças raras.

Os medicamentos para as doenças raras são conhecidos como medicamentos órfãos e, em razão de sua baixa produção, costumam ter um custo bastante elevado. Mas, segundo Wonder e Chin (2015, p. 846), na Austrália, o acesso dos pacientes para os medicamentos órfãos não é diferente de novos medicamentos. Pois, neste país, antes de serem liberados, todos os medicamentos passam por uma avaliação da Agência em Tecnologias em Saúde utilizando-se de um comitê consultivo de benefícios farmacêuticos. Assim, após essa avaliação, caso haja uma avaliação positiva sobre o medicamento, os laboratórios iniciam uma negociação com o governo com relação aos custos do medicamento.

Feltmate (2015, p. 362) afirma que muitos países têm implementado política de aprovação de drogas, destinadas à eficácia clínica, visando à urgência no tratamento das doenças raras. Assim, União Europeia, Estados Unidos e Japão, já desenvolveram mecanismos para monitorar os primeiros dias de acesso ao mercado, além de exigir relatórios do fabricante pós-comercialização dessas drogas (*apud* AGUIAR et al., 2018, p. 239).

Hayashi e Umeda (2008, *apud* Aguiar *et al.*, 2018, p. 239) cita que, desde 1972, o Japão possui um programa voltado para as doenças raras. E, a partir de então, tem realizado pesquisas voltadas ao tratamento e qualidade de vida destes pacientes, além de fornecer um tratamento expandido para estes pacientes.

Já nos Estados Unidos, segundo Robinson *et al.* (2014, p. 999), "existe uma cobertura por coparticipação de planos de saúde para sete doenças raras, com onze medicamentos disponíveis" e, além disso, existe um programa de classificação para a disponibilização destes medicamentos e, para isso, utilizam-se de quatro abordagens: i) designação rápida; ii) designação de terapia inovadora; iii) aprovação acelerada; e iv) revisão de prioridade. Estas quatro abordagens resultam na introdução de novos medicamentos a todo o momento.

Por outro lado, na Holanda, Smit (2014, *apud* AGUIAR *et al.*, 2018, p. 239) salienta as recentes discussões sobre o reembolso do governos para aos seguros de saúde no caso da disponibilização dos tratamentos para as doenças raras. Isso porque, nos últimos anos, a quantidade de medicamentos órfãos tem aumentado substancialmente.

Na Índia, segundo Rajasimha *et al.* (2014, s/p), com o objetivo de suprir as necessidades e beneficiar os pacientes, um grupo de voluntários criou a conhecida Organização para as Doenças Raras Índia (ORDI). Trata-se de uma organização sem fins lucrativos que representa a voz coletiva e defende as necessidades das pessoas com doenças raras.

Portanto, verifica-se que não só o Brasil têm dificuldades quando se trata de políticas públicas para as doenças raras. Trata-se, em verdade, de um problema mundial. Fato é que, em alguns países, tem-se dado maior atenção a este problema, mas, mesmo assim, ainda não foi suficiente. Por isso, o Brasil e o mundo devem sempre buscar práticas eficazes para solucionar/amenizar este problema.

Como pano de fundo dessas iniciativas estão o reconhecimento de que as doenças raras representam um problema de saúde pública, a ampliação das parcerias público-privadas, a melhoria do recrutamento de pacientes para ensaios clínicos por meio da internacionalização desses estudos, o fortalecimento dos grupos de defesa dos pacientes e o aumento do interesse da indústria em certos nichos de mercado, inclusive o das doenças raras (INTERFARMA, 2013, p. 15).

De modo geral, ainda segundo a Interfarma (2013), a experiência internacional está centrada em duas principais vertentes: a primeira se refere ao

modo como alguns países estruturam serviços diferenciados para atender às necessidades dos pacientes com doenças raras. A segunda diz respeito às estratégias para disponibilizar os medicamentos órfãos nos mercados nacionais e incorporá-los nos sistemas de saúde.

3.4 CASOS DE DESTAQUE

A linha do tempo da judicialização da saúde pública no Brasil está composta de muitas ações salutaras.

Em 2009 foi criado o Núcleo de Assessoria Técnica em Ações em Saúde (NAT), composto por profissionais da área de saúde que auxiliam tecnicamente as decisões dos magistrados. Em outubro do mesmo ano, o Tribunal de Justiça do Rio de Janeiro (TJ/RJ) firmou convênio com a SES/RJ e estendeu os serviços do núcleo para todas as varas da fazenda pública da capital e para suas vinte câmaras cíveis (FERREIRA & COSTA, 2013, p. 221).

O NAT funciona dentro do TJ/RJ e da Defensoria Pública do Estado, ficando a critério do magistrado consultar ou não o núcleo. Uma vez consultado, o NAT tem 24 horas para examinar um pedido de urgência ou 48 horas para um pedido comum. Esse parecer é encaminhado ao magistrado, que poderá utilizá-lo ou não em sua decisão, que, por sua vez, poderá determinar tanto a compra do medicamento quanto a sua inclusão na lista do SUS (CASTRO, 2012). Caso o medicamento conste na lista do SUS e esteja disponível, o paciente é encaminhado ao serviço para sua retirada, sem que seja necessário o prosseguimento judicial da demanda (FERREIRA & COSTA, 2013).

O modelo do núcleo foi adotado também em diversos Estados: Pernambuco (2011), Espírito Santo (2011), Mato Grosso (2011), Piauí (2012), Paraná (2012), dentre outros. O sucesso do modelo fez o Conselho Nacional de Justiça (CNJ) indicar sua criação, para assessoria, não apenas sobre pedidos de medicamentos, mas também sobre questões de saúde suplementar (CASTRO, 2012). E destaca:

O entrelaçamento institucional para a gestão da judicialização não se deu apenas por meio do modelo de núcleos. Outra iniciativa interessante, de 2009, é o Comitê Interinstitucional de Resolução Administrativa de Demandas da Saúde (Cirads), que resultou de um acordo de cooperação técnica entre diversos órgãos do Estado do Rio Grande do Norte: a Procuradoria da União, a Defensoria Pública da União, a Procuradoria Geral

do Estado, a Procuradoria Geral de Natal, a Secretaria de Estado da Saúde Pública e a Secretaria Municipal de Saúde. Em 2010 a Defensoria Pública do Estado foi incluída no Comitê.

No entanto, como apontou Rachid (2017), trata-se de um modelo ainda não adotado por grande parte das unidades federadas. Segundo a autora, até o ano de 2009, apenas três Estados tinham criado um órgão equivalente ao Cirads, “ainda que tenha sido indicado pelo STF como referencial a ser adotado para a propagação de alternativa à judicialização em escala nacional” (RACHID, 2017, p. 360).

Em âmbito nacional, o STF convocou, também em 2009, a audiência pública n. 4 como o intuito de tratar das principais questões envolvendo os processos de judicialização da saúde. A audiência pública visava obter subsídios para o julgamento de processos no âmbito do STF ou de outras instâncias judiciais de todo o país (DALLARI, 2013). O voto do ministro presidente à época, Gilmar Mendes, publicado em 2010, considerou os dados levantados na audiência pública para estabelecer parâmetros que devem ser observados nas decisões judiciais sobre fornecimento de medicamentos. Estas devem verificar, primeiro, se há política pública sobre os medicamentos pleiteados no caso concreto; e, em caso negativo, o Judiciário deve, então, considerar cinco aspectos:

- 1) a existência de vedação legal para o fornecimento do medicamento, ou seja, se o mesmo já possui registro na ANVISA;
- 2) a existência de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas no SUS que expressamente proíbem o uso/fornecimento do medicamento;
- 3) se o medicamento está em fase de testes clínicos;
- 4) se o tratamento já fornecido pelo SUS é adequado para o caso do demandante;
- 5) se o Executivo comprovou que a decisão judicial favorável ao demandante gera grave lesão à ordem, à economia, à saúde ou à segurança pública (DALLARI, 2013).

Ainda em 2010, o CNJ criou, com a resolução n. 107, o Fórum Nacional do Judiciário para a Saúde (FNJS), com o objetivo de monitorar as demandas de assistência à saúde, por meio de estudos e medidas normativas para o aperfeiçoamento de procedimentos e prevenção de novos conflitos (art. 1º).

Em 2011 duas medidas em nível federal foram importantes para o tema da judicialização, conforme explica Oliveira (2019, p. 183); em primeiro lugar, foi aprovada a Lei Federal nº 12.401, que altera a lei nº 8.080, de 1990, em seu capítulo

sobre a assistência terapêutica e incorporação de tecnologia em saúde. A lei estabelece o que se entende no SUS por “assistência terapêutica integral” (Art. 19-M), que compreende dispensação de medicamentos conforme as diretrizes estabelecidas em protocolos clínicos, e oferta de procedimentos terapêuticos constantes nas tabelas elaboradas pelo gestor federal do SUS. Na falta de protocolos ou diretrizes, a dispensação deverá ser baseada nas relações de medicamentos do gestor federal do SUS (art. 19-P). A incorporação ou exclusão de medicamentos são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do SUS (Conitec) (Art. 19-Q).

Em segundo lugar, ainda em 2011, foi apresentada outra publicação do CNJ sobre a matéria, a recomendação n. 36, que indica aos tribunais “a adoção de medidas visando melhor subsidiar os magistrados e demais operadores do direito, com vistas a assegurar maior eficiência na solução das demandas judiciais envolvendo a assistência à saúde suplementar”. Assim, essa nova recomendação reforça a importância do apoio técnico multidisciplinar, para auxiliar os magistrados nas questões técnicas dos processos judiciais, além de estimular o estabelecimento de um canal de comunicação entre magistrados e operadores de planos e serviços de saúde suplementar, por meio do cadastramento eletrônico das operadoras junto às comarcas, seções e subseções judiciárias. Ademais, indica que os comitês executivos estaduais incluam, entre seus membros, um representante de planos de saúde suplementar. Por meio dessa recomendação, o CNJ reconhece que o problema da judicialização da saúde não afeta apenas o setor público, mas também o privado, exigindo atenção dos órgãos judiciais para a questão.

No âmbito estadual foi criada, em 2013, no Rio de Janeiro, a Câmara de Resolução de Litígios da Saúde (CRLS), uma cooperação entre Procuradoria-Geral do Estado e do Município do Rio de Janeiro, secretarias estadual e municipal de Saúde do Rio de Janeiro, Defensoria Pública Estadual (DPGE) e Federal (DPU) e TJ/RJ, com o objetivo de buscar soluções administrativas para o atendimento das demandas, evitando assim a judicialização (OLIVEIRA, 2019, p. 184).

A autora ressalta:

Essa experiência, que busca ampliar o diálogo entre o Poder Executivo e as instituições do sistema de justiça, reuniu membros da DPU, da DPGE e das secretarias estadual e municipal de Saúde numa mesma estrutura física, facilitando a articulação. Os resultados foram positivos: diminuíram a

judicialização e geraram dados importantes para a ampliação ou modificação dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas do SUS.

Em 2016, segue informando, o CNJ publicou a resolução n. 238, que trata da criação, pelos Tribunais de Justiça e Tribunais Regionais Federais, dos Comitês Estaduais de Saúde e da especialização de varas em comarcas com mais de uma fazenda pública. De acordo com o artigo 1º deste documento, os comitês devem ser compostos por: magistrados de primeiro ou segundo grau, estadual ou federal, gestores da área da saúde dos três níveis de governo e demais participantes do sistema de saúde sempre que possível (ANVISA, ANS, Conitec), representantes da Justiça (Ministérios Públicos Federais e Estaduais, Defensoria Pública, advogados públicos e um advogado representante da Ordem dos Advogados do Brasil do respectivo Estado), integrante do Conselho Estadual de Saúde, representante dos usuários do sistema suplementar de saúde indicado pela Secretaria Nacional de Defesa do Consumidor, por meio dos PROCONS de cada Estado.

São muitos modelos que podem ser ampliados em todo território nacional com vistas a encurtar os caminhos dos pacientes e até mesmo de membros dos três poderes, resultando em diminuição de gastos operacionais e desgastes para os demandantes por saúde.

Pode-se concluir, a partir da análise dessa evolução histórica dos arranjos institucionais criados a partir dos anos 2000, que a judicialização da saúde mobilizou diferentes poderes e instâncias para a garantia deste direito social. Verificou-se, no Brasil, um longo processo de aprendizado e mudanças institucionais – que, em geral, é lento e gradual (MAHONEY & THELEN, 2010).

Nesse caso, especificamente, Judiciário e Executivo passam por mudanças “em camadas” (*layering*), de acordo com Mahoney e Thelen (2010): não há mudanças, negligências ou exclusão de regras antigas, mas a inclusão paulatina de novas. Resultante desse processo é possível afirmar que há hoje relações Judiciário-Executivo muito mais intensas e cooperativas do que em seu início nos anos 1990.

3.5. EXPECTATIVAS

No Brasil, a Constituição Federal de 1988 garante o direito à saúde ao cidadão, instituindo o acesso universal e igualitário a este direito, através de políticas

públicas, ou seja, a responsabilidade para o seu cumprimento fica a cargo do Estado.

A primeira política pública do Estado voltada às doenças raras foi a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica, criada em 2009. Naquela época foi necessária essa prestação positiva por parte do Estado em razão do alto índice de mortalidade infantil com problemas genéticos (BRASIL, 2009, p. 02).

Entretanto, houve pouco investimento nessa política, o que ocasionou uma demora no enquadramento das doenças raras como política pública. Mas, em 2014, foi estabelecida pela Portaria 199/2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio. Posteriormente, o conteúdo da Portaria 199/2014 foi revogado e incorporado ao Anexo XXI da Portaria de Consolidação nº 3 do Ministério da Saúde.

Essa política tem como finalidade a diminuição da mortalidade, além de buscar melhorar a qualidade de vida do paciente, seja com relação à prevenção, promoção, tratamento, detecção precoce e cuidados paliativos. Ademais, essa política pública visa reduzir o sofrimento emocional dos familiares do paciente, facilitando o acesso do tratamento via Sistema Único de Saúde, bem como seu tratamento.

Contudo, as políticas públicas voltadas às doenças raras pouco vêm sendo cumpridas pelo Estado, prejudicando o direito à saúde do cidadão que possui a doença. Além disso, esse descumprimento tem prejudicado bastante os cofres públicos, pois quando este direito não é atendido o cidadão busca a tutela jurisdicional, fazendo com que o gasto eleve ainda mais.

Fato é que, para a concretização das políticas públicas voltadas às doenças raras, faz-se necessário que haja a inclusão de metas na Lei de Diretrizes Orçamentárias (LDO), fazendo com que estas políticas se tornem uma ação programática a ser cumprida pelo Ministério da Saúde. Diante disso, deverá este Ministério inserir os dados/informações necessárias sobre as doenças raras selecionadas para que não precise de sua judicialização.

Para tanto, o Estado deverá incentivar novas pesquisas sobre estas doenças, passando a definir, com base nos resultados, quais doenças deverão ser

consideradas como raras. A partir de então, obtendo a ciência de tais doenças, cabe ao Estado estipular metas para a concretização e tratamento destas.

Seguindo o modelo Alemão, poderia ser realizado um sistema de mapeamento nacional das doenças raras. Com base nesse sistema seria realizado um mapeamento de pessoas com algum tipo de doença rara e, a partir de então, seria feito um cruzamento anual destes dados para a escolha dos medicamentos a serem incluídos nas políticas públicas.

Além disso, entende-se necessária a criação de centros específicos para o tratamento de pessoas com doenças raras, sendo extremamente eficaz, pois ajuda no diagnóstico precoce da doença. Estes centros teriam pessoas treinadas para a avaliação das famílias e pacientes, além de efetuar estudos adicionais para desempenhar um diagnóstico com mais qualidade.

Ocorre que, para ter um centro específico de atendimento aos portadores de doenças raras, é imperioso que o Ministério relacione quais as doenças são tidas como raras, visto que não há ainda essa identificação. E, em razão disso, as doenças raras vem sendo consideradas como todas aquelas que fogem ao padrão normal ou aos tipos de doenças que são tipificadas.

Desse modo, verifica-se que a maior parte da judicialização consiste na falta de critérios do Ministério da Saúde em estabelecer a definição das doenças tidas como raras. Por isso, alguns medicamentos não são inseridos na lista do SUS, o que não dá ao cidadão a possibilidade de recebê-los pelo Estado, fazendo com que este busque o Poder Judiciário para garantir o seu direito à saúde.

De acordo com Oliveira (2019, p. 187-188), as primeiras análises, sobretudo na área da saúde pública, salientavam os aspectos negativos desse processo, principalmente em decorrência da interferência do Judiciário na definição de políticas públicas, tarefa dos poderes Executivo e Legislativo.

As falhas do sistema público de saúde e de assistência farmacêutica no Brasil impulsionaram o processo de judicialização do direito à saúde, sobretudo no quesito acesso a medicamentos, gerando uma série de estudos sobre o tema, nas diferentes áreas do conhecimento, e em especial nos campos da saúde pública, do direito e da ciência política/políticas públicas (OLIVEIRA, 2019, p. 187).

Trabalhos como esse demonstram que, ao favorecer a elite econômica que acessa o Judiciário, as decisões judiciais que interferem em políticas públicas podem agravar as desigualdades sociais ao distribuir os bens públicos de maneira ineficiente, sem levar em consideração critérios redistributivos.

Assim, para que a gestão pública seja efetiva e atenda a esse público, incluindo seus familiares, muitas providências ainda precisam ser tomadas para que as ações sejam materializadas em todos os itens acima citados para que os problemas advindos da desorganização da máquina pública não se transformem em um problema maior, que é o desequilíbrio orçamentário da saúde, que já é deficiente em sua estrutura básica e que não precisa e não comporta mais agravantes.

O capítulo 4 vai apresentar o que já está sendo feito no Brasil nesse sentido, apresentando a Rede Dora, em implantação no estado de São Paulo, e os nove centros que funcionam atendendo aos pacientes com DRs no país; eventos para debater as doenças raras e as iniciativas de parlamentares para a implementação de políticas públicas voltadas para essa demanda e o empenho pessoal da autora dessa tese, enquanto integrante do poder legislativo, para incluir o tema nas pautas da Câmara Federal com recorrência tendo em vista a urgência da manutenção da vida.

4 PESQUISA EM CAMPO

Neste capítulo será apresentada proposta de implementação de política pública economicamente viável para atendimento às pessoas com doenças raras e ultrarraras mediante projetos de lei, criação de banco de dados sobre essas doenças e cadastro para os portadores dessas doenças, viabilizando o acesso e pesquisa de casos afins dentro de um sistema de informação nacional tendo em vista o barateamento com pesquisa, compra e distribuição de medicamentos de alto custo afins a cada enfermidade.

Pareceres salutareos serão apresentados demonstrando simpatia e preocupação com a causa desses pacientes em debate, ao passo que propostas e decisões favoráveis já vêm sendo apresentadas e postas em prática em âmbito nacional.

4.1 TRATAMENTO DE DOENÇAS RARAS

A decisão de se realizar entrevistas estruturadas deu-se a partir de informações prévias acerca do funcionamento de estruturas voltadas para o tratamento de pacientes com DRs. Almejou-se, a partir disso, conhecer o caminho percorrido, os resultados obtidos, as dificuldades ainda existentes e como os poderes públicos – Legislativo, Executivo e Judiciário, – vinham atuando em relação às doenças raras.

Os entrevistados selecionados estão diretamente envolvidos nas práticas com os pacientes com doenças raras e os institutos/unidades de tratamento que os atendem, que puderam falar com propriedade acerca de seu funcionamento em todos os aspectos, elucidando as conquistas e as dificuldades que ainda enfrentam. Do mesmo modo, os entrevistados ligados à gestão pública auxiliaram com informações pertinentes, conduzindo os trabalhos dessa pesquisa para a busca de informações complementares junto aos arquivos legislativos e ao poder judiciário.

O contato direto com esses colaboradores permitiram que as discussões se voltassem para a capacidade e efetividade de ações existentes, orientando para o caminho a seguir tendo em vista a otimização dos sistemas existentes e a criação de novos centros de atendimento e até mesmo o aprimoramento de leis.

Entrevistas

Os estudos apontam que existem por volta de 8 mil doenças raras, sendo que pequeno percentual - 5% - já possuem drogas (medicamentos) que auxiliam no tratamento, embora sejam incuráveis devido à sua origem (genética), mas que podem contribuir para que haja qualidade de vida para esses pacientes.

Carmela Maggiuzzo Grindler, Médica Primeiro-Assistente da Irmandade da Santa Casa de Misericórdia de São Paulo, Professora-Assistente da Faculdade de Ciências Médicas da Santa Casa de São Paulo e Diretora Técnica de Saúde, arguida sobre o tema, afirmou que a Doença Rara – DR precisa ser identificada precocemente, embora seja muito difícil que isso ocorra na saúde pública, onde os recursos (equipamentos e profissionais especializados) são limitados, além do tempo longo que se leva para fechar um diagnóstico. A doutora enfatiza que,

como 75% das primeiras manifestações clínicas ocorrem na infância e são similares aos das doenças mais frequentes nessa faixa etária, o tempo que o Clínico de Crianças e Adolescentes leva para concluir o diagnóstico é muito longo. Todos pensam em Síndromes Genéticas Clássicas (Dismorfia) quando falamos de DR, mas elas são 40% das Raras. O mais difícil é fazer o diagnóstico quando a doença não está na “cara”. Em nosso Estado (São Paulo), o tempo para fechar o diagnóstico de uma DR varia de 6 meses a 3 anos e meio. Como a maioria dessas doenças é degenerativa, quando o diagnóstico é feito, o doente já apresenta danos de órgãos vitais, de modo irreversível (Apêndice I).

De acordo com Arnaldo Hossepian Junior, Procurador de Justiça do Ministério Público de São Paulo, Conselheiro Nacional de Justiça e Supervisor do Comitê do Fórum da Saúde do Conselho Nacional de Justiça – CNJ, muitos são os obstáculos à assistência ao paciente com doença rara, em que os medicamentos são insuficientes face às múltiplas complexidades das doenças que dizem tratar; seus benefícios e riscos foram pouco estudados durante a etapa de pesquisa clínica e assim a incerteza é elevada para incluí-los na prática médica cotidiana; além do que são tão caros que inviabilizam sua aquisição pela maioria dos países, mesmo os desenvolvidos.

Hossepian, em entrevista, complementa verbalizando que:

O ciclo de inovação nos mesmos nichos tem sido tão rápido que antes mesmo que se consiga estudar e incorporar uma inovação, o mercado já oferece outra novidade ainda mais incerta e mais cara. Pode-se dizer que no estágio atual estamos frente a um novo e lucrativo nicho de negócios,

porém ainda sem garantia efetiva do tratamento das pessoas raras (Apêndice II).

Nesse caso, a velocidade aplicada a essa evolução prejudica os programas já existentes, apesar de contar pontos positivos para a evolução dos tratamentos e até mesmo dos estudos acerca dessas doenças, que ainda é insuficiente.

Grindler (entrevista em apêndice) afirma que está em criação uma rede de atendimento no Estado de São Paulo, onde os pacientes são atendidos por especialistas (geralmente profissionais que foram custeados pelo Estado para sua formação e especialização no exterior). Essa rede vem trabalhando com eficiência quando se pensa que, no Estado, 160 (cento e sessenta) doenças raras já possuem medicamentos específicos para tratamento, mesmo que estes funcionem apenas para dar qualidade de vida aos pacientes, servindo de paliativo para os sintomas.

Ela ainda diz que o estado de São Paulo já atende pessoas com DRs há mais de 40 anos através de Serviços Especializados. “O que estamos reorganizando é o acesso a essa rede por via informatizada (Central de Regulação de Vagas) e qualificando por área de concentração desses Serviços”, complementou a Dra. Grindler, exemplificando: Oftalmologia → Retina; Neurologia → Esclerose Múltipla e assim, sucessivamente. “Planejamos, em breve, lançar a Política Estadual de Atenção à Pessoa com DRs do estado de São Paulo”, destacou.

A Rede de Atenção à Pessoa com Doença Rara – Rede DORA –, em implantação no Estado de São Paulo, identifica como grande empecilho ao tratamento o seu custo, que é alto para o Estado por não haver produção em massa de medicamentos específicos aos tratamentos, já que os portadores das DRs representam uma pequena parcela da comunidade atendida pelo Sistema Único de Saúde, o SUS. “A Constituição foi adequada, mas os legisladores esqueceram que isso tudo precisa de financiamento e o Estado ter dinheiro para tudo isso”, observou o presidente do Hospital Israelita Albert Einstein, Cláudio Luiz Lottenber. (INTERFARMA, 2010, p. 06)

Diante dessas duas situações, – a lentidão no diagnóstico e o alto custo do medicamento –, medidas de integralização precisam ser pensadas e requisitadas aos governos dos Estados, bem como ao governo federal, para que uma minoria que sofre de enfermidades graves seja vista, diagnosticada efetivamente e tratada, direito assegurado pela Carta Magna (1988) e que é negligenciado não só a essas pessoas, mas à grande massa.

A legislação, com a marca da renovação, teve apoio multipartidário na Assembleia Nacional Constituinte. Foi com este espírito renovado que a Constituição Federal garantiu a todo brasileiro o direito à universalidade, integralidade e equidade no acesso à saúde (INTERFARMA, 2010, p. 08).

Essa simpatia e apoio multipartidário ainda existem, embora ainda falte muito a se fazer, do ponto de vista prático que pode ser facilitado mediante empenho legislativo, para que a assistência vital seja prestada efetivamente.

Hossepian aponta a logística como sendo uma grande dificuldade aos tratamentos no Brasil, que dispõe de alguns centros de medicina genética, em geral ligados a hospitais universitários.

Porém, para o cuidado integral à pessoa com doença rara, como política de Estado, Hossepian também acredita que é necessário criar uma rede articulada de serviços de medicina genética especialmente dedicada às doenças raras e distribuída em todo o território nacional que seja suficientemente estruturada, capacitada e financiada.

De acordo com a colaboração da Dra. Clarice Petramale, ex-diretora da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, diz que esses centros necessitam de:

- 1- receber e orientar suspeitas de doenças raras;
- 2- realizar e confirmar diagnósticos;
- 3- orientar e realizar ampla variedade de tratamentos de preferência num mesmo serviço, que vão desde cirurgias às mais diversas, visando correção ou palição de deformidades, aos tratamentos de reabilitação, cuidados de suporte à vida, até tratamentos medicamentosos e dietéticos quando for o caso;
- 4- acompanhar os pacientes pela vida toda, garantindo tratamentos seguros, eficazes e customizados a cada doente individualizado;
- 5- orientar e realizar aconselhamento genético às famílias e aos doentes raros e disponibilizar estratégias de planejamento familiar quando indicado;
- 6- participar de pesquisas clínicas com novos tratamentos ainda em fase de experimentação e auxiliar na obtenção de informação útil para a prática clínica.

Em São Paulo, como já fora citado, existe uma rede de atendimento às pessoas com doenças raras em criação, os centros de referência, apoiados e sendo prioridades do Estado, tendo em vista a salvaguarda de vidas e a diminuição dos

custos imputados à unidade da federação outrora acometida por inúmeros processos judiciais em busca de atendimento na rede pública por portadores (e familiares) de doenças raras.

A Dra. Grindler destaca que o Estado de São Paulo tem 44.000.000 (quarenta e quatro milhões) de pessoas domiciliadas. “Nada aqui é pequeno, nem sequer o número absoluto de cada DR”, comentou a médica. A lógica da Política Federal das Raras precisa ser customizada para o estado de São Paulo, lembrando que, em conjunto com a Rede Dora, já se trabalha com Redes Regionalizadas de Atenção à Saúde, havendo a necessidade de ampliar o serviço com mais cinco Centros de Referência de DRs do modelo proposto pela Política dos Raros, de mais cem Serviços de Atenção Especializada para atender aos grupos de DRs.

Apesar das iniciativas, São Paulo ainda não é autossuficiente nesse quesito, pois o custeio previsto na política, para realização dos diagnósticos, incluindo os testes genéticos, são insuficientes para atender às necessidades dessas pessoas, só quanto ao diagnóstico; “95% das DRs requerem cuidados no Modelo dos Cuidados da Medicina Paliativa e isso não está previsto na Política”, destacou a entrevistada.

Em todo o Brasil, o Ministério da Saúde aprovou, em 2016, oito Centros de Referências em Doenças Raras, conforme tabela apresentada abaixo, que informa o nome da instituição beneficiada e que atende ao paciente com DR.

Tabela 1 - Estabelecimentos de saúde habilitados como serviço de referência em Doenças Raras no Brasil

UF	MUNICÍPIO	ESTABELECIMENTO
DF	Distrito Federal	Hospital de Apoio de Brasília
GO	Anápolis	Associação de Pais e Amigos dos Excepcionais - APAE de Anápolis
PE	Recife	Associação de Assistência à Criança Deficiente – AACD/PE
PR	Curitiba	Hospital Pequeno Príncipe de Curitiba
RJ	Rio de Janeiro	Instituto Fernandes Figueira
RS	Porto Alegre	Hospital de Clínicas de Porto Alegre

SP	Santo André	Ambulatório de Especialidade da FUABC/Faculdade de Medicina ABC/Santo André
BA	Salvador	Associação de Pais e Amigos Excepcionais - APAE
BA	Salvador	Hospital Universitário Prof. Edgard Santos – HUPES*

Fonte: Assessoria Especial de Informação – ASSEPI/GM/MS, 2019 (Apêndice III).

Vale destacar que o último estabelecimento contemplado pelo Ministério da Saúde foi habilitado, na Portaria Nº 1.237, de 06 de junho de 2019, fato que pode ser avaliado como positivo no tocante ao reconhecimento da importância das políticas públicas que valorizem a questão do portador de doença rara. E além dos estabelecimentos habilitados, há parecer técnico favorável da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde (SAES) para habilitação de mais 6 serviços, que aguardam disponibilidade orçamentária (APÊNDICE III).

Tabela 2 - Estabelecimentos de saúde a serem habilitados no Brasil

UF	MUNICÍPIO	ESTABELECIMENTO	IMPACTO FINANCEIRO ANUAL
CE	Fortaleza	Hospital Universitário Walter Cantídio	R\$ 3.497.760,00
CE	Fortaleza	Hospital Infantil Albert Sabin	R\$ 1.387.760,00
SP	Campinas	Hospital Das Clinicas Da Unicamp – Campinas/SP	R\$ 1.407.760,00
SP	Ribeirão Preto	Hospital De Clínicas De Ribeirão Preto	R\$ 3.625.760,00
ES	Vitória	Hospital Santa Casa De Vitória	R\$ 523.800,00
DF	BRASILIA	Hospital Materno Infantil de Brasília	R\$ 6.209.760,00

Fonte: CGAE/DAET/SAES, Set/2019 (Apêndice III).

Com o beneficiamento de mais essas seis unidades hospitalares, o atendimento à doença rara no Brasil receberá mais atenção, abrindo precedente legal para a criação ou credenciamento de mais unidades, se possível em outros Estados, para que os recursos sejam destinados a partir de mais iniciativas de gestão pública.

A Dra. Grindler afirma que seria interessante organizar o acesso ambulatorial em um programa qualificador e indicador de vagas (Central de Regulação de Vagas – CROSS), bem como para a confirmação de diagnósticos, acompanhamento e seguimento de cada grupo de DR. Ela acredita que a ampliação desse programa só

somaria positivamente às conquistas dos pacientes, do sistema e as que São Paulo já tem em relação ao tratamento dessas doenças.

A entrevistada ainda informou que os Serviços de Atenção especializada serão para uma Doença Específica, o que não quer dizer que ele atenderá só uma doença, mas que a equipe multidisciplinar e multiprofissional desse núcleo assistencial dispõe de conhecimento no seguimento, acompanhamento e principalmente no tratamento. Esse conjunto é chamado de “conhecimentos de um médico, uma equipe ou um serviço” de área de concentração do conhecimento sobre uma DR. Estão começando a ser organizadas as Redes de Serviços de Atenção Especializadas, por aquelas DRs que já têm Protocolos Clínicos e Diretrizes de Tratamento - PCDT aprovado pelo Ministério da Saúde.

As políticas públicas, nesse sentido, podem auxiliar o desenvolvimento ou modelamento de centros já existentes para que os mais de oito milhões de acometidos pelas doenças possam receber direcionamento e o tratamento no lugar adequado e, principalmente, o mais cedo possível mediante diagnóstico precoce.

Em esfera nacional, os poderes legislativo e judiciário têm se preocupado com a demanda das doenças raras.

4.2 OS PODERES PÚBLICOS

A justiça é quem trata e responde às demandas dos reclamantes, deferindo positivamente às suas necessidades e atribuindo aos Estados o dever de cumprir suas decisões, que oneram os cofres públicos em virtude do alto custo dos medicamentos (raros, exclusivos, importados e órfãos no mercado) destinados ao tratamento dos doentes, conforme decidiu o Supremo Tribunal Federal, por nove votos contra um, em maio de 2019, que apesar de ser proibido o fornecimento de remédios sem registro na ANVISA, é possível que, em casos excepcionais, como os das doenças raras e ultrarraras, a Justiça determine o fornecimento do medicamento pelo SUS (DOENÇAS RARAS, 2019).

Ao legislativo federal cabe a tarefa de tentar sanar um problema inexistente há algumas décadas, embora o direito integral à saúde tenha sido assegurado a todo brasileiro nato ou naturalizado. A busca pelo direito tem sido observada, visto que este é pago com altas cifras oriundas dos cofres nacionais. “Nosso sistema vem sofrendo de um problema crônico de subfinanciamento que pode comprometer o que

ele tem de mais precioso, que é o seu caráter de universalidade”, citou Reinaldo Guimarães, ex-secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, em entrevista à Interfarma (2010, p. 06), referindo-se a esses recursos.

A “reserva do possível”, referente a esta fala do ex-secretário, será discutida em um item adiante.

A criação de leis que assegurem os direitos de portadores de doenças raras nas redes de saúde pública, bem como a criação de um cadastro nacional para identificação de pacientes, catalogação de doenças raras existentes e dominantes no Brasil, desburocratização (questões da ANVISA) para compra ou produção de medicamentos para tais doenças, investimento na pesquisa e qualificação de profissionais fazem parte das questões que o legislativo tem levantado e apresentado à sua respectiva Mesa.

O Conselho Nacional de Justiça tem acompanhado a elaboração da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e a habilitação de unidades especializadas de atendimento no SUS, bem como a entrada de inovações no mercado brasileiro e mundial, novas drogas, e mais recentemente terapias gênicas dirigidas a doenças raras. Tem acompanhado também a mudança da legislação da ANVISA que vem acelerando e facilitando a entrada desses produtos no mercado brasileiro, muitos deles ainda em fase experimental de pesquisa. (Registro especial RDC 205/2017).

O Conselho tem contribuído para o conhecimento deste novo ramo terapêutico (terapias focadas em alvos moleculares/celulares) no âmbito da Justiça, por meio de reuniões envolvendo fabricantes, Saúde e os agentes do Direito. Vem contribuindo, também, para que sejam esclarecidos os verdadeiros potenciais terapêuticos desses novos produtos (eficácia e segurança) para os grupos específicos de doentes aos quais se destinam (HOSSEPIAN, 2019 – Apêndice II).

As autoridades têm trabalhado para que as mudanças e melhorias venham para ficar e amenizar os problemas enfrentados pelos portadores das DRs.

Para tanto, pareceres técnico-científicos têm sido elaborados para a maioria desses novos tratamentos e estão no *site* do CNJ à disposição dos juízes, visando subsidiar decisões cada vez mais racionais e embasadas cientificamente. Ainda tem

estimulado a criação de varas especiais de saúde e a criação de núcleos de apoio técnico ao judiciário nos Estados.

Tratando-se de doenças raras, a produção de medicamentos é cara pela ausência de tecnologia própria e de poucos estudos e recursos no Brasil. E pelas barreiras burocráticas impostas pelas leis vigentes, empresas estrangeiras não têm interesse em negociar com o Brasil, visto que o retorno seria insignificante.

Por vezes é impossível ao portador da doença rara buscar tratamento fora de seu país de origem, pois lhe faltam condições financeiras e físicas. As famílias são alicerce e posicionam-se à frente das batalhas que necessitam enfrentar na busca por qualidade de vida para o doente, que podem obter, através do uso do medicamento de alto custo, qualidade de vida com o alívio da sintomatologia adquirida com a doença.

O Brasil tem se posicionado de forma mais solidária à causa do portador de doença rara, pois já lhes assegurou constitucionalmente alguns direitos e obrigações ao Estado, cujo dever é cuidar de seu povo oferecendo serviços de saúde, educação, segurança, etc., principalmente o direito soberano à vida.

As discussões alusivas ao tema, que se faz problema de ordem pública, já vêm acontecendo nos Estados com a realização de fóruns e seminários por representantes da indústria farmacêutica, juntas médicas e organizações políticas para que se chegue a um consenso. O maior Estado do país em população e desenvolvimento urbano já é pioneiro em medidas efetivas de assistência ao portador de DR, com acompanhamento médico e tratamento medicamentoso.

Na esfera federal, o Ministério da Saúde tem se mobilizado para entender e incorporar o conhecimento adquirido em eventos nacionais e internacionais, onde representantes brasileiros do executivo e legislativo têm buscado informações e soluções viáveis para atender à alta demanda que a doença rara proporciona à medicina e ao poder judiciário que responde pelos pedidos de intervenção dos acometidos.

4.3 A VISÃO DO MINISTÉRIO DA SAÚDE

O Ministério da Saúde, através de sua Secretaria de Atenção Especializada em Saúde (Apêndice III), respondeu a algumas questões voltadas para o

entendimento de como a gestão pública, através desse ministério, encara a doença rara e todas as suas nuances.

Para o MS, as doenças raras são caracterizadas por uma ampla diversidade de sinais e sintomas que variam não só de doença para doença, mas também de pessoa para pessoa acometida pela mesma condição.

Em 2014, o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) por meio da Portaria GM/MS nº 199¹, de 30 de janeiro de 2014.

A referida Portaria dispõe sobre a habilitação de serviços da Atenção Especializada, sendo esses classificados como:

- Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras: presta serviço de saúde para uma ou mais doenças raras; e
- Serviço de Referência em Doenças Raras: presta serviço de saúde para pessoas com doenças raras pertencentes a, no mínimo, dois eixos assistenciais (doenças raras de origem genética e de origem não genética).

Ainda segundo o ministério, a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras - Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014, incorporou quinze exames de biologia molecular, citogenética e imunoenaios, além do aconselhamento genético e procedimentos de avaliação diagnóstica na tabela de procedimentos do SUS. A política tem abrangência transversal na Rede de Atenção à Saúde (RAS) e como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

Dentro do MS, a linha de cuidado da atenção aos usuários com demanda para a realização das ações na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras é estruturada pela Atenção Básica e Atenção Especializada, em conformidade com a Rede de Atenção à Saúde (RAS) e seguindo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS.

A Atenção Básica é responsável pela coordenação do cuidado e por realizar a atenção contínua da população que está sob sua responsabilidade adstrita, além de

¹ Revogada pelas Portarias de Consolidação nº 3. http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2017/prc0002_03_10_2017.html e nº 6 http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2017/prc0006_03_10_2017.html de 28 de setembro de 2017.

ser a porta de entrada prioritária do usuário na rede. Já a Atenção Especializada é responsável pelo conjunto de pontos de atenção com diferentes densidades tecnológicas para a realização de ações e serviços de urgência, ambulatorial especializado e hospitalar, apoiando e complementando os serviços da atenção básica, frisa o Ministério da Saúde.

Os Hospitais Universitários, Federais e Estaduais, em torno de 50 em todo o Brasil (notadamente para os casos de erros inatos do metabolismo) e as associações beneficentes e voluntárias (que contam com recursos governamentais e dedicam-se principalmente aos casos de deficiência intelectual e dismorfologia) são o *locus* da atenção à saúde dos pacientes com doenças raras.

Porém, para reforçar o atendimento clínico e laboratorial, o Ministério da Saúde incentivou a criação de serviços na Atenção Especializada, conforme disposto na **Tabela 1**, bem como os estabelecimentos que podem ser beneficiados pela habilitação ministerial, conforme aponta a **Tabela 2**.

De acordo com o MS, não é de sua competência o credenciamento de estabelecimentos para executar o atendimento à população brasileira, mas sim a habilitação dos mesmos após o credenciamento efetuado pela Secretaria de Saúde responsável pela rede de saúde local. Logo, o Gestor local do SUS torna-se corresponsável pela definição e formalização dos pactos entre gestores e prestadores quanto às prioridades, metas e critérios para a alocação dos recursos da assistência à saúde de acordo com o perfil epidemiológico e necessidade da população. Portanto, é de responsabilidade das Secretarias Estaduais e Municipais de Saúde gerir os recursos financeiros destinados à organização de sua rede de assistência à saúde.

O Ministério da Saúde possui o papel normativo, provedor de recursos da sua competência, regulador, elaborador de políticas públicas e gerenciador de sistemas de informações. E tendo em vista o princípio da Descentralização, compete aos Estados e aos Municípios identificar suas necessidades de acordo com sua regionalidade, como também estipular cotas, credenciar e controlar os serviços.

Ressalte-se que o SUS é regido por princípios e diretrizes. Uma das diretrizes que o norteia é a Regionalização que orienta a descentralização das ações e serviços de saúde e os processos de negociação e pactuação entre os gestores. Por meio da descentralização foram transferidos para os Estados e Municípios, responsabilidades e financiamento das ações relativas à saúde.

Assim, compete aos Estados e aos Municípios identificar suas necessidades de acordo com sua regionalização, formar sua Rede de Atenção conforme definido e pactuado na Comissão Intergestores Bipartite – CIB, disponibilizar a assistência aos pacientes, como também estipular cotas, credenciar e controlar os serviços.

Isso implica em dizer que não se sabe, ao certo, se os recursos destinados ao tratamento de doenças raras são de fato utilizados para este fim, quando é notório o fato de que as demandas em saúde não são atendidas em suas bases, não obstante aos casos de doenças raras, que possuem características especiais que não são atendidas nas unidades convencionais de saúde.

4.3.1 A Reserva do Possível

O direito à saúde está inserido na Constituição da República Federativa do Brasil de 1988 como um direito fundamental e social, por constar em seu Título II, que versa sobre os Direitos e Garantias Fundamentais, mais especificamente dentro de seu Capítulo II, que tem como foco os direitos sociais.

Nesse sentido, dado seu caráter social, enquadrando-se como direito fundamental de segunda geração, exige uma prestação positiva do Estado por meio de políticas públicas, visando à busca da igualdade material entre os indivíduos (PAULO e ALEXANDRINO, 2008, p. 96).

Porém, apesar de seu caráter programático, é preciso atentar para o fato de que a obrigação estatal de atuar positivamente no sentido de assegurar o direito constitucional à saúde encontra obstáculos na escassez de recursos e na necessidade de estabelecimento de prioridades por parte do gestor público, já que as receitas e despesas devem seguir as regras orçamentárias, impedindo o Estado de realizar investimentos para os quais não existam recursos suficientes (PORTAL JUS.COM, 2019).

Segundo Mânica (2011, p. 16):

Diante da escassez de recursos e da multiplicidade de necessidades sociais, cabe ao Estado efetuar escolhas, estabelecendo critérios e prioridades. Tais escolhas consistem na definição de políticas públicas, cuja implementação depende de previsão e execução orçamentária.

Apenas a título de exemplo, a Constituição Federal estabelece em seu artigo 167, I, a vedação ao início de programas ou projetos não incluídos na Lei orçamentária anual; no inciso II do mesmo artigo, prescreve que é vedada a realização de despesas que extrapolem os créditos orçamentários; e, no inciso VI, proíbe a transposição, remanejamento e transferência de recursos de uma categoria de programação para outra ou de um órgão para outro, sem prévia autorização legislativa (BRASIL, 1988).

O não cumprimento desse preceito constitucional pode gerar a grave consequência de levar o sistema de saúde brasileiro a uma ruptura, visto que o atendimento de uma parcela da população em detrimento dos demais, seria um tanto quanto mais desumano do que possa parecer.

Dessa forma, levando-se em conta o fato de que o Poder Público não possui recursos suficientes para atender a todas as demandas indistintamente, muitas vezes, a garantia do direito à saúde parece ser intransponível, principalmente no caso de demandas de altíssimo custo. No seio dessa discussão, portanto, importa destacar o princípio da reserva do possível.

A reserva do possível, em sua origem, não se restringia ao aspecto material ou financeiro, no âmbito da possibilidade de efetivação de direitos sociais, mas sim à razoabilidade da prestação pretendida frente à sua concretização. (ÁVILA, 2013). Ao Estado caberia a busca pela efetivação dos direitos constitucionalmente garantidos, mas na medida do que fosse fática e juridicamente possível, sempre utilizando como balizas a proporcionalidade e a razoabilidade.

Ocorre que a reserva do possível começou a ser utilizada indiscriminadamente, não como algo que motivasse uma abstenção proporcional e razoável do Estado na efetivação dos direitos fundamentais, mas sim como desculpa para a insuficiência de recursos. Nas palavras do Excelentíssimo Ministro Celso de Mello:

Cumprir advertir, desse modo, que a cláusula da "reserva do possível" - ressalvada a ocorrência de justo motivo objetivamente aferível - não pode ser invocada, pelo Estado, com a finalidade de exonerar-se do cumprimento de suas obrigações constitucionais, notadamente quando, dessa conduta governamental negativa, puder resultar nulificação ou, até mesmo, aniquilação de direitos constitucionais impregnados de um sentido de essencial fundamentalidade.

Dessa forma, para a utilização da reserva do possível, deve haver um justo motivo, não podendo ser invocada pelo Estado para se eximir de suas obrigações constitucionais, sob pena de ferir gravemente a efetivação dos direitos fundamentais. (VILLAS-BOAS, 2019)

Ademais, na esfera de atuação do princípio da reserva do possível, deve ser inserido o princípio do mínimo existencial, de forma que ambos os princípios, numa eventual colisão diante de um caso concreto, sejam ponderados, de forma que coexistam para assegurar a efetividade e a eficácia dos direitos fundamentais, de forma razoável e proporcional (SARLET *ET AL.*, 2013, p. 14).

O princípio do mínimo existencial pode ser entendido como a base da vida humana, ou seja, como um direito essencial constitucionalmente garantido, sem que haja necessidade de lei para sua viabilização, por ser inerente ao ser humano (LAZARI, 2012, p. 92.). Esse princípio pode ser evidenciado na Constituição Federal em seu artigo 7º, inciso IV, que é formado por um conjunto de necessidades basilares e essenciais do ser humano, como fatores que viabilizam uma vida com dignidade.

Nesse sentido, a despeito de a reserva do possível impor a observância à disponibilidade financeira do Estado, deve ser observada, também, a importância do direito que se pretende garantir, em prol dos que mais precisam, considerando, para isso, o mínimo existencial a ser respeitado, possibilitando uma mitigação do eventual impacto trazido pela reserva do possível na efetivação dos direitos sociais, sempre de forma razoável e proporcional. (PORTAL JUS.COM, 2019)

A concretização desses direitos, portanto, deve ser prioritária para o Poder Público e este não pode escolher se furtar de executar os direitos essenciais ligados à dignidade da pessoa humana (CANELA JUNIOR, 2011. p. 136).

Com isso, o direito fundamental à saúde possui uma proteção em face do princípio da reserva do possível, sempre pautada na defesa e garantia do mínimo existencial, de forma que o direito seja disponibilizado de forma razoável à população, principalmente aos mais necessitados. A reserva do possível, dessa forma, não pode ser invocada para dispensar a obrigação estatal de prestação de serviços na área da saúde em benefício da sociedade, ainda mais quando se fala em doenças raras, que já envolvem dificuldades como a definição de um diagnóstico preciso e elevado sofrimento clínico e psicológico aos pacientes e suas famílias, sob pena de agravar ainda mais a realidade vivenciada por esses brasileiros.

4.4 DEBATES INTERNACIONAIS

Congressos são promovidos e realizados em todos os continentes para debater o tema e para que pontos em comum e acertos sejam firmados, além de propostas viáveis e reais sejam apresentadas e postas em prática para benefício do portador de doença rara.

Em 2015, nos dias 23 e 24 de abril, aconteceu o *World Orphan Drug Congress*, realizado em Washington, nos Estados Unidos, para qual a Senhora Mariana Carvalho foi convidada a participar como ouvinte e mediadora de alguns temas, sendo os principais abaixo citados:

- Os Poderes Executivo, Legislativo e Judiciário e os médicos: assegurando direitos para doenças raras no Brasil;
- A atuação das associações de pacientes para definição da agenda pública em benefício das pessoas com doenças raras;
- Cenário brasileiro para doenças raras: Iniciativa da Interfarma e da ANVISA.

O evento reuniu indústrias farmacêuticas (PHARMA), formuladores de políticas públicas, reguladores e os grupos de defesas dos pacientes para debaterem sustentabilidade, preços, reembolso, comercialização e acesso de drogas órfãs ao mercado global.

Enquanto mediadora, a autora do presente trabalho levantou a importância dos projetos de lei relacionados às doenças raras ou medicamentos órfãos que estão em tramitação no Congresso Nacional e que terão que ter celeridade nas discussões, em que apenas 26 (vinte e seis) proposições fazem parte dos debates.

Em concomitância, a parlamentar é membro da União Interparlamentar, composta por representantes de 179 (cento e setenta e nove) países, onde se tornou a relatora da Cobertura Universal da Saúde, junto a mais dois deputados estrangeiros, representando Suíça e Bangladesh. Entre as questões abordadas no documento, que foi apresentado a União Interparlamentar durante sua 141ª Assembleia Mundial, em outubro de 2019, como base para as ações dos parlamentos em cada uma dessas nações, apresentou-se, entre outros temas, a necessidade das políticas voltadas às doenças raras.

Pela primeira vez um parlamentar com assento no Congresso Nacional brasileiro assume tal posição no organismo internacional. As experiências, ainda que

iniciais, efetivadas no Brasil, poderão servir de exemplo a outras nações que, com suas realidades distintas, muitas vezes sequer conseguem identificar pacientes com doenças raras e que poderão dar os primeiros passos na inclusão de políticas públicas para esses pacientes. Para o próprio Brasil, o documento poderá orientar a implementação e adequação de ações voltadas a esses pacientes.

A temática “Doença Rara” é o alvo do respectivo relatório, com o envolvimento de várias autoridades internacionais.

O objetivo do relatório é destacar a importância da ação parlamentar na cobertura universal de saúde, discutir como os parlamentos podem abordar os principais desafios da cobertura universal da saúde, que ainda exige de suas populações o consumo de até 10% (dez por cento) ou mais de seus orçamentos familiares, empurrando-as para uma situação de extrema pobreza em virtude dessas despesas com saúde.

No ano de 2016 foi realizado outro grande evento para debater as doenças raras, no auge da epidemia de microcefalias causadas pela doença chikungunya e pela zika, ambas provocadas pela picada do mosquito *Aedes aegypti*.

O II Simpósio Internacional sobre Doenças Raras (*II International Symposium on Rare Diseases – II RDis*) foi realizado de 7 a 9 de março de 2016, em Pernambuco (EBSERH.GOV, 2016)

De acordo com o portal, foi organizado pelo Laboratório de *Imunopatologia Keizo Asami* (Lika) da UFPE e pela *University College London* (UCL), na Inglaterra. Aconteceu no auditório do Centro de Pesquisas Aggeu Magalhães, na Fiocruz de Pernambuco, no Campus Recife da Universidade.

Contou com a presença do então secretário de Saúde do Recife, Jailson Correia e, ao longo do evento, foram abordadas questões clínicas e científicas a respeito de doenças raras presentes no Brasil e em outros países. Entre os temas, destacaram-se calcificações cerebrais, escleroderma, microcefalia, diagnóstico de patologias emergentes, mosquitos vetores, novos marcadores genéticos de desabilitação intelectual, entre outros (EBSERH.GOV, 2016).

O II RDis também contou com a participação de pesquisadores da UFPE, Universidade Federal Rural de Pernambuco (UFRPE), Universidade Estadual da Paraíba (UEPB), Universidade de São Paulo (USP), Círculo do Coração, Genomika (Brasil), GSK, *University College London* (Inglaterra), *Massachusetts Institute of*

Technology – MIT (Estados Unidos), *Universidade de Rouen* (França) e *Singularity University* (Israel).

O evento foi coordenado pelo diretor do Lika e professor titular do Departamento de Bioquímica da UFPE, José Luiz de Lima Filho, e pelo professor da UCL James Owen, concluiu o portal.

4.5 PROJETOS DE LEI

No contexto do tema ora discutido no presente trabalho, importa destacar, também, algumas ações legislativas que vêm se desenvolvendo no Parlamento brasileiro no sentido de estabelecer uma política concisa e eficaz para as doenças raras no Brasil.

Nesse sentido, o deputado Pedro Cunha Lima (PSDB-PB) apresentou, em 2015, o Projeto de Lei (PL) 3302/2015, que dispõe sobre a aplicação mínima de recursos para a pesquisa e o desenvolvimento de diagnósticos, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras, e destina parcela dos recursos recuperados em ações de ressarcimento ao erário da União às ações de atenção integral às pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde.

Nos anos posteriores, uma série de outras propostas apresentadas por diferentes deputados federais também surgiram com o intuito de estabelecer regras que amparem os pacientes de doenças raras. Sete delas foram apensadas ao Projeto de Lei 3.302/2015 e passaram a tramitar em conjunto.

Durante a análise dessas propostas na Comissão de Seguridade Social e Família da Câmara (CSSF), a deputada Geovania de Sá (PSDB-SC) foi designada relatora da matéria e apresentou um texto substitutivo que englobou a maioria dessas iniciativas. Dessa forma, o texto tal como se encontra, pronto para apreciação na CSSF, pode representar um importante marco legal para as doenças raras no Brasil.

O parecer apresentado pela relatora foi pela aprovação do PL 3.302/2015, do deputado Pedro Cunha Lima; do PL 4.345/2016, do deputado Átila A. Nunes (PSL-RJ); dos PLs 5.998/2016 e 4.818/2016, da deputada Mariana Carvalho (PSDB-RO); do PL 7.05/2019, do deputado Célio Sturdat (PV-CE); do PL 3.543/2019, da deputada Edna Henrique (PSDB-PB); e do PL 5.017/2016 da deputada Leandre (PV-

PR) apensados, na forma de texto substitutivo, e pela rejeição do PL 4.812/2016, do deputado Ronaldo Carletto (PP-BA).

Geovania de Sá lembra, em seu parecer, que a edição da Portaria nº 199, de 2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio, representando assim um avanço nesse tema. Porém, destaca que é preciso aumentar as fontes de receita para o aprimoramento da atenção integral das pessoas com doenças raras.

Por essa razão, a parlamentar entende que o PL nº 3.302/2015 vai ao encontro dessa necessidade, já que busca destinar recursos adicionais para a pesquisa e o desenvolvimento de medicamentos e produtos para a saúde voltados ao tratamento de doenças raras. “Acreditamos que essa iniciativa é fundamental, em razão do já explicado desinteresse do complexo industrial farmacêutico no assunto” (SÁ, 2019, Anexo II).

Tendo em vista o equilíbrio da gestão pública e levando em consideração a importância de não criar ao Poder Público obrigações que possam ser impraticáveis e ao mesmo tempo representar um peso para administração, a deputada federal excluiu, em seu substitutivo, a previsão sugerida pelo autor do PL 3.302/2015 de que 20% dos recursos recuperados pelo Poder Judiciário em ações de ressarcimento ao erário da União motivadas por atos de corrupção fossem destinados ao tratamento dessas doenças.

A parlamentar deixa claro a sua preocupação com a eficácia da proposta e com a execução desta ao ser convertida em lei pela gestão pública ao destacar que “embora o autor do Projeto tenha sido bem intencionado em formular a ideia, a sua execução prática poderia trazer transtornos na gestão do orçamento e dificultar a compensação do rombo ao patrimônio dos entes lesados”.

Como bem explica a parlamentar, isso ocorreria porque os recursos recuperados em ações de ressarcimento da União foram retirados, ilicitamente, de algum ente público. Por isso, esses valores devem voltar à origem para a reparação do dano perpetrado contra o seu patrimônio.

Ainda sobre o PL nº 3.302/2015, a relatora excluiu a previsão de que os recursos alocados no Orçamento da União para doenças raras não pudessem ser contingenciados. Mais uma vez a parlamentar demonstra que é preciso estabelecer

leis que amparem os pacientes de doenças raras, mas sem que o gestor público se veja em condições que o impossibilitem de cumprir com as normativas estabelecidas. Como destaca, se as despesas com pesquisas acerca de doenças raras não puderem ser objeto de contingenciamento, outras o serão por força da Lei de Responsabilidade Fiscal, “atingindo até mesmo ações de saúde que estiverem acima do mínimo constitucional a ser aplicado em ações e serviços públicos de saúde, incluindo eventualmente a assistência às próprias doenças raras, além de despesas de outras áreas importantes”.

No substitutivo, Geovania de Sá não incluiu o PL 4.812/2016, do deputado Ronaldo Carletto, por entender que essa proposta não diz respeito necessariamente às doenças raras, já que dispõe sobre o financiamento da pesquisa e do desenvolvimento de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer.

Por outro lado, a nova proposta, em forma de substitutivo, abarcou várias das propostas apensadas ao PL 3.302. Uma das previsões acolhidas consta do Projeto de Lei nº 4.345/2016, do Deputado Atila A. Nunes, que “cria os centros para tratamento de doenças raras em todos os Estados da federação e dá outras providências”.

A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras definiu que a linha de cuidado da atenção aos usuários com demanda para a realização das ações na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras “é estruturada pela Atenção Básica e Atenção Especializada, em conformidade com a RAS e seguindo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS” (Portaria 199/2014 e Portaria de Consolidação nº 3). Essa mesma norma permite a habilitação de estabelecimentos de saúde para a prestação de atendimento especializado às pessoas com doenças raras.

No entanto, como já discorrido anteriormente, o Ministério da Saúde conta com apenas nove estabelecimentos habilitados e especializados para esse tipo de atendimento.

De fato, é preciso que haja pelo menos um Centro de Referência em cada unidade da federação, para que a saúde das pessoas com doenças raras possa ser devidamente acompanhada por especialistas no assunto, sem que elas necessitem afastar-se tanto do seu local de residência (Anexo II).

No Substitutivo, Geovania de Sá propôs a criação dos Centros de Referência, mas deixando ao regulamento o estabelecimento das suas vicissitudes, uma vez que o gestor do SUS terá mais capacidade de decidir os aspectos operacionais do estabelecimento desses Centros e a sua inserção na Rede de Atenção à Saúde.

Atendendo uma necessidade que urge entre os pacientes de doenças raras, que é a previsão de recursos voltados ao desenvolvimento de medicamentos, ao mesmo tempo em que determina uma previsão orçamentária para sua execução, o substitutivo determina que, dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, previsto no inciso II do Art. 1º da Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, no mínimo 20% serão destinados a atividades voltadas à pesquisa e ao desenvolvimento de medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras, assim como 20% dos recursos do Programa Biotecnologia e Recursos Genéticos – Genoma, previsto no inciso III do Art. 1º da mesma lei.

Outra iniciativa adotada pela relatora, com pequenas alterações, foi o Projeto de Lei nº 4.818/2016, da deputada Mariana Carvalho, que “autoriza o uso de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras”.

A proposta, tal como apresentada nos termos do substitutivo apresentado por Geovania de Sá, com base na proposta antes apresentada pela deputada Mariana Carvalho, prevê, em seu Artigo 4, que os pacientes diagnosticados com doenças graves ou raras têm o direito de utilizar fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e seus correlatos, ainda que estejam em fase de estudos clínicos e sem o registro sanitário.

Para isso, deverão ser observados os seguintes requisitos: I – a doença esteja devidamente diagnosticada; II – o paciente apresente prescrição de médico assistente (previsão inserida pela relatora); III – não exista outra terapia com eficácia sobre a doença; IV – o produto em fase experimental seja comprovadamente seguro para uso humano, com perfil toxicológico conhecido e já tenha completado a fase 1 da investigação clínica, permanecendo em investigação e estudo clínico regularmente aprovado pelo Poder Público; V – o paciente ou, na sua impossibilidade, o seu representante legal, firme termo de responsabilidade que ateste a natureza experimental do produto, os riscos que o paciente assume ao fazer tal opção e a falta de autorização sanitária para a sua comercialização.

Ao acatar outra proposta da deputada Mariana Carvalho, a relatora estabelece a autorização da importação de medicamentos sem o registro regular sanitário, desde que sejam devidamente autorizados no país de origem, para uso exclusivo de pacientes portadores de doenças graves ou raras, considerando os incisos previstos no quarto artigo.

Pelo substitutivo, o Poder Público ficará autorizado a fornecer esses medicamentos diretamente ou por meio de suas instituições de ensino e pesquisa, como forma de garantir o direito do paciente ao atendimento integral, conforme previa inicialmente o PL 705/2019, do deputado Célio Studart.

A proposição altera ainda a Lei do SUS (Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990) para determinar que, no caso de avaliação para incorporação de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, deverão ser considerados os seguintes aspectos: “I – prevalência de condição definida clinicamente e por outros instrumentos diagnósticos complementares de até 65 pacientes por cem mil habitantes como parâmetro para definir a moléstia como rara; II – avaliação acerca da gravidade da doença no organismo humano, de sua evolução, prognóstico e expectativa de vida, considerando seu potencial lesivo e de causar óbito, ou morbidade incapacitante, e o impacto no bem-estar individual; III – possíveis terapias a serem utilizadas e incorporadas ao SUS de acordo com a sua eficácia sobre a etiopatogenia da doença, no controle de sintomas e na melhoria na qualidade de vida do paciente; IV – dispensa da avaliação custo-efetividade, quando não houver outro medicamento para a mesma condição”. Essas alterações foram propostas inicialmente pela deputada Leandre.

Ainda alterando a Lei do SUS, o texto substitutivo pretende estabelecer, conforme apresentado inicialmente no PL 3.543/2019, da deputada Edna Henrique, que os profissionais de saúde que atuam em unidades de saúde da atenção básica, unidades de pronto atendimento e nas portas de entrada hospitalares de urgência e emergência, deverão receber treinamento anual para identificação e conduta de casos suspeitos de doenças raras, conforme protocolos de atenção e encaminhamento, elaborados pelos respectivos gestores do Sistema Único de Saúde, em cada esfera de governo.

Pela proposta, o gestor federal do SUS, anualmente, consolidará os dados nacionais relativos a doenças raras registrados nos seus respectivos sistemas de informação, para fins de obtenção de instrumentos de planejamento e avaliação das

ações e serviços de saúde relacionados a doenças raras, uma necessidade bastante apontada pela Dr. Grindler, conforme pode ser observado ao longo de sua entrevista no Apêndice I.

Como visto, trata-se de uma iniciativa que representará o primeiro passo para a consolidação de uma política pública com mais chances de eficácia em âmbito nacional. Observa-se que, se essa iniciativa concluir sua apreciação no Congresso Nacional, tendo sua aprovação confirmada e sancionada pela Presidência da República, culminará em novas obrigações ao poder público, tais como a criação dos centros de referências em cada Estado, destinação de recursos com origem previamente determinada, atualização de bancos de dados e outras aqui discorridas. Além disso, é possível concluir que a judicialização no que se refere ao fornecimento de medicamentos para os pacientes raros poderá ser reduzida.

A tramitação, porém, das propostas de lei no Congresso Nacional seguem um rito muitas vezes longo e demorado. Tanto é que as tais propostas citadas e que foram incorporadas à proposta única produzida pela deputada Geovania de Sá começaram a ser apresentadas em 2015. Desde então, nenhuma das comissões técnicas da Câmara dos Deputados deliberou sobre a proposição. Importante ressaltar que, com o parecer apresentado na Comissão de Seguridade Social e Família – já incluído na pauta de votações do colegiado algumas vezes – é possível vislumbrar que um primeiro passo para sua aprovação possa estar próximo. Após isso, será preciso receber os pareceres favoráveis pela constitucionalidade da matéria, na Comissão de Constituição e Justiça e Cidadania; e pela boa técnica administrativa, na Comissão de Finanças e Tributação.

Mesmo que tal matéria, por ter se tornado tão ampla, implique em novas obrigações ao Poder Público, é possível compreender que esta representará uma mudança significativa para a própria gestão pública que terá um importante regramento legal para o estabelecimento de ações que contemplarão o tema das doenças raras no Brasil, complementando de forma eficaz as normativas atuais. Certamente, tais mudanças poderão contribuir de forma significativa para a construção de um cenário mais humano no trato com o assunto das doenças raras.

Para além desses oito projetos de lei apensados e que poderão ser aprovados na forma do substitutivo apresentado na CSSF, outras iniciativas parlamentares em tramitação no Congresso Nacional merecem destaque. Essas proposições tramitam sem apensos.

O Projeto de Lei 2.233/19 concede benefícios tributários para os remédios utilizados em doenças raras – também conhecidos como “medicamentos órfãos”. De autoria da deputada Rejane Dias (PT-PI), o projeto isenta a receita de venda e a importação dos medicamentos órfãos da contribuição para o PIS/Pasep e da Contribuição para o Financiamento da Seguridade Social (Cofins). Também concede crédito presumido da contribuição para o PIS/Pasep e da Cofins para empresas que industrializam ou importam o medicamento (PORTAL CAMARA.LEG).

A proposta da deputada determina ainda que o registro sanitário dos medicamentos órfãos, inclusive os importados, terá um processo simplificado, regulamentado pelo Poder Executivo. O registro de medicamentos no Brasil é concedido pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

Rejane Dias afirma que o projeto visa reduzir o preço dos remédios prescritos para doenças raras. “Com o custo alto no seu desenvolvimento, há o repasse desse gasto para o valor de comercialização do produto, o que torna impeditiva a aquisição pelo cidadão comum, bem como sua incorporação ao sistema público de saúde”, disse. Afirma ainda que a proposta reduzirá os “obstáculos criados pela burocracia administrativa pública” para a concessão do registro sanitário, agilizando o acesso dos pacientes a medicamentos modernos.

No mesmo sentido, em 2015, demonstrando preocupação com as limitações enfrentadas pelos portadores de doenças raras, o então deputado federal João Rodrigues (PSD-SC) propôs o PL 1.215/2015 (Anexo III), que altera a Lei nº 10.048, de 8 de novembro de 2000, para estender às pessoas portadoras de doenças raras a prioridade de atendimento. A referida lei garante aos portadores de deficiência, idosos com idade igual ou superior a 60 anos, gestantes, lactantes e pessoas acompanhadas por crianças de colo, atendimento prioritário nas repartições públicas, empresas concessionárias de serviços públicos e instituições financeiras. A lei dispõe também que as empresas públicas de transporte e as concessionárias de transporte coletivo reservarão assentos, devidamente identificados a essas pessoas.

Segundo o ex-deputado, “Os portadores de doenças raras possuem limitações idênticas e muitas vezes maiores do que as pessoas com deficiência, idosos, gestantes, lactantes e as pessoas acompanhadas por crianças de colo e, no entanto, a legislação federal não lhes assegura os mesmos direitos, uma vez que não têm dispensado o atendimento prioritário nas repartições públicas, empresas concessionárias de serviços públicos e instituições financeiras”. O autor argumenta

que a previsão legal de atendimento prioritário possui respaldo constitucional, no art. 227, inciso II, da Constituição Federal, que estabelece o “atendimento especializado” para pessoas com necessidades especiais, dentre as quais se encaixam os portadores de doenças raras.

Com parecer favorável já aprovado na Comissão de Viação e Transportes da Câmara dos Deputados, a proposição está, atualmente, aguardando a designação de relator na Comissão de Seguridade Social e Família.

No mesmo contexto (Anexo IV), outra ação legislativa a ser destacada é o PL 9.428/2017, que atualmente está aguardando parecer do relator na Comissão de Seguridade Social e Família, e que tem como origem o PLS 40/2015, de autoria do senador Romário (PSB-RJ).

A proposta busca instituir o “Dia Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras”. Para o senador, o reconhecimento da data pretendida “leva à comunidade a importância do trabalho e atuação em rede para o atendimento à pessoa com alguma doença rara”, de modo que o intuito é a criação de uma identidade para destacar as ações que vêm sendo promovidas, dentre elas: a proposição de políticas públicas, a realização de pesquisas científicas, a formação de parcerias e a criação de redes de apoio.

O que se percebe é que nos últimos anos, em especial, desde 2015, cresceu o número de iniciativas parlamentares no sentido de ampliar o arcabouço legislativo para amparar os pacientes de doenças raras no Brasil. Apesar disso, as normas existentes hoje, no geral, foram de iniciativa do Poder Executivo, tal como é o caso da principal delas, a Portaria 199/2014, mais tarde incorporada ao Anexo XXI da Portaria de Consolidação nº 3 do Ministério da Saúde.

4.6 PROGRAMA DE DOENÇAS RARAS PELO SUS

Embora ainda não seja real tal programa, em nível nacional, o Sistema Único de Saúde tem atendido às demandas dos pacientes com doenças raras e ultrarraras dentro de suas possibilidades e em observância às manifestações pró-direito junto aos tribunais regionais e federais, com pareceres favoráveis e dispendiosos aos cofres públicos.

Tais direitos, assegurados pela constituição, também foram corroborados pela Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) nº 205, de 28 de dezembro de 2017,

política que estabelece procedimento especial para anuência de ensaios clínicos, certificação de boas práticas de fabricação e registro de novos medicamentos para tratamento, diagnóstico ou prevenção de doenças raras (ANVISA, 2017).

Assim, está disposto em seu Artigo 1º:

Art. 1º Fica aprovado o procedimento especial para:

I - anuência de ensaios clínicos a serem realizados no Brasil para avaliação de medicamentos para doenças raras;

II – certificação de boas práticas de fabricação aplicável a medicamentos para doenças raras; e

III – registro sanitário de novos medicamentos para doenças raras.

O artigo seguinte reitera que a resolução se aplica a novos medicamentos para doenças raras e que, para sua introdução no mercado, precisam estar acompanhados de documentação específica para que não haja má-fé nas solicitações e consequentes prejuízos à saúde das pessoas com doença rara (Art. 8º).

Desse modo, tem-se no Artigo 7º:

As petições de anuência de ensaios clínicos e de registro de novo medicamento referentes a medicamento para doença rara devem estar acrescidas da seguinte documentação:

I - descrição da doença rara para a qual o medicamento será indicado;

II - relevância do medicamento para tratamento, diagnóstico ou prevenção da doença;

III - dados mundiais e nacionais sobre a prevalência e a incidência da doença rara para a qual o medicamento será indicado; e

IV - documento comprobatório de designação de medicamento para doença rara por outra autoridade reguladora, quando disponível (ANVISA, 2017).

Aliado a essa resolução, o portador de doença rara ainda pode contar com o Anexo XI da Portaria de Consolidação nº 3 do Ministério da Saúde, que incorporou a Portaria 199, de 30 de janeiro de 2014, que dispõe sobre a habilitação de serviços da Atenção Especializada, sendo esses classificados como:

- Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras: presta serviço de saúde para uma ou mais doenças raras; e
- Serviço de Referência em Doenças Raras: presta serviço de saúde para pessoas com doenças raras pertencentes a, no mínimo, dois eixos assistenciais (doenças raras de origem genética e de origem não genética) (BRASIL, 2014).

Assim, conforme disposto no Capítulo II, seus objetivos se apresentam:

Art. 4º A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno redução de incapacidade e cuidados paliativos.

Essa política pública, em seu Art. 5º, define os objetivos específicos da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, a saber:

- I - garantir a universalidade, a integralidade e a equidade das ações e serviços de saúde em relação às pessoas com doenças raras, com consequente redução da morbidade e mortalidade;
- II - estabelecer as diretrizes de cuidado às pessoas com doenças raras em todos os níveis de atenção do SUS;
- III - proporcionar a atenção integral à saúde das pessoas com doença rara na Rede de Atenção à Saúde (RAS);
- IV - ampliar o acesso universal e regulado das pessoas com doenças raras na RAS;
- V - garantir às pessoas com doenças raras, em tempo oportuno, acesso aos meios diagnósticos e terapêuticos disponíveis conforme suas necessidades; e
- VI - qualificar a atenção às pessoas com doenças raras (BRASIL, 2014).

Partindo dessas políticas públicas já consolidadas, o portador de DR já se encontra amparado por algum regimento, embora os entraves e dificultores maiores ainda sejam a burocracia e a insuficiência de insumos para os tratamentos e até mesmo de espaço na rede pública (leitos de hospital), profissionais especializados, acessibilidade e, sobretudo, informação geral e em detalhes, extremamente necessária, até mesmo para que esse público saiba reivindicar por mais direitos e atenção de seus gestores.

Mesmo assim, uma conquista dos portadores de doenças raras foi evidenciada em Diário Oficial, recentemente, onde o Ministro da Saúde Luiz Henrique Mandetta assinou ordem de incorporar o medicamento Nusinersen (Spiranza) ao SUS. Esse medicamento é o único no mundo recomendado para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal – AME (tipo 1). Os demais subtipos da doença estão sendo analisados dentro de um novo modelo de oferta de medicamentos para os pacientes portadores da doença, o chamado compartilhamento de risco.

Com isso, o Ministro Mandetta acredita que os custos do SUS irão diminuir. Citou:

Com a incorporação vamos reduzir o valor do medicamento em relação aos pedidos judiciais. É o primeiro passo para o tipo 1. Conseguimos avançar, também, nas situações que ainda não temos recomendação. Vamos para protocolos e para o nosso primeiro compartilhamento de risco. Vamos construir juntos e tenho certeza que a gente vai vencer (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2019).

Com a possibilidade do compartilhamento de risco do medicamento, o governo só pagaria pelo remédio ao portador de AME se houvesse melhora na saúde do paciente. Assim, ao mesmo tempo em que os pacientes fazem uso do medicamento, deverão ser acompanhados, via registro prospectivo, para medir resultados e desempenhos, como evolução da função motora e menor tempo de uso de ventilação mecânica. O que já é uma evolução para a implementação de um programa efetivo para pacientes com doenças raras.

Ainda segundo o Ministério da Saúde (2019), no ano de 2018, noventa pacientes foram atendidos pelo governo a partir de demandas judiciais que solicitavam a oferta do *Spinraza*, ao custo de R\$ 115,9 milhões. Cada paciente representou, em média, custo de R\$ 1,3 milhão. Atualmente, são 106 pacientes atendidos. A medicação era adquirida pela rede pública por até R\$ 420 mil a ampola. Após a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) estipular um teto de preço para o medicamento, houve uma redução de 50% em relação ao empregado em 2017. Com a incorporação, que garante uma compra anual centralizada pelo Ministério da Saúde, o valor poderá ser negociado com a empresa fabricante do produto, baixando ainda mais os custos.

O apontamento do MS só ratifica a ideia de que a criação de um cadastro único para portadores de doenças raras, bem como a listagem de fármacos e medicamentos órfãos já encontrados no mercado mundial, só virá a contribuir para a melhor qualidade de vida desses pacientes, bem como para o barateamento na compra dos mesmos e a diminuição de demandas judiciais.

De acordo com Hossepian (em entrevista), antes da implementação das mudanças regulatórias operadas pela ANVISA desde 2014, a maioria dos medicamentos para doenças raras não conseguiam cumprir com os regulamentos da Agência e, por isso, medicamentos registrados em outros países não eram registrados e comercializados no Brasil.

O conselheiro destacou que:

nesse cenário a única maneira de consegui-los era por meio de uma ação judicial. Agora, as inovações para doenças raras e câncer tem um caminho acelerado e facilitado para o registro e autorização de preço para o mercado brasileiro. Já se observa um aumento substancial no registro desses medicamentos. Nos últimos dois anos, 23 novos medicamentos para doenças raras e 52 novas indicações terapêuticas para o câncer passaram a ter registro e comercialização no país (Apêndice II).

Isso ainda não configura a solução para os problemas, de todas as ordens, enfrentados no Brasil por esses pacientes, mas já se faz grande avanço e conforto para os envolvidos diretamente no problema, cuja busca por conforto e bem estar configuram suas maiores necessidades.

4.6.1 Alto custo e inviabilidade

Sabe-se que o desenvolvimento de pesquisas pela indústria farmacêutica é caro e arriscado sob o ponto de vista financeiro. Para viabilizar a produção de medicamentos para o tratamento destas doenças tem que ser levadas em consideração, em grau complexo e personalizado, características microambientais específicas com possibilidades de mutações.

O ritual regulatório no Brasil para fabricação e distribuição destes medicamentos dificulta o tratamento da maioria dos pacientes com doenças raras ou gravíssimas, e ultrarraras. Algumas tendem a nunca ter tratamentos aprovados se não houver uma visão moderada.

Prestar assistência adequada aos pacientes com doenças raras significa formular uma política capaz de combinar as duas principais facetas da questão: cuidados e tratamentos por um lado e oferta de medicamentos órfãos, por outro. Na prática, esse duo requer a organização de uma rede de serviços que mescle tratamentos e medicamentos de alto teor tecnológico com procedimentos de baixa complexidade e venha a suprir as principais necessidades dos pacientes: diagnóstico preciso e precoce – um dos problemas enfrentados por essas pessoas e profissionais qualificados.

Há um déficit de conhecimento médico e científico acerca dessas enfermidades, infraestrutura condizente com as diferentes necessidades de saúde dos pacientes e acesso a medicamentos e acompanhamento dos tratamentos ministrados.

O fato de o Brasil não possuir uma política oficial específica para doenças raras não significa, porém, que os pacientes não recebam cuidados e tratamentos. Os medicamentos acabam chegando até eles, em sua maior parte via ação judicial. De uma forma ou outra, o Sistema Único de Saúde – SUS atende a essas pessoas de forma fragmentada, sem planejamento, com grande desperdício de recursos públicos e prejuízo para os pacientes.

Conforme aponta Hossepian (Apêndice II), o maior impacto econômico da judicialização na Saúde ocorre devido a esse grupo de medicamentos, pois segundo o Ministério da Saúde, a aquisição de medicamentos pela União, cerca de 1,3 bilhões de reais em 2017, foram destinados para atender 1.200 pessoas, e foram devidos à aquisição de apenas 10 medicamentos novos para doenças raras ou câncer.

Todavia, entendemos que a forma de avaliação que dá prioridade à análise custo-efetividade não se mostra justa e acarreta iniquidades para os pacientes portadores de patologias raras, pois dificulta o acesso à atenção integral e compromete, assim, a concretização do direito à saúde de forma isonômica e equitativa. Por isso, a alteração sugerida, de conferir peso diferente na avaliação necessária à incorporação de novas tecnologias e medicamentos no SUS para o combate às doenças raras se mostra essencial à proteção do direito à saúde dos pacientes com esse tipo de patologia (PL nº 5998, 2016).

O princípio da igualdade e o direito à vida precisam ser observados e respeitados por gestores no tocante ao fornecimento desses medicamentos e até mesmo no acesso aos serviços de saúde básicos primários e primordiais à saúde do cidadão, fato que é um problema em discussão e causador de problemas tendo em vista sua inaplicabilidade junto às grandes massas que compõem a população brasileira.

4.7 EMENDAS PARLAMENTARES

Pelo menos desde o ano de 2016 esforços têm sido feitos para que uma atenção maior seja dada ao tema, visto que encaminhara pedido de recursos para o Congresso para que os demandantes por remédio de alto custo fossem assistidos pelo Ministério da Saúde quando houvesse a necessidade de requerimento de medicamentos.

Assim, sob a justificativa de que a atenção integral às pessoas com doenças raras e as diretrizes para a atenção integral a esse público com doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde, publicadas via Portaria 199/2014, é um passo importante em direção a um sistema de saúde cada vez mais igualitário para todos os brasileiros, congressistas têm apresentado emendas ao Orçamento da União para garantir o repasse de medicamentos aos pacientes de doenças raras.

Em uma dessas iniciativas, a deputada federal Mariana Carvalho (PSDB-RO) apresentou, em 2015, para o exercício de 2016, uma proposta de emenda orçamentária no valor de R\$ 1 milhão (um milhão de reais) para a manutenção de unidades de saúde de Média e Alta Complexidade (MAC), dada a escassez de recursos para a melhoria nos serviços oferecidos à população que mais necessita do Sistema Único de Saúde, com ênfase para as pessoas com doenças raras.

Já para o exercício de 2017, por iniciativa da mesma deputada, foram aprovados recursos de R\$ 491.397.334,00 (quatrocentos e noventa e um milhões, trezentos e noventa e sete mil e trezentos e trinta e quatro reais) para a manutenção e funcionamento do Programa Farmácia Popular do Brasil.

Em 2017, para o exercício orçamentário de 2018, de iniciativa da mesma deputada federal, a Universidade Federal de Rondônia foi contemplada com R\$ 500 mil (quinhentos mil reais). O recurso executado e pago foi utilizado pelo Hospital Universitário daquela instituição para aquisição de equipamentos de ponta para o laboratório de genética humana que executa um trabalho com pacientes de doenças raras.

Em 2019, para o exercício de 2020, a senadora Mara Gabrilli (PSDB-SP), apresentou pedido de recurso à Lei de Diretrizes Orçamentárias visando o Apoio Financeiro para Aquisição e Distribuição de Medicamentos para Tratamento de Doenças Raras.

Essas iniciativas mostram a crescente preocupação dos representantes da população no Parlamento brasileiro quanto à necessidade de recursos para o desenvolvimento de ações voltadas aos pacientes com doenças raras. Apesar disso, é importante salientar que um aporte específico de recursos, tal como prevê o texto substitutivo do PL 3.202/2015, é de extrema importância. Isso se explica em razão de que, se os congressistas não apresentarem emendas parlamentares ao Orçamento, não haverá recurso específico para essa área.

4.8 PROPOSIÇÕES E PERSPECTIVAS FUTURAS

Os avanços para o atendimento ao paciente com doença rara ou ultrarrara têm sido significativos e importantes nos últimos anos, tendo em vista a disponibilidade de alguns medicamentos na farmácia pública (SUS) e autorizações de incorporação, aprovadas no ano corrente.

Obstante às conquistas, a Lei de Diretrizes Orçamentárias – LDO 2019 para o exercício 2020 não assegura a disponibilidade de recursos (pecúnia) para atender às demandas dos pacientes em debate. Para tanto, necessita-se do empenho dos gestores federativos junto aos parlamentares para que essa meta seja inserida no orçamento, com a introdução de recursos na LDO tendo em vista o atendimento às demandas desses pacientes, criando uma programação orçamentária específica em função do que vier a ser elaborado junto à mesma.

A criação de ação por parlamentares – o que já vem acontecendo conforme apontado ao longo desse trabalho – permitirá que mudanças reais, como as poucas já existentes, sejam inseridas definitivamente no programa do SUS, embora os custos para tal e os entraves legais ainda sejam grandes barreiras a transpor.

Hossepian acredita que o melhor caminho é fortalecer a regulação de medicamentos e integrar as diferentes etapas de registro, autorização de preço e avaliação de novas tecnologias com vistas à incorporação pelo SUS, reduzindo assim os tempos de análise, sem perda da sua qualidade. Citou:

Ainda é preciso estimular a realização de pesquisa clínica na população brasileira, condicionada ao registro precoce desses medicamentos na ANVISA, oferecendo assim uma via de tratamento a doentes que não podem esperar. A avaliação da CONITEC poderá ser acelerada a pedido do MS. Assim, poderá começar a estudar uma nova incorporação ao SUS tão logo o fabricante manifeste interesse em registrá-lo no Brasil, ou mesmo antes disso, por meio de ferramentas de monitoramento do horizonte tecnológico como já é feito no Reino Unido, por exemplo (Apêndice II).

Analisando as demandas judiciais, discutidas ao longo desse trabalho, conclui-se que essas são voltadas para o fornecimento de medicamentos, e nunca para a introdução de políticas públicas ou mesmo as que se voltem para o desenvolvimento de pesquisas científicas e definições sobre as doenças raras e sua incidência no Brasil.

Os modelos já existentes de atenção à doença rara e aos seus pacientes precisam ser observados, cabendo aos legisladores investirem tempo e recursos para a introdução de regras e aprimoramento das vigentes, tendo em vista a otimização de tempo e de recursos oriundos da União.

Hossepian acrescenta que há de se obterem, obrigatoriamente, recursos orçamentários novos para a Saúde, que sejam suficientes para garantir que a incorporação de novos medicamentos para doenças raras sejam realmente efetivadas no SUS. Os recursos devem ser suficientes para manter as aquisições regulares de medicamentos, produtos e exames genéticos, bem como para o pagamento das prestações de serviços de saúde especializados. O conselheiro complementa dizendo que:

Novos serviços de medicina genética têm sido habilitados pelo SUS com o objetivo de construção de uma rede nacional. Na linha da assistência social há benefícios para doentes e cuidadores. Tanto os programas de saúde como os de assistência social existentes precisam de melhorias e financiamento regular para contemplar as expectativas da população brasileira (Apêndice II).

O empenho da sociedade, bem como a atenção de gestores e legisladores à saúde de todos, assegurará as mudanças necessárias e vitais, principalmente para o seletivo grupo portador de doenças raras e ultrarraras.

4.9 ESFORÇOS E DIFICULDADES

4.9.1 Esforços Aplicados

Com a definição do tema e o traçar das metas a cumprir, o processo de obtenção das informações pertinentes junto aos agentes envolvidos com a causa do portador de doença rara, - sendo eles médicos, especialistas, portadores de doenças raras e seus familiares, representantes do Poder Judiciário e até mesmo o ministro da Saúde -, foi iniciado no mês de maio do corrente ano de 2019, com a elaboração de e-mails com as solicitações das informações necessárias e afins a cada momento em que o trabalho de pesquisa foi sendo estruturado.

Somado a isso, diálogos foram estabelecidos via telefone, com o esclarecimento de pontos inerentes às entrevistas respondidas via e-mail, bem como

em relação à análise de documentos concedidos para maior entendimento dos assuntos discutidos.

Encontros pessoais foram realizados junto ao ministro da Saúde, Luiz Henrique Mandetta, receptivo e afinado com a causa e com as necessidades especiais dos portadores de doenças raras. O ministério possui um Departamento de Atenção Especializada e Temática que envolve trabalhos relacionados a diversos temas e, entre eles, as doenças raras. Mas ainda não se trata de um setor ou coordenação específica sobre as DRs. Isso torna pertinente que, inclusive, como resultado desse trabalho, o Ministério seja provocado, por meio de iniciativa parlamentar, a criar um espaço específico para esse tipo de trabalho com vistas a reunir informações e facilitar a identificação de pacientes em todo país, bem como direcionar ações de modo a minimizar as dificuldades de acesso a medicamentos, como a própria judicialização.

Junto à Secretaria de Saúde do estado de Rondônia não foram obtidas informações sobre a atenção ao portador de doença rara. A servidora da Secretaria, Cristina Mabel, apenas informou que havia uma lista com os medicamentos solicitados e que a localidade não dispunha de programas para assistência a esses pacientes. Apesar de ter se reunido com o secretário estadual Fernando Máximo, até o encerramento da tabulação dos dados não foram fornecidas mais informações.

Como parte integrante das tarefas parlamentares, viagens foram realizadas para participação ativa em congressos e encontros inerentes ao tema, dentro e fora do Brasil, com a apresentação e apreciação de ideias, saberes e até mesmo ações já consolidadas que se aplicariam eficientemente em território brasileiro.

A manutenção e repetição de contatos para o reforço aos pedidos de colaboração para o enriquecimento da consolidação das ideias foram constantes, alguns com respostas positivas e outras negativas, caracterizadas pela 'não-resposta'.

4.9.2 Dificuldades Encontradas

As maiores dificuldades estiveram centradas no tempo de resposta dos entrevistados, bem como junto aos secretários e assessores das secretarias de saúde no Estado de Rondônia e do Distrito Federal, que não respondiam aos e-mails, por vezes, ou mesmo demoravam com o fornecimento das respostas, que

chegavam incompletas ou mesmo incompreensíveis, como ocorrido junto à Dra. Grindler, da Rede Dora.

O mesmo ocorreu com a assessoria do Ministério da Saúde, que não enviou as respostas para os questionamentos encaminhados.

Diante disso, uma reorganização do questionamento era realizada e o processo de busca por informações era retomado e, por vezes, também passavam pelo mesmo processo de ausência de resposta pelas partes requisitadas.

De contrapartida, muitos dos consultados foram solícitos e precisos, conforme constam entrevistas e respostas na íntegra (apêndices), sendo exemplo o Estado de Rondônia, eleito para fins colaborativos por apresentar uma realidade diferente do Centro-Sul, cujo alvo de pesquisas e buscas foi o Estado de São Paulo.

Nesse Estado, a maior dificuldade foi a materialidade dos dados e resultados sobre a Rede Dora por ainda ser um projeto em formação e com ações que não podem, ainda, ser divulgadas.

5. CONSIDERAÇÕES FINAIS

As ciências humanas não podem ser mensuradas e nem concluídas ou limitadas a um estudo de caso, a um capítulo literário. Quando se trata de pessoas, as mudanças e transformações se projetam para muito além do prático, mas o racional precisa ser considerado como polo norteador de ações efetivas para o alcance de objetivos práticos e vitais.

Ao debater sobre as condições de saúde dos portadores de doenças raras, muito já se fez e muito mais ainda precisa ser feito para que haja dignidade em sua condição de vida e para que haja, sobretudo, humanidade na relação do Estado com seus cidadãos.

A realização desse trabalho permitiu que se buscasse conhecer melhor a temática, suas políticas vigentes, proposituras e a efetivação dos tratamentos existentes, atendimento de profissionais competentes, ministração de medicamentos e a busca pelas inovações desse mercado, sempre em desenvolvimento.

Respondendo aos objetivos propostos, apresenta-se enumeradamente:

1) No Estado de São Paulo já existe um modelo, em implantação, que poderá ser seguido/copiado, embora os resultados práticos ainda não tenham sido divulgados nacionalmente por questões burocráticas, mas que implica em supor, sob hipótese a se investigar, que haverá redução nas demandas judiciais pelo direito à saúde e tratamento medicamentoso, tendo em vista que medicamentos já foram aprovados pelo Ministério da Saúde e com prazo determinado para a disponibilização nas farmácias de alto custo do governo federal.

De acordo com o modelo paulista, a criação de um banco de dados e sua divulgação, possibilitariam, através do compartilhamento da informação e suas similaridades com outros casos ao redor do mundo, a redução de custos significativos tendo em vista a presença do aporte legal e a presença do governo no ato de negociar e comprar a medicação rara para o portador de doença rara, tendo em vista a isenção de impostos.

2) A União, através de seu Ministério da Saúde, tem trabalhado junto aos órgãos competentes para a manutenção dos programas de apoio ao paciente com doença rara. O fato de conceder o benefício da habilitação a algumas unidades hospitalares e assistenciais (nove no total) facilita o fornecimento de recursos para o

estruturamento das unidades, compra de medicamentos e contratação de profissionais competentes, tendo em vista que o portador de DR necessita de especialistas em todo o processo do tratamento. Há a recomendação de que os modelos existentes em alguns Estados do Brasil sejam incorporados em todas as unidades federativas para que os procedimentos adotados sigam uma orientação em suas atividades, com linearidade.

3) A falta de informação, principalmente através de canais oficiais, respaldados cientificamente com pesquisas em relação às doenças e aos seus respectivos medicamentos paliativos, ainda é um grande obstáculo aos pacientes e aos gestores, bem como para os representantes do poder judiciário que se veem diante de casos em que não possuem informação suficiente para demandar justamente. A falta de centros de tratamento ainda é um problema enfrentando pelos portadores de DRs e os existentes ainda não são suficientes para a demanda de 13 milhões de indivíduos. A unificação das informações e a melhoria da rede representariam vantagem significativa para os demandantes e seus familiares.

4) Com o apoio de projetos de lei e emendas parlamentares, a atenção à saúde de modo geral e em especial ao portador de doença rara, servirão como mola propulsora à implementação de políticas públicas efetivas, corroboradas pela criação e funcionamento de uma Coordenação Nacional para Doenças Raras, para que todo o país tenha conhecimento acerca das enfermidades, formas de tratamento e disponibilidade de medicamentos nas farmácias de alto custo ou se haverá a necessidade de solicitar ajuda para os governos estaduais ou federais. Uma coordenação nesse sentido será fundamental ainda para que recursos destinados por meio de emendas parlamentares possam ser utilizados especificamente pela União para o custeio de ações relacionadas aos pacientes de doenças raras, tendo em vista que, nos moldes atuais, quando é feita essa destinação, por não haver uma coordenação específica de doenças raras, não há garantia que o recurso seja utilizado exatamente com este fim, cuja responsabilidade final é do Estado ou do município.

5) A existência de nove unidades habilitadas para o tratamento de pacientes com doença rara no Brasil e a iniciativa de outras oito em buscar o apoio do Ministério da Saúde demonstra que as políticas públicas estão sendo implementadas e, aos poucos, começam a atingir seus objetivos, principalmente ao direcionar os pacientes para os locais adequados aos seus tratamentos, com medicação apropriada e com

profissionais capacitados para atendê-los, somado ao respectivo apoio e suporte aos familiares.

6) O ativismo de parlamentares, com a participação em comissões e eventos nacionais e internacionais com a temática da saúde contribuirá com a proposta de criação de uma Coordenação Nacional para Doenças Raras, com informações precisas e constante alimentação de dados, e que sirva de exemplo para outros países. Os resultados positivos conseguidos até aqui são estimulantes; novos trabalhos de pesquisa são desenvolvidos, jurisprudências instituídas, projetos de lei desenvolvidos e emendas parlamentares destinadas à saúde, causa defendida por muitos deputados e senadores em exercício.

7) Obstante aos avanços já conquistados ainda está a barreira da desinformação, das improbidades administrativas junto aos recursos públicos disponíveis, da falta de hospitais e centros de tratamento, de medicamentos em quantidade insuficiente. Os problemas são inúmeros, sendo que a infraestrutura, de modo geral, é o grande entrave dessa questão de saúde pública em território nacional.

Tudo pode ser mudado com iniciativas positivas, alicerçadas pelo conhecimento técnico-científico das academias e dos poderes Legislativos, Executivo e Judiciário em todos os níveis da federação – municípios, Estados e União, sem prejuízo ao sistema já existente, o SUS, que atende à grande maioria com “muito a desejar” em milhares de aspectos, mas com efetividade ao atendimento geral.

Com isso, almeja-se que se torne motivador para o parlamento brasileiro apreciar essa demanda com celeridade tendo em vista que o tempo é o maior inimigo de portadores de doenças raras, geralmente degenerativas ou de grandes agravantes à dignidade humana. Lembrando que para o gestor público sempre haverá grandes dificuldades, pois nenhum recurso será suficiente para atender a todos os pacientes, tendo em vista o tamanho da população brasileira.

De modo geral, ainda se nota o descomprometimento de parte dos detentores do poder, do Estado e demais entes federados, com o doente/paciente, que muitas vezes só tem seu direito à saúde, partindo de um atendimento a uma simples internação de hospital, quando recorre ao poder judiciário para concedê-lo, o que nem sempre é possível devido à falta de estrutura eficiente para tal. Razão essa, pela qual, um banco de dados reunindo informações sobre pacientes diagnosticados, medicamentos e outras informações faz-se imperioso.

REFERÊNCIAS

AGUIAR, Carolina Villa Nova; et al. **Doenças raras: cenário no Brasil e no mundo.** Revista Saúde e Desenvolvimento / vol. 12, n. 11, 2018. Disponível em: <<https://www.uninter.com/revistasauade/index.php/sauadeDesenvolvimento/article/view/960/541>>. Acesso em: 08 jun. 2019.

ÁVILA, Kellen C. de Andrade. **Teoria da reserva do possível.** Jusnavigandi. Disponível em: <<http://jus.com.br/artigos/24062/teoria-da-reserva-do-possivel#ixzz3akAr9QpO>>. Acesso em 13. mai. 2015.

BARBOSA, Rogério Lima. **Para uma nova perspectiva sobre o campo das doenças raras: a motivação das associações civis em debate.** Tempus, actas de saúde colet, Brasília, 9(2), 57-74, jun. 2015.

BRASIL. **Constituição da República Federativa do Brasil de 1988.** Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicaocompilado.htm>. Acesso em: 01/05/2019.

BRASIL. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Ministério da Saúde - Gabinete do Ministro. 2014. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html> Acesso em: 20/09/2019.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Portaria nº 81, de 20 de janeiro de 2009.** Diário Oficial da União 2009.

CASTRO, K. R. T. R. **Os Juízes Diante da Judicialização da Saúde: o NAT como instrumento de aperfeiçoamento das decisões judiciais na área da saúde.** 2012. Dissertação de Mestrado, Rio de Janeiro: Fundação Getúlio Vargas. Disponível em: <<https://bibliotecadigital.fgv.br/dspace/handle/10438/9769>> Acesso em: 20/09/2019.

CANELA JUNIOR, Osvaldo. **Controle judicial de políticas públicas.** São Paulo: Saraiva, 2011. p. 136.

CLARK, Luciana; Clark, Otávio. **Doenças raras e a necessidade de políticas públicas.** 2013. Disponível em: <<http://www.evidencias.com.br/pdf/publicacoes/80b4aba1b9c08e7a2d7901f4ee6b2cb7.pdf>>. Acesso em: 01/04/2019.

DALLARI, S. **Aspectos particulares da chamada judicialização da saúde.** revista do Direito Sanitário, 14(1): 77-81, 2013. Disponível em: <<http://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/56624>> Acesso em: 19/09/2019.

DI PIETRO, Maria Sylvia Zanella. **Direito administrativo.** 32. ed. Rio de Janeiro: Forense. 2019.

DOENÇAS Raras. **Decisão do supremo sobre medicamentos para doenças raras contempla proposta de Mariana Carvalho.** Disponível em:

<<https://marianacarvalho.site/decisao-do-supremo-sobre-medicamentos-para-doencas-raras-contempla-proposta-de-mariana-carvalho/>> Acesso em: 05/06/2019.

FELTMATE, K.; JANISZEWSKI, P. M.; GINGERICH, S.; CLOUTIER, M. **Delayed access to treatments for rare diseases: Who's to blame?** *Respirology*, v. 20, n. 3, p. 361– 369, 2015. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/25722183>> Acesso em: 10/05/2019.

FERREIRA, S. L. & COSTA, A. M. **Núcleos de Assessoria Técnica e judicialização da saúde: constitucionais ou inconstitucionais?** *Revista SJRJ*, 20 (36): 219-240, 2013. Disponível em: <http://www.mpdft.mp.br/saude/images/judicializacao/Nucleos_assessoria_tecnica.pdf> Acesso em: 15/09/2019.

FERREIRA, Luciano; GRANDELLE, Renato. **A vida com uma doença rara: o que muda após decisão do STF sobre medicamentos.** 2019. O Globo. Disponível em: <<https://oglobo.globo.com/sociedade/a-vida-com-uma-doenca-rara-que-muda-apos-decisao-do-stf-sobre-medicamentos-23689557>>. Acesso em: 26/05/2019.

INTERFARMA. **Doenças Raras: Contribuições para uma Política Nacional.** Interfarma – Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa. 2013. Volume V. Disponível em: <www.interfarma.org.br>. Acesso em: 15/03/2019.

INTERFARMA. **Acesso e Financiamento à Saúde no Brasil.** Interfarma – Associação da Indústria Farmacêutica para a Vida – 20 anos. Inovações para a Vida. Edições Especiais Saúde – Volume I. São Paulo, agosto de 2010.

LAZARI, Rafael José Nadim de. **Reserva do possível e mínimo existencial: a pretensão da eficácia da norma constitucional em face da realidade.** Curitiba: Juruá, 2012, p. 92.

LENZA, Pedro. **Direito constitucional esquematizado.** 23. ed. São Paulo: Saraiva Educação. 2019.

MACEDO, Fausto. **As doenças raras e o tratamento que não chega.** Disponível em: <<https://politica.estadao.com.br/blogs/fausto-macedo/as-doencas-raras-e-o-tratamento-que-nao-chega/>> Acesso em 04/10/2019.

MAHONEY, J. & THELEN, K. A theory of gradual institutional change. *In*: MAHONEY, J. & THELEN, K. (Eds.). **Explaining Institutional Change: ambiguity, agency, and power.** Cambridge: Cambridge University Press, 2010.

MÂNICA, Fernando Borges. **Teoria da Reserva do Possível: Direitos Fundamentais a Prestações e a Intervenção do Poder Judiciário Na Implementação de Políticas Públicas.** *Revista Eletrônica de Direito Administrativo Econômico*, Salvador Bahia, n. 25, fev/mar/abr.2011, p. 16. Disponível em: <http://direitodoestado.com/revista/REDAE-25-ABRIL-2011-FERNANDO-BORGES-MANICA.pdf>. Acesso em: 08 abr 2019.

MARTINS, Alberto Pereira. **STF: Estado só deve fornecer medicamentos sem registro na Anvisa em casos excepcionais.** 2019. Migalhas. Disponível em:

<<https://www.migalhas.com.br/Quentes/17,MI302836,61044-STF+Estado+so+deve+fornecer+medicamentos+sem+registro+na+Anvisa+em>>. Acesso em: 25/05/2019.

MAZZA, F. & MENDES, A. N. **Decisões judiciais e orçamento: um olhar sobre a saúde pública**. Revista do Direito Sanitário, 14(3): 42-65, 2014. Disponível em: <<https://www.revistas.usp.br/rdisan/article/download/75519/79077/+&cd=2&hl=pt-BR&ct=clnk&gl=br>> Acesso em: 20/09/2019.

MINISTÉRIO da Saúde. **SUS ofertará medicamentos para tratar AME**. Disponível em: <<http://www.saude.gov.br/noticias/agencia-saude/45388-sus-ofertara-medicamento-para-tratar-ame>> Acesso em: 01/06/2019.

MOURA, Rafael Moraes. **STF impõe restrições e define regras para fornecimento de medicamento sem registro da Anvisa**. 2019. Estadão. Disponível em: <https://saude.estadao.com.br/noticias/geral,stf-forma-maioria-para-impor-restricoes-ao-fornecimento-de-medicamentos-de-alto-custo,70002839064?utm_source=webpush_notificacao&utm_medium=webpush_notificacao&utm_campaign=webpush_notificacao>. Acesso em: 25/05/2019.

MOURA, R. M. **Itinerário Diagnóstico e Terapêutico das Famílias e dos Pacientes com Doenças Órfãs**. 2013. 80 f. Dissertação (Mestrado em Promoção da Saúde e Prevenção da Violência) - Universidade Federal de Minas Gerais, 2013. Disponível em: <https://repositorio.ufmg.br/bitstream/1843/BUBD-A5EKEC/1/dissertao_renata_macedo_moura__8dez2015_.pdf> Acesso em: 10/05/2019.

NASCIMENTO, Ana Franco do. **O Direito à Saúde em Face do Princípio da Reserva do Possível**; disponível em <<https://jus.com.br/artigos/55541/o-direito-a-saude-em-face-do-principio-da-reserva-do-possivel>> acesso em 1 de novembro de 2019.

OLIVEIRA, Vanessa Elias de. **Judicialização de Políticas Públicas no Brasil** / organizado por Vanessa Elias de Oliveira. – Rio de Janeiro: Editora Fiocruz, 2019. 319p.

PAULO, Vicente e ALEXANDRINO, Marcelo. **Direito Constitucional Descomplicado**. 2. ed. Niterói: Editora Impetus, 2008, p. 96.

PASSOS, Letícia. **STF: medicações para doenças raras devem ser fornecidas pelo Estado**. 2019. Veja. Disponível em: <<https://veja.abril.com.br/saude/stf-medicacoes-para-doencas-raras-devem-ser-fornecidas-pelo-estado/?fbclid=IwAR3jQUFrhTx10Noy2fyxvCID4PF73tWTUURPvrjD2nEvtBJ41vd4VXKS07M>>. Acesso em: 24/05/2019.

PROJETO isenta de tributos medicamentos destinados a doenças raras. 2019. Disponível em: <<https://www.camara.leg.br/noticias/559651-projeto-isenta-de-tributos-medicamentos-destinados-a-doencas-raras/>> Acesso em 30/09/2019.

RACHID, R. R. Alternativa à judicialização do direito à saúde: a experiência do Comitê Interinstitucional de Resolução Administrativa de Desmandas da Saúde (Cirads) no Rio Grande do Norte. In: BUCCI, M. P. D. & DUARTE, C. S. (Orgs.).

Judicialização da Saúde: a visão do Poder Executivo. São Paulo: Saraiva, 2017. Disponível em: <http://www.mpsp.mp.br/portal/page/portal/documentacao_e_divulgacao/doc_biblioteca/bibli_servicos_produtos/bibli_boletim/bibli_bol_2018/Bol07_01.pdf> Acesso em 18/09/2019.

RAJASIMHA, H. K.; SHIROL, P. B.; RAMAMOORTHY, P.; HEGDE, M.; BARDE, S.; CHANDRU, V.; *et al.* **Organization for rare diseases India (ORDI) - addressing the challenges and opportunities for the Indian rare diseases' community.** Genet. Res. (Camb), v. 96, n. 0, 2014. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/25579084>> Acesso em: 10/05/2019.

RAMALLE-GÔMARA, E.; RUIZ, E.; QUIÑONES, C.; ANDRÉS, S.; IRUZUBIETA, J.; GILDE-GÓMEZ, J. **General knowledge and opinion of future health care and nonhealth care professionals on rare diseases.** J Eval Clin Pract.; v. 21, n. 2, p. 198– 201, 2015. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/25363689>> Acesso em: 10/05/2019.

RDC. Resolução da Diretoria Colegiada – RDC nº 205, de 28 de dezembro de 2017. Disponível em: <http://portal.anvisa.gov.br/documents/10181/2718376/RDC_205_2017_.pdf/996fc46e-216b-44ab-b8c8-2778151b786e> Acesso em: 20/09/2019.

ROBINSON, S. W.; BRANTLEY, K.; LIOW, C.; TEAGARDEN, J. R. **An early examination of access to select orphan drugs treating rare diseases in health insurance exchange plans.** J. Manag. care Spec. Pharm., v. 20, n. 10, p. 997– 1004, 2014. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/25278322>> Acesso em: 10/05/2019.

SARLET, Ingo Wolfgang; *et al.* **Direitos fundamentais: orçamento e “reserva do possível”.** 2. ed. rev. e ampl. 2. Tir – Porto Alegre: Livraria do Advogado Editora. 2013. p.14.

SIMPÓSIO. **II Simpósio Internacional sobre Doenças Raras.** 2016. II International Symposium on Rare Diseases – II RDis. Disponível em: <http://www2.ebserh.gov.br/web/hc-ufpe/noticias/-/asset_publisher/FipO9upE5_FZw/content/id/986085/2016-03-ii-simposio-internacional-sobre-doencas-raras-sera-de-segunda-7-a-quarta-feira-9->> Acesso em: 10/10/2019.

STORF, H.; HARTZ, T.; TEGTBAUER, N.; PFEIFFER, W., SCHMIDTKE J, GRAESSNER H, *et al.* **Vision and Challenges of a Cartographic Representation of Expert Medical Centres for Rare Diseases.** Stud Health Technol. Inform., v. 205, p. 677–681, 2014. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/25160272>> Acesso em: 10/05/2019.

SUPREMO Tribunal Federal - STF. **Decisão do Supremo sobre medicamentos para doenças raras contempla proposta de Mariana Carvalho.** Disponível em: <<https://marianacarvalho.site/decisao-do-supremo-sobre-medicamentos-para-doencas-raras-contempla-proposta-de-mariana-carvalho/>> Acesso em: 27/05/2019.

VILLAS-BOAS, Eduardo da Silva. **Escassez, reserva do possível e razoabilidade de expectativas**. Disponível: < <http://www.conteudojuridico.com.br/artigo,escassez-reserva-do-possivel-erazoabilidade-de-expectativas,47850.html>> Acesso: 08 set. 2019.

VITAL, Antônio. **Especialista critica falta de políticas públicas para tratamento de doenças raras**. 2016. Disponível em: <<https://www2.camara.leg.br/camaranoticias/noticias/saude/518989-especialista-critica-falta-de-politicas-publicas-para-tratamento-de-doencas-raras.html>> Acesso em: 28/04/2019.

WANG, D. W. L. *et al.* **Os impactos da judicialização da saúde no município de São Paulo: gasto público e organização federativa**. Revista de Administração Pública, 48(5): 1.191-1.206, 2015. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0034-76122014000500006&script=sci_abstract&tlng=pt> Acesso em: 22/09/2019.

WONDER, M.; CHIN, G. **What impact does “conventional” economic evaluation have on patient access to new orphan medicines?** A comparative study of their reimbursement in Australia (2005-2012). Expert Rev. Pharmacoecon Outcomes Res., v. 15, n. 5, p. 843–850, 2015. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/25938794>> Acesso em: 10/05/2019.

APÊNDICES

APÊNDICE I

ENTREVISTA SOBRE A IMPORTÂNCIA DA IMPLEMENTAÇÃO DE UMA POLÍTICA NACIONAL EFETIVA PARA DOENÇAS RARAS

CARMELA MAGGIUZZO GRINDLER

Possui graduação em Medicina pela Faculdade de Ciências Médicas de Santos (1981), especialização em Residência Médica em Pediatria e Puericultura pela Faculdade de Ciências Médicas da Santa Casa de São Paulo (1984) e mestrado em Pediatria e Ciências Aplicadas À Pediatria pela Universidade Federal de São Paulo (1994). Atualmente é Médica Primeiro-Assistente da Irmandade da Santa Casa de Misericórdia de São Paulo e Professora-Assistente da Faculdade de Ciências Médicas da Santa Casa de São Paulo. Tem experiência na área de Medicina, com ênfase em Clínica Médica. Atuando principalmente nos seguintes temas: Febre sem sinais de localização, Evolução clínica, Laboratório, Diagnósticos.

1- Quais as principais dificuldades para tratar as pessoas portadoras de doenças raras?

Já identificamos dois pontos importantes para a Organização da Rede de Atenção à Pessoa com doenças raras (DRs) no Estado de São Paulo para podermos tratá-las, sempre em busca do melhor desfecho terapêutico, individualizado.

O primeiro é o diagnóstico precoce. Como 75% das primeiras manifestações clínicas ocorrem na infância e são similares aos das doenças mais frequentes nessa faixa etária, o tempo que o Clínico de Crianças e Adolescentes leva para concluir o diagnóstico é muito longo. Todos pensam em Síndromes Genéticas Clássicas (Dismorfia) quando falamos de DR, mas elas são 40% das Raras. O mais difícil é fazer o diagnóstico quando a doença não está na “cara”. Em nosso Estado, o tempo para fechar o diagnóstico de uma DR varia entre 6 meses e 3 anos e meio. Como a maioria dessas doenças é degenerativa, quando o diagnóstico é feito o doente já apresenta danos de órgão vitais, de modo irreversível.

O segundo, sem dúvida é o custo dos tratamentos. No que tange à terapêutica medicamentosa, a via judicial é a via preferencial de acesso a esses

medicamentos de altíssimo custo, no SUS. Fato esse, que está comprometendo a sustentabilidade/viabilidade econômica do SUS. Se considerarmos que temos 8000 DRs, apenas 160 delas já têm tratamento específico. Nenhum deles é curativo. Porém podem parar a evolução natural dessas doenças. Daí a importância da realização do diagnóstico precoce, para promovermos o tratamento adequado, em tempo oportuno, para obtenção do melhor desfecho terapêutico.

2- Como esta Secretária de Saúde/Ministério tem contribuído para facilitar o acesso ao tratamento das pessoas portadoras de Doenças Raras?

Obs.: Entende-se por tratamento, o diagnóstico, a assistência nos centros e hospitais, bem como, o acesso aos medicamentos para tratar ou minimizar os impactos da doença.

A Portaria MS/GM nº 199 de janeiro de 2014, foi um marco importante para o reconhecimento da existência desse grupo de doentes em nosso país. Mas o incentivo financeiro vinculado a ela é pífio. O custo real dos testes genéticos é muito baixo daqueles praticados pelos laboratórios de Genética. Esses laboratórios são equipados com tecnologia de ponta. Os profissionais que operam esses laboratórios foram capacitados e habilitados nas grandes Universidades, do exterior, com financiamento público. Esses mesmos técnicos atuam nos laboratórios de pesquisa dos Hospitais Universitários e de ensino do Estado de São Paulo.

Respondendo na ordem dos seus questionamentos:

- TRATAMENTO:

A lei federal nº 12.401 de abril de 2011 estabeleceu que toda a introdução de nova tecnologia deve ser aprovada pela CONITEC – Comissão Nacional de Inovação Tecnológica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologia em Saúde – DGITS do Ministério da Saúde. Em 2012, a CONITEC consultou 60 Médicos Especialistas sobre quais eram as DRs mais frequentes no país. Com isso, ela tem validado os novos medicamentos para DR. A ferramenta de escolha para a introdução desses novos medicamentos na RENAME – Relação Nacional de Medicamentos Essenciais são os Protocolos de Tratamento, seguimento e acompanhamento de cada remédio para Doença Rara. Mas, mesmo assim, a via judicial continua sendo a via de acesso

preferencial para a esses medicamentos. Em 2018, a SESSP, gastou 1 bilhão e 800 mil reais com medicamentos, órteses e próteses, dispositivos eletrônicos e diversos e diversificados procedimentos a serem realizados por pessoas com DR. Sendo que 60% das ações judiciais contra o SUS são advindos da área da Saúde Suplementar.

- DIAGNÓSTICO E ASSISTÊNCIA:

O acesso ao diagnóstico e a assistência nos Centros de Referência no Estado de São Paulo são meta da REDE DORA – Rede de Doenças Raras do Estado de São Paulo e agora prioridade do Governo do Estado de São Paulo. O Ministério da Saúde – MS aprovou em 2016 oito Centros de Referências de Doenças Raras em todo país, sendo que no Estado de São Paulo, o MS aprovou com a Portaria nº 3.372, de 29 de novembro de 2016, Habilitou o Ambulatório de Especialidade da FUABC - Faculdade de Medicina ABC - Santo André, como Serviço de Referência em Doenças Raras para atender a região do colegiado do ABC (sete municípios).

Estamos trabalhando para implantar mais cinco Serviços de Referência de Doenças Raras e compondo a Rede de Assistência. Cada um desses hospitais da Rede Dora já realiza atendimento há muitos anos a pelo menos um grupo de DRs, exercendo a função de Serviço de Atenção Especializado de Referência a ela(s), antes mesmo da Política Nacional. Para qualificarmos o que já temos na Rede de Assistência à Saúde atualmente, precisamos organizar o acesso ambulatorial, via Central de Regulação de Vagas (CROSS), para a confirmação dos diagnósticos (Médicos Especialista dos Ames) e para o seguimento e acompanhamento de cada grupo de DR, principalmente na infância. Lembrando, que os Médicos Especialistas têm áreas de concentração do conhecimento, para algumas doenças, dentro da sua própria especialidade (exemplo: retina oftalmologia, neurologia, esclerose lateral amiotrófica).

- 3- É sabido que a dificuldade do acesso aos medicamentos indicados para tratar as pessoas portadoras de doenças raras tem levado ao aumento da judicialização em busca do acesso. Quais medidas o Governo pretende implementar visando a redução da judicialização?**

A construção da Rede Dora/ SP.

4- Sob sua avaliação qual seria o melhor caminho para dar celeridade à entrega desses medicamentos?

A priorização governamental. Políticas de Governo.

5- Quais programas, incentivos ou apoio que têm sido realizados para os pacientes portadores de doenças raras?

Programas de acesso ao diagnóstico, tratamento, seguimento e acompanhamento, referenciado pela Linha de Cuidados para cada grupo de doença. Temos participado de todas as audiências públicas, reuniões do Conselho Estadual e Municipal de Saúde, Cursos e Congressos dos profissionais que integrarão a Rede Dora e reuniões com Organizações não governamentais.

SEGUNDA ENTREVISTA

ENTREVISTA DRA. CARMELA GRINDLER – REDE DORA

1º) O que é a Rede Dora?

Resposta: É o acrônimo da Rede estadual de Atenção Integral à Pessoa com Doença Rara do Estado de São Paulo.

2º) Ela já existe de fato? Se não, o que falta para ser implantada e quando será sua inauguração oficial?

Resposta: O estado de São Paulo há mais de 40 anos já atende em Serviços Especializados pessoas com DRs. O que estamos reorganizando é o acesso a essa rede por via informatizada (Central de Regulação de Vagas) e qualificando por área de concentração desses Serviços. Por exemplo: Oftalmologia → Retina; Neurologia → Esclerose Múltipla e assim, sucessivamente. Planejamos, em breve, lançar a Política Estadual de Atenção à Pessoa com DRs do Estado de São Paulo.

3º) Quais as dificuldades enfrentadas pelo governo do estado para fazer com que uma rede como essa exista?

Resposta: Temos 44.000.000 (quarenta e quatro milhões) de pessoas domiciliadas no estado de São Paulo. Nada aqui é pequeno, nem se quer o número absoluto de cada DR. A lógica da Política Federal das Raras precisa ser customizada para o estado de São Paulo. Já trabalhamos com Redes Regionalizadas de Atenção à Saúde, então precisamos de, no mínimo, cinco Serviços de Referência de DRs do modelo proposto pela Política dos Raros, precisamos de mais de 100 Serviços de Atenção Especializada para atender aos grupos de DRs. O custeio previsto na política, para realização dos diagnósticos, incluindo os testes genéticos, são insuficientes para atendermos às necessidades dessas pessoas, só quanto ao diagnóstico. 95% das DRs requerem cuidados no Modelo dos Cuidados da Medicina Paliativa e isso não está previsto na Política.

4º) Quais e quantos hospitais ou centros de referência compõem ou comporão essa rede? O Centro de Referência de Santo André compõe ou comporá essa rede?

Resposta: O Ambulatório da Faculdade de Medicina ABC é de gestão do Município de Santo André no SUS. Ele foi habilitado pelo Ministério da Saúde para dar assistência aos 7 municípios do território do ABC. No estado de São Paulo estamos organizando a Rede DORA SP com cinco Serviços de Referência + FMABC.

5º) Existem centros que estão buscando ser reconhecidos como de referência pelo Ministério da Saúde? Se sim, quais são eles? E o que muda com esse reconhecimento?

Resposta: Sim! Desde 2016 o Hospital das Clínicas USP Ribeirão Preto + o Hospital das Clínicas UNICAMP já apresentaram todos os documentos para o Ministério da Saúde pleiteando o credenciamento, sem sucesso.

6º) Cada centro de referência é especializado em uma doença rara em específico ou pode abranger mais de uma?

Resposta: Os Serviços de Referência, coordenados por Médicos Geneticistas, atenderam prioritariamente malformações congênitas, para realização dos testes genéticos, quando houver indicação, e Aconselhamento Genético (Prevenção em Saúde Pública) e Erros Inatos do Metabolismo para confirmação do diagnóstico, teste genético e início dos tratamentos, quando houver um tratamento disponível para tal.

Os Serviços de Atenção especializada serão para uma Doença Específica, não quer dizer que ele atenderá só uma doença, mas que a equipe multidisciplinar e multiprofissional desse núcleo assistencial dispõe de conhecimento no seguimento, acompanhamento e principalmente no tratamento. Chamamos a esse conjunto de “conhecimentos de um médico, uma equipe ou um serviço” de área de concentração do conhecimento sobre uma DR. Estamos começando a organizar as Redes de Serviços de Atenção Especializadas, por aquelas DRs, que já têm PCDT aprovado pelo Ministério da Saúde.

7º) Ainda no contexto da Rede Dora, já existe uma integração entre bancos de dados sobre doenças raras, medicamentos, pacientes, etc., ou essa ainda é uma meta a ser alcançada?

Resposta: Cada Serviço de DR existente e atuante no estado de São Paulo tem seu próprio banco de dados. A Coordenadoria de Assistência farmacêutica dispõe de um Sistema Informatizado que se chama MEDEX, onde conta os dados cadastrais de todos os usuários, com o nome das suas doenças e que retiram medicamentos nas Farmácias da Secretaria de Saúde de São Paulo - SESSP. A meta da Rede Dora SP é realizar o Registro de Patologia para o desenvolvimento de um Programa de FARMACOVIGILÂNCIA E FARMACOGENÔMICA.

8º) A ideia para implantação da Rede Dora foi baseada em alguma outra experiência no Brasil ou no exterior?

Resposta: Essa ideia nasce da experiência dos próprios especialistas do estado de São Paulo. Eles desejam muito que o diagnóstico dessas doenças seja feito precocemente e que os tratamentos sejam introduzidos no momento ideal e oportuno, com o objetivo de obtermos o melhor resultado terapêutico para o doente. Para obtermos esse tipo de “casamento de sucesso” só integrando, hierarquizando e alinhando todos os pontos da Rede de Atenção à Saúde do território. O nome REDE DORA foi criação da filha da Professora Dra. Magda Carneiro Sampaio – ICR HC FMUSP, que trabalha com *marketing*, quando em 2011 começamos a encampar a ideia da criação desse modelo de trabalho em Redes. Além do que, DORA é nome de mulher poderosa, segundo a Magda!

9º) Se a Rede Dora já estiver de fato em funcionamento, solicitamos uma relação com os resultados alcançados até o momento.

Resposta: Não temos resultados em números para fornecer a vocês. Mas posso fornecer uma avaliação subjetiva sobre esse trabalho: ele não está só nas arenas sociais, tornou-se pauta governamental. Hoje a Rede Dora SP é uma das prioridades do atual governo do estado de São Paulo.

APÊNDICE II

Ao tempo que cumprimento Vossa Excelência, e conforme conversado via fone, segue a nossa manifestação sobre os questionamentos relacionados com as ações do Comitê do Fórum da Saúde do Conselho Nacional de Justiça.

A IMPORTÂNCIA DA IMPLEMENTAÇÃO DE UMA POLITICA NACIONAL EFETIVA DOENÇAS RARAS

1- Quais as principais dificuldades para tratar as pessoas portadoras de doenças raras?

São duas as principais dificuldades para tratar as pessoas com doenças raras. A primeira delas é conjuntural: os medicamentos disponíveis no mercado mundial para doenças raras são aplicados a apenas cerca de 5% das 8000 doenças raras existentes, visando não à cura, mas à palição de alguns aspectos da doença. No geral os medicamentos são insuficientes face às múltiplas complexidades das doenças que dizem tratar; seus benefícios e riscos foram pouco estudados durante a etapa de pesquisa clínica e assim a incerteza é elevada para incluí-los na prática médica cotidiana; além do que são tão caros que inviabilizam sua aquisição pela maioria dos países, mesmo os desenvolvidos. O ciclo de inovação nos mesmos nichos tem sido tão rápido que antes mesmo que se consiga estudar e incorporar uma inovação, o mercado já oferece outra novidade ainda mais incerta e mais cara. Pode-se dizer que no estágio atual estamos frente a um novo e lucrativo nicho de negócios, porém ainda sem garantia efetiva do o tratamento das pessoas raras.

A segunda dificuldade é logística. O Brasil dispõe de alguns centros de medicina genética, em geral ligados a hospitais universitários, porém para o cuidado integral à pessoa com doença rara, como política de Estado, é necessário criar uma rede articulada de serviços de medicina genética especialmente dedicada às doenças raras e distribuída em todo o território nacional que seja suficientemente estruturada, capacitada e financiada para:

- 1- receber e orientar suspeitas de doenças raras;
- 2- realizar e confirmar diagnósticos;

- 3- orientar e realizar ampla variedade de tratamentos de preferência num mesmo serviço, que vão desde cirurgias às mais diversas, visando correção ou palição de deformidades, aos tratamentos de reabilitação, cuidados de suporte à vida, até tratamentos medicamentosos e dietéticos quando for o caso;
- 4- acompanhar os pacientes pela vida toda, garantindo tratamentos seguros, eficazes e customizados a cada doente individualizado;
- 5- orientar e realizar aconselhamento genético às famílias e aos doentes raros e disponibilizar estratégias de planejamento familiar quando indicado;
- 6- participar de pesquisas clínicas com novos tratamentos ainda em fase de experimentação e auxiliar na obtenção de informação útil para a prática clínica.

2- Como este Conselho tem contribuído para facilitar o acesso ao tratamento das pessoas portadoras de Doenças Raras?

O Conselho tem acompanhado a elaboração da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e a habilitação de unidades especializadas de atendimento no SUS, bem como a entrada de inovações no mercado brasileiro e mundial, novas drogas, e mais recentemente terapias gênicas dirigidas a doenças raras. Tem acompanhado também a mudança da legislação da ANVISA que vem acelerando e facilitando a entrada desses produtos no mercado brasileiro, muitos deles ainda em fase experimental de pesquisa. (Registro especial RDC 205/2017) O Conselho tem contribuído para o conhecimento deste novo ramo terapêutico (terapias focadas em alvos moleculares/celulares) no âmbito da Justiça, por meio de reuniões envolvendo fabricantes, Saúde e os agentes do Direito. Vem contribuindo, também, para que sejam esclarecidos os verdadeiros potenciais terapêuticos desses novos produtos (eficácia e segurança) para os grupos específicos de doentes aos quais se destinam. Para tanto, pareceres técnico-científicos têm sido elaborados para a maioria desses novos tratamentos e estão no site do CNJ à disposição dos juízes, visando subsidiar decisões cada vez mais racionais e embasadas cientificamente. Ainda tem estimulado a criação de varas especiais de Saúde e a criação de núcleos de apoio técnico ao judiciário nos Estados.

3- É sabido que a dificuldade do acesso aos medicamentos indicados para tratar as pessoas portadoras de doenças raras tem levado ao aumento da

judicialização em busca do acesso. Quais medidas o Conselho de Justiça Federal tem adotado visando a redução da judicialização?

Antes da implementação das mudanças regulatórias operadas pela ANVISA desde 2014, a maioria dos medicamentos para doenças raras não conseguiam cumprir com os regulamentos da ANVISA, e por isso medicamentos registrados em outros países não eram registrados e comercializados no Brasil. Nesse cenário a única maneira de consegui-los era por meio de uma ação judicial. Agora, as inovações para doenças raras e câncer tem um caminho acelerado e facilitado para o registro e autorização de preço para o mercado brasileiro. Já se observa um aumento substancial no registro desses medicamentos. Nos últimos dois anos, 23 novos medicamentos para doenças raras e 52 novas indicações terapêuticas para o câncer passaram a ter registro e comercialização no país. Como, em geral, são medicamentos cujo custo ultrapassa 1 milhão de reais ao ano para um único paciente, mesmo disponível no mercado, continuam inacessíveis às famílias e doentes. A avaliação da CONITEC e a avaliação do Rol da Agência Nacional de Saúde para os Planos de Saúde ainda são mandatórios para que um novo medicamento para qualquer doença rara seja incorporado à política de medicamentos do SUS e dos planos de saúde e sejam reembolsados ou distribuídos sem custo para os doentes. E é bom que seja assim, pois essa é a via de acesso preferencial dos doentes a esses tratamentos.

No Brasil, o maior impacto econômico da judicialização na Saúde ocorre devido a esse grupo de medicamentos, pois segundo o MS, a aquisição de medicamentos pela União, cerca de 1,3 bilhões de reais em 2017, foram destinados para atender 1.200 pessoas, e foram devidos à aquisição de apenas 10 medicamentos novos para doenças raras ou câncer. E esses números devem aumentar. Em vista da abertura recente de um novo caminho administrativo com fluxo prioritário na ANVISA, estima-se que aumentará a entrada de novos medicamentos para doenças raras no mercado brasileiro, levando ao aumento da judicialização, não redução. Assim, este Conselho não tem medido esforços para reduzir a judicialização acrítica e irracional que produz malefícios aos doentes e prejuízos ao erário, por meio da oferta de subsídios científicos e atualizados aos juízes, possibilitando enfrentar o aumento esperado no número e na variedade de ações para a obtenção de medicamentos pela via judicial.

4- Sob sua avaliação qual seria o melhor caminho para dar celeridade à entrega desses medicamentos?

Nos parece que o melhor caminho é fortalecer a regulação de medicamentos e integrar as diferentes etapas de registro, autorização de preço e avaliação de novas tecnologias com vistas à incorporação pelo SUS, reduzindo assim os tempos de análise, sem perda da sua qualidade. Ainda é preciso estimular a realização de pesquisa clínica na população brasileira, condicionada ao registro precoce desses medicamentos na ANVISA, oferecendo assim, uma via de tratamento a doentes que não podem esperar. A avaliação da CONITEC poderá ser acelerada a pedido do MS. Assim, poderá começar a estudar uma nova incorporação ao SUS tão logo o fabricante manifeste interesse em registrá-lo no Brasil, ou mesmo antes disso, por meio de ferramentas de monitoramento do horizonte tecnológico como já é feito no Reino Unido, por exemplo. Dessa forma pode-se reduzir o tempo em que um medicamento, estando no mercado brasileiro, será avaliado e recomendado para ser incluído nas listas públicas de medicamentos. Finalmente, há que se obter, obrigatoriamente, recursos orçamentários novos para a Saúde, que sejam suficientes para garantir que as incorporação de novos medicamentos para doenças raras sejam realmente efetivadas no SUS. Os recursos devem ser suficientes para manter as aquisições regulares de medicamentos, produtos e exames genéticos, bem como para o pagamento das prestações de serviços de saúde especializados. Para a Saúde Suplementar, os planos de saúde deverão se adaptar e oferecer aos seus beneficiários pelo menos os mesmos tratamentos que o SUS já oferece e assim devem calcular os custos incrementais dessas incorporações, que serão divididos entre os seus associados.

5- Quais programas, incentivos ou apoio que tem sido realizado para os pacientes portadores de doenças raras?

Como já apontado acima, e isto grada relação com as atividades atinentes ao Poder Executivo, os doentes raros tem recebido atenção especializada no SUS conforme as suas necessidades e as possibilidades de tratamento existentes. Estão disponíveis desde tratamentos de suporte à vida, a procedimentos clínicos,

cirúrgicos e de reabilitação visando a manutenção da vida e a melhoria de sua qualidade. Medicamentos que possam melhorar a qualidade de vida dos doentes têm sido recomendados pela CONITEC e incorporados de forma crescente pelo MS. Novos serviços de medicina genética têm sido habilitados pelo SUS no objetivo de construção de uma rede nacional. Na linha da assistência social há benefícios para doentes e cuidadores. Tanto os programas de saúde como os de assistência social existentes precisam de melhorias e financiamento regular para contemplar as expectativas da população brasileira.

Eram essas as considerações cabíveis, valendo destacar que este texto teve a fundamental colaboração da médica e integrante do Comitê Nacional do Fórum da Saúde do Conselho Nacional de Justiça, a Dra Clarice Petramale, ex-diretora da Conitec. Ficamos à disposição.

Arnaldo Hossepian Junior

Procurador de Justiça do Ministério Público de São Paulo

Conselheiro Nacional de Justiça

Supervisor do Comitê do Forum da Saúde do CNJ

APÊNDICE III

MINISTÉRIO DA SAÚDE
SECRETARIA DE ATENÇÃO ESPECIALIZADA À SAÚDE
DEPARTAMENTO DE ATENÇÃO ESPECIALIZADA E TEMÁTICA
COORDENAÇÃO-GERAL DE ATENÇÃO ESPECIALIZADA

NOTA INFORMATIVA Nº 540/2019

ASSUNTO: Informações sobre doenças raras.

Trata-se de solicitação encaminhada para o e-mail desta Coordenação-Geral, no dia 24 de setembro de 2019, que transcrevemos na íntegra:

Boa tarde. Caro Leonardo, encaminho algumas indagações para que dentro da vossa possibilidade, possa me indicar uma pessoa que desenvolva atividades junto ao setor que trata de doenças raras.

- O que existe efetivamente dentro do Ministério da Saúde voltado às doenças raras (algum programa ou coordenação específica)?
- Se ainda não há, existe algum planejamento ou intenção de se criar uma coordenação nacional de doenças raras?
- Quando há destinação de recursos de emendas parlamentares para doenças raras, existe alguma garantia de que o recurso seja, de fato, usado para esse fim?
- Há dados integrados sobre doenças raras no país (doenças, medicamentos, pacientes, etc)? Integrar dados de pacientes e medicamentos órfãos pode ser uma forma eficaz de realizar a compra desses fármacos de forma menos onerosa aos cofres públicos?
- Há parceria com algum Estado para obtenção de dados e mapeamento de doenças?
- Qual é o conceito adotado pelo Ministério da Saúde para definir doenças raras no Brasil?
- A Portaria 199/2014 do Ministério e o RDC 205 de 2017 são as diretrizes oficiais para doenças raras hoje no Brasil?
- Quais são as maiores dificuldades enfrentadas pelo Ministério na adoção de uma política nacional de doenças raras?
- Em quanto tempo é possível estimar que o país tenha uma política nacional efetiva e o que ainda precisa ser feito para isso se concretize?

- Atualmente existem 09 Centros de Referência no país reconhecidos pelo Ministério, correto? Quais são eles e onde ficam?
- O que muda com o credenciamento de uma rede pelo Ministério como sendo de referência? Passam a receber recursos públicos?
- Há outros centros no país que cuidam de doenças raras e que tenham requerido o reconhecimento do Ministério? Quais são os critérios adotados para reconhecê-los?
- Em São Paulo está sendo implantada uma rede estadual integrada. O ministério tem alguma informação a respeito dessa rede?
- Como o Parlamento pode contribuir com a adoção de uma política nacional voltada às doenças raras?
- Os projetos de pesquisa e extensão nessa área têm recebido algum incentivo governamental?
- Qual o nome e contato da pessoa ou pessoas responsáveis pelo segmento das doenças raras no Ministério?

Isto posto, esta Coordenação-Geral de Atenção Especializada informa como segue:

As doenças raras são caracterizadas por uma ampla diversidade de sinais e sintomas que variam não só de doença para doença, mas também de pessoa para pessoa acometida pela mesma condição. Considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos².

Em 2014, o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) por meio da Portaria GM/MS nº 199³, de 30 de janeiro de 2014.

A referida Portaria dispõe sobre a habilitação de serviços da Atenção Especializada, sendo esses classificados como:

- Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras: presta serviço de saúde para uma ou mais doenças raras; e
- Serviço de Referência em Doenças Raras: presta serviço de saúde para pessoas com doenças raras pertencentes a, no mínimo, dois eixos assistenciais (doenças raras de origem genética e de origem não genética).

A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras - Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014 incorporou quinze exames de biologia molecular, citogenética e imunoenaios, além do aconselhamento genético

² Brasil. Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014.

³ Revogada pelas Portarias de Consolidação nº 2 http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2017/prc0002_03_10_2017.html e nº 6 http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2017/prc0006_03_10_2017.html de 28 de setembro de 2017.

e procedimentos de avaliação diagnóstica na tabela de procedimentos do SUS. A política tem abrangência transversal na Rede de Atenção à Saúde (RAS) e como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno redução de incapacidade e cuidados paliativos.

A linha de cuidado da atenção aos usuários com demanda para a realização das ações na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras é estruturada pela Atenção Básica e Atenção Especializada, em conformidade com a Rede de Atenção à Saúde (RAS) e seguindo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS.

A Atenção Básica é responsável pela coordenação do cuidado e por realizar a atenção contínua da população que está sob sua responsabilidade adstrita, além de ser a porta de entrada prioritária do usuário na rede. Já a Atenção Especializada é responsável pelo conjunto de pontos de atenção com diferentes densidades tecnológicas para a realização de ações e serviços de urgência, ambulatorial especializado e hospitalar, apoiando e complementando os serviços da atenção básica.

Os Hospitais Universitários, Federais e Estaduais, em torno de 50 em todo o Brasil (notadamente para os casos de erros inatos do metabolismo) e as associações beneficentes e voluntárias (que contam com recursos governamentais e dedicam-se principalmente aos casos de deficiência intelectual e dismorfologia) são o *locus* da atenção à saúde dos pacientes com doenças raras.

Porém, para reforçar o atendimento clínico e laboratorial, o Ministério da Saúde incentivou a criação de serviços na Atenção Especializada; atualmente, existem 09 estabelecimentos de saúde habilitados como Serviço de Referência em Doenças Raras, conforme tabela abaixo:

Tabela 1 – Estabelecimentos de saúde habilitados como Serviço de referência em doenças raras, Brasil, 2019.

UF	Município	CNES	Estabelecimento
DF	DISTRITO FEDERAL	264952 7	HOSPITAL DE APOIO DE BRASÍLIA
GO	ANÁPOLIS	243716 3	ASSOCIAÇÃO DE PAIS E AMIGOS DOS EXCEPCIONAIS -APAE DE ANÁPOLIS
PE	RECIFE	271130 3	ASSOCIAÇÃO DE ASSISTÊNCIA À CRIANÇA DEFICIENTE – AACD/PE
PR	CURITIBA	15563	HOSPITAL PEQUENO PRÍNCIPE DE CURITIBA
RJ	RIO DE JANEIRO	270835 3	IFF
RS	PORTO ALEGRE	223760 1	HC POA
SP	SANTO ANDRÉ	278958 2	AMBULATÓRIO DE ESPECIALIDADE DA FUABC/FACULDADE DE MEDICINA ABC/SANTO ANDRÉ
BA	SALVADOR	4529	ASSOCIAÇÃO DE PAIS E AMIGOS EXCEPCIONAIS - APAE
BA	SALVADOR	3816	HOSPITAL UNIVERSITÁRIO PROF. EDGARD SANTOS - HUPES

Fonte: CGAE/DAET/SAES, set/2019.

Não compete a este Ministério o credenciamento de estabelecimentos para executar o atendimento à população brasileira, mas sim a habilitação dos mesmos após o credenciamento efetuado pela Secretaria de Saúde responsável pela rede de saúde local. Logo, o Gestor local do SUS torna-se corresponsável pela definição e formalização dos pactos entre gestores e prestadores quanto às prioridades, metas e critérios para a alocação dos recursos da assistência à saúde de acordo com o perfil epidemiológico e necessidade da população. Portanto, é de responsabilidades das Secretarias Estaduais e Municipais de Saúde gerir os recursos financeiros destinados à organização de sua rede de assistência à saúde.

O Ministério da Saúde possui o papel normativo, provedor de recursos da sua competência, regulador, elaborador de políticas públicas e gerenciador de sistemas de informações. E tendo em vista o princípio da Descentralização, compete aos Estados e aos Municípios identificar suas necessidades de acordo com sua regionalidade, como também estipular cotas, credenciar e controlar os serviços.

Ressalte-se que o SUS é regido por princípios e diretrizes. Uma das diretrizes que o norteia é a Regionalização que orienta a descentralização das ações e serviços de saúde e os processos de negociação e pactuação entre os gestores. Por meio da descentralização foram transferidos para os Estados e Municípios, responsabilidades e financiamento das ações relativas à saúde. Assim, compete aos Estados e aos Municípios identificar suas necessidades de acordo com sua regionalização, formar sua Rede de Atenção conforme definido e pactuado na Comissão Intergestores Bipartite – CIB, disponibilizar a assistência aos pacientes, como também estipular cotas, credenciar e controlar os serviços.

Além dos estabelecimentos habilitados, há parecer técnico favorável do DAET/SAES para habilitação de mais 6 serviços. Atenção: estes aguardam disponibilidade orçamentária pelo DRAC/SAES

UF	MUNICÍPIO	ESTABELECIMENTO	IMPACTO FINANCEIRO ANUAL
CE	Fortaleza	HOSPITAL UNIVERSITÁRIO WALTER CANTÍDIO	R\$ 3.497.760,00
CE	Fortaleza	HOSPITAL INFANTIL ALBERT SABIN	R\$ 1.387.760,00
SP	Campinas	HOSPITAL DAS CLINICAS DA UNICAMP – CAMPINAS/SP	R\$ 1.407.760,00
SP	Ribeirão Preto	HOSPITAL DE CLÍNICAS DE RIBEIRÃO PRETO	R\$ 3.625.760,00
ES	Vitória	HOSPITAL SANTA CASA DE VITORIA	R\$ 523.800,00
DF	BRASILIA	HMIB	R\$ 6.209.760,00

DATA: 26/09/2019

FONTE: CGAE/DAET/SAES

ANEXOS

ANEXO I

COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

PROJETO DE LEI Nº 3.302, DE 2015

Apensados: PL nº 4.345/2016, PL nº 4.812/2016, PL nº 4.818/2016, PL nº 5.017/2016, PL nº 5.998/2016, PL nº 3.543/2019 e PL nº 705/2019

Dispõe sobre a aplicação mínima de recursos para a pesquisa e o desenvolvimento de diagnósticos, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras, e destina parcela dos recursos recuperados em ações de ressarcimento ao erário da União às ações de atenção integral às pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde.

Autor: Deputado PEDRO CUNHA LIMA

Relatora: Deputada GEOVANIA DE SÁ

I - RELATÓRIO

O Projeto de Lei (PL) nº 3.302, de 2015, do Deputado Pedro Cunha Lima, altera dispositivos da Lei nº 10.332, de 2001, para destinar percentual de recursos de programas nela previstos (Programa de Fomento à Pesquisa em

Saúde e Programa Biotecnologia e Recursos Genéticos – Genoma) para atividades voltadas à pesquisa e ao desenvolvimento de produtos destinados ao tratamento de doenças raras.

Ademais, dispõe que serão direcionados às ações de atenção integral às pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde (SUS), sem prejuízo de outras fontes, 20% dos recursos recuperados pelo Poder Judiciário em ações de ressarcimento ao erário da União motivadas por atos de corrupção. Acrescenta que os aspectos operacionais do cumprimento desta regra serão definidos em ato do Poder Executivo.

Na justificção, destaca-se que o Projeto foi parcialmente inspirado na contribuição oferecida pelo estudante Patrick Teixeira Dorneles Pires, por meio do Parlamento Jovem Brasileiro, projeto de educação para a democracia realizado anualmente, pela Câmara dos Deputados, e dirigido a estudantes do ensino médio de todo o Brasil.

Já o PL nº 4.345, de 2016, do Deputado Atila A. Nunes, determina que em cada Estado da Federação e no Distrito Federal deverá haver ao menos um Centro de Referência em Doenças Raras, preferencialmente nas respectivas capitais. Estabelece, ainda, a composição mínima desses centros de referência.

O PL nº 4.818, de 2016, da Deputada Mariana Carvalho, por sua vez, “autoriza o uso de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras”.

Para tanto, estabelece critérios: a doença deve estar devidamente diagnosticada; não pode existir outra terapia com eficácia sobre a doença; o produto em fase experimental deve ser comprovadamente seguro para uso humano, com perfil toxicológico conhecido e que já tenha completado a fase 1 da investigação clínica, permanecendo em investigação em estudo clínico regularmente aprovado pelo Poder Público; o paciente ou, na sua impossibilidade, o seu representante legal, tem de firmar termo de responsabilidade que ateste a natureza experimental do produto, os riscos que o paciente assume ao fazer tal opção e a ciência da falta de autorização sanitária para a sua comercialização.

O PL nº 5.017, de 2016, da Deputada Leandre, “dispõe sobre o uso compassivo de fármacos em fase experimental”, por pacientes com moléstia grave ou rara. Seu art. 3º também estabelece critérios para o uso dessas substâncias, quais sejam: existência de uma doença grave ou rara devidamente diagnosticada e atestada por profissional médico; não elegibilidade do paciente para participar do protocolo de estudo clínico aprovado, caso exista; inexistência de alternativas terapêuticas satisfatórias no tratamento da causa principal da moléstia; existência de dados suficientes que demonstrem a segurança e eficácia da substância no tratamento da respectiva doença e aptos a fundamentar seu uso em circunstâncias particulares; assunção pelo paciente da responsabilidade pela decisão de fazer uso de medicamento experimental, ao firmar Termo de Consentimento e Responsabilidade no qual confirme sua livre vontade em utilizar um produto não autorizado, sem registro sanitário e que ainda está sob investigação e estudo. O PL evidencia que, para o uso compassivo de medicamentos, os riscos assumidos no uso do fármaco experimental não podem ser superiores aos riscos da doença.

O PL nº 4.812, de 2016, do Deputado Ronaldo Carletto, “dispõe sobre o financiamento da pesquisa e do desenvolvimento de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer”. Para alcançar esse objetivo, visa a alterar a Lei nº 10.332, de 2001, reservando 30% do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde a atividades voltadas à pesquisa e ao desenvolvimento de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer.

O PL nº 5.998, de 2016, da Deputada Mariana Carvalho, acrescenta o § 3º ao art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990, para prever critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras. Com isso, a Parlamentar objetiva a dispensa da avaliação do custo-efetividade para a avaliação da incorporação de medicamentos destinados a essas doenças.

O PL nº 3.543, de 2019, da Deputada Edna Henrique, altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para incluir treinamentos em doenças raras na política de recursos humanos da área da saúde.

Por fim, o PL nº 705, de 2019, do Deputado Célio Studart, institui, em todo o território nacional, o Programa de mapeamento, identificação e cadastro de pessoas com doenças raras. Segundo o autor, o Programa poderá ser realizado a cada quatro anos, com o objetivo de obter dados sobre os tipos e graus das doenças raras encontradas, bem como elementos necessários para contribuir com a qualificação, quantificação e localização das pessoas com doenças raras.

As proposições tramitam em regime ordinário e estão sujeitas à apreciação conclusiva da Comissão de Seguridade Social e Família (CSSF), no que tange ao mérito, e das Comissões de Finanças e Tributação e Constituição e Justiça e de Cidadania, para os fins do art. 54 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados.

Após aberto o prazo regimental, não foram apresentadas emendas às proposições na CSSF.

É o Relatório.

II - VOTO DA RELATORA

Cabe a esta Comissão de Seguridade Social e Família a apreciação do Projeto de Lei nº 3.302, de 2015, e de seus apensados, no que tange ao direito à saúde e ao sistema público de saúde.

De acordo com a Organização Mundial da Saúde (OMS) e o Ministério da Saúde (MS), doença rara se refere à enfermidade que atinge até 65 pessoas em um grupo de 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

Existem pelo menos 7.400 doenças raras na listagem das instituições norte-americanas “National Institutes of Health” e “National Organizatio

o Rare Disorders”. Porém, apenas duzentas delas contam com grupos sem fins lucrativos que se dedicam a arrecadar fundos para pesquisa e tratamento.

Também há poucos medicamentos aprovados para o tratamento dessas condições, já que as indústrias farmacêuticas, geralmente, não investem no desenvolvimento de terapias específicas para doenças raras, pois o mercado consumidor dos produtos porventura produzidos tende a ser limitado.

Para buscar melhores possibilidades de atenção à saúde das pessoas com doenças raras no País, o Poder Público editou a Portaria nº 199, de 2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio.

Essa Política representou um avanço nesse tema. Todavia, ainda é preciso aumentar as fontes de receita para o aprimoramento da atenção integral das pessoas com doenças raras.

O PL nº 3.302, de 2015, vai ao encontro dessa necessidade, já que busca destinar recursos adicionais para a pesquisa e o desenvolvimento de medicamentos e produtos para a saúde voltados ao tratamento de doenças raras. Acreditamos que essa iniciativa é fundamental, em razão do já explicado desinteresse do complexo industrial farmacêutico no assunto.

A outra solução trazida pelo PL nº 3.302, de 2015, é a destinação de 20% dos recursos recuperados pelo Poder Judiciário em ações de ressarcimento ao erário da União motivadas por atos de corrupção ao tratamento dessas doenças. Acreditamos que, embora o autor do Projeto tenha sido bem-intencionado em formular a ideia, a sua execução prática poderia trazer transtornos na gestão do orçamento e dificultar a compensação do rombo ao patrimônio dos entes lesados.

Isso ocorreria porque os recursos recuperados em ações de ressarcimento da União foram retirados, ilicitamente, de algum ente público. Por isso, esses valores devem voltar à origem. À guisa de ilustração, imaginemos que, por meio de um procedimento judicial, valores subtraídos de uma empresa estatal

sejam reavidos. Nesse caso, é preciso que esses recursos sejam remetidos a essa estatal, não só para a promoção do seu reequilíbrio econômico, mas também para a reparação do dano perpetrado contra o seu patrimônio.

Ainda sobre o PL nº 3.302, de 2015, informamos que, no Substitutivo que oferecemos ao final deste Voto, também não incorporamos o § 7º, que seria inserido no art. 2º da Lei nº 10.332, de 2001, pois acreditamos que, se as despesas com pesquisas acerca de doenças raras não puderem ser objeto de contingenciamento, outras o serão por força da Lei de Responsabilidade Fiscal, atingindo até mesmo ações de saúde que estiverem acima do mínimo constitucional a ser aplicado em ações e serviços públicos de saúde, incluindo eventualmente a assistência às próprias doenças raras, além de despesas de outras áreas importantes.

Ressaltamos que o Projeto de Lei nº 6.566, de 2013, do Senado Federal, que está tramitando nesta Casa, tem objetivo semelhante ao do Projeto de Lei nº 3.302, de 2015. De acordo com a sua ementa, ele “acrescenta § 3º ao art. 2º da Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, para garantir recursos para atividades voltadas para o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e outras modalidades terapêuticas destinados ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas”.

A Proposição já passou pelo Senado Federal e, na Câmara dos Deputados, recebeu parecer pela aprovação na Comissão de Seguridade Social e Família e pela não implicação da matéria em aumento ou diminuição da receita ou da despesa públicas na Comissão de Finanças e Tributação. Atualmente, está pronto para pauta na Comissão de Constituição e Justiça e de Cidadania. É preciso destacar, no entanto, que o PL nº 3.302, de 2015, é mais abrangente do que o Projeto de Lei nº 6.566, de 2013.

O Projeto de Lei nº 4.345, de 2016, do Deputado Atila A. Nunes, “cria os centros para tratamento de doenças raras em todos os estados da federação e dá outras providências”.

De acordo com a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, “a linha de cuidado da atenção aos usuários com demanda

para a realização das ações na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras é estruturada pela Atenção Básica e Atenção Especializada, em conformidade com a RAS e seguindo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS”.

Essa mesma norma permite a habilitação de estabelecimentos de saúde para a prestação de atendimento especializado às pessoas com doenças raras. No entanto, atualmente, o Ministério da Saúde conta com apenas 8 estabelecimentos habilitados e especializados para esse tipo de atendimento.

De fato, é preciso que haja pelo menos um Centro de Referência em cada unidade da federação, para que a saúde das pessoas com doenças raras possa ser devidamente acompanhada por especialistas no assunto, sem que elas necessitem afastar-se tanto do seu local de residência.

No Substitutivo que propusemos ao final deste Voto, apenas determinamos a criação dos Centros de Referência, mas deixamos ao regulamento o estabelecimento das suas vicissitudes, uma vez que o gestor do SUS terá mais capacidade de decidir os aspectos operacionais do estabelecimento desses Centros e a sua inserção na Rede de Atenção à Saúde.

O Projeto de Lei nº 4.818, de 2016, da Deputada Mariana Carvalho, que “autoriza o uso de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras”, deve ser aprovado, com pequenas alterações, por representar o desígnio de muitos brasileiros e brasileiras.

No Brasil, já existe a possibilidade de acesso à importação de medicamentos que não tenham sido registrados ainda na ANVISA, mas já tenham passado por testes satisfatórios. De acordo com a Resolução da Diretoria Colegiada nº 38, de 4 de agosto de 2013, permite-se o acesso a medicamentos inovadores, ainda fora do mercado do País, por meio de três programas: Uso Compassivo, de Acesso Expandido e de Fornecimento de Medicamento Pós Estudos.

Conforme artigo publicado no sítio eletrônico da Escola Nacional de Saúde Pública da Fiocruz, “o programa de Uso Compassivo é uma autorização,

que deve ser solicitada à Anvisa, para que a indústria execute determinado programa assistencial no Brasil, fornecendo medicamentos novos, promissores e ainda sem registro na agência reguladora. O programa também permite que a empresa seja autorizada a importar medicamentos não registrados no país, que tratam doenças raras e graves”.

Já o “Acesso Expandido é voltado para autorização da Agência para a inclusão de outros pacientes portadores de doenças debilitantes graves que ameacem a vida e sem alternativa terapêutica satisfatória, que inicialmente não tiveram acesso, no ensaio clínico autorizado pelo Programa de Uso Compassivo. Este é um programa de oferta de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa ou não disponível comercialmente no país, que esteja em estudo clínico em fase III, em desenvolvimento ou concluído”.

Por fim, o “Programa de Fornecimento de Medicamento Pós-Estudo garante que, depois do encerramento do programa de uso compassivo, a indústria forneça medicamentos gratuitamente aos voluntários que participaram da pesquisa e que se beneficiaram do fármaco durante o desenvolvimento clínico. A medida se aplica nos casos de encerramento do estudo ou quando finalizada a participação do voluntário no programa de uso compassivo”.

No entanto, conforme palestra ministrada pelo Dr. Salmo Raskin na Subcomissão Especial de Fármacos Experimentais desta Casa, em 8 de novembro de 2016, por questões mercadológicas, essa Resolução da Anvisa tem pouca utilidade no caso de doenças raras, e os pacientes com essas moléstias têm enfrentado muitas dificuldades de acesso aos medicamentos ainda em fase experimental, com base na RDC nº 38, de 2013. Em razão dos austeros critérios dessa norma, as empresas produtoras de medicamento sequer têm interesse de trazer seus produtos para o País.

Dessa forma, é interessante que este Projeto seja aprovado, para que continuem as discussões acerca do assunto e para que os pacientes com doenças raras possam ter acesso a medicamentos, sem necessidade da rigidez da RDC, quando faltarem opções terapêuticas com registro na Anvisa.

Ressaltamos que, no Substitutivo que apresentamos ao final deste Voto, propusemos mais um requisito para a utilização dos medicamentos sem registro sanitário e para a sua importação: a prescrição do médico assistente. Esse profissional tem a capacidade de avaliar se a substância tem potencial benéfico para o paciente, e se os riscos envolvidos no consumo são aceitáveis, diante o quadro de saúde da pessoa que irá consumi-lo. Ademais, substituímos a palavra “patologia”, em todas as suas ocorrências, por “doença”, para conceder precisão ao futuro texto normativo.

O Projeto de Lei nº 5.017, de 2016, da Deputada Leandre, “dispõe sobre o uso compassivo de fármacos em fase experimental”, por pacientes com moléstia grave ou rara. Assim como o Projeto de Lei nº 4.818, de 2016, essa proposição visa a autorizar o uso de medicamento em fase experimental.

Como afirmado anteriormente, embora já exista programa na Anvisa, instituído pela RDC nº 38, de 2013, que permite o acesso a medicamentos inovadores, ainda fora do mercado do País, mediante procedimento controlado e fiscalizado pela Autarquia, essa norma não tem sido suficiente para fornecer medicamentos para as pessoas com doenças raras, em razão das especificidades dessas moléstias e de questões mercadológicas. Por isso, sugeriremos a aprovação deste Projeto, no mérito.

Ressalvamos, porém, que, diferentemente do PL nº 4.818, de 2016, este Projeto não exige que o fármaco, a substância química, o produto biológico e seus correlatos tenham completado a fase 1 de investigação clínica. Exige, apenas, que haja dados suficientes que demonstrem a segurança e eficácia da substância no tratamento da respectiva doença e aptos a fundamentar seu uso em circunstâncias particulares. Por isso, no Substitutivo, optamos pelo modelo do PL nº 4.818, de 2016, que traz mais segurança para o consumo da substância ao paciente com doença rara.

O Projeto nº 4.812, de 2016, do Deputado Ronaldo Carletto, por sua vez, “dispõe sobre o financiamento da pesquisa e do desenvolvimento de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer”.

Algumas epidemias virais realmente são doenças negligenciadas, que atingem relevante parcela da população e causam altos índices de morbidade e mortalidade, mas, historicamente, não têm recebido atenção suficiente dos pesquisadores. Essas doenças, no entanto, recentemente passaram a ser tratadas com mais zelo pelo Poder Público, a partir da edição da Portaria nº 191, 2014, que instituiu a Rede Nacional de Pesquisas em Doenças Negligenciadas. Essa Portaria foi formalmente revogada e seu conteúdo foi incorporado ao Anexo XXI da Portaria de Consolidação nº 3, de 2017.

No que se refere ao Câncer, atualmente já existe importante mecanismo de incentivo a instituições que trabalham no tratamento de pessoas com essa doença. Trata-se do Programa Nacional de Apoio à Atenção Oncológica (PRONON), criado pela Lei nº 12.715, de 2012⁹, que tem a finalidade de sistematizar a captação e canalização de recursos do setor privado, por meio de incentivo fiscal, para estimular a execução de ações e serviços, de prevenção e combate ao câncer.

Em razão disso, acreditamos que é mais interessante que os recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde sejam direcionados ao desenvolvimento de medicamentos e tecnologias de tratamento de doenças raras, que ainda são pouco visíveis atualmente.

O Projeto de Lei nº 5.998, de 2016, “acrescenta o § 3º ao art. 19- Q da Lei nº 8.080, de 1990, para prever critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras”.

Em setembro de 2016, foi aprovado nesta Casa o Projeto de Lei nº 1.606, de 2011, do Deputado Marçal Filho. O texto final encaminhado ao Senado, para revisão, institui, no âmbito legal, a Política Nacional para Doenças Raras no Sistema Único de Saúde – SUS. Naquela Casa, recebeu emendas, que voltaram à Câmara, para apreciação.

O texto do projeto aprovado na Câmara dos Deputados tem como objetivo proporcionar o acesso aos serviços e aos cuidados adequados aos pacientes diagnosticados com alguma forma de doença rara e, quando for o caso,

o acesso aos tratamentos disponíveis no mercado, inclusive por meio de mecanismos diferenciados para o registro sanitário e a incorporação de medicamentos órfãos, no SUS.

Embora esse projeto em estágio de tramitação mais avançado no Congresso Nacional já tenha capítulo específico sobre critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras, acreditamos que o Projeto de Lei nº 5.998, de 2016, em análise, também merece prosperar, para que essa Casa continue avaliando o tema e desenvolvendo normas acerca do assunto.

Salientamos que, no Substitutivo que oferecemos ao final deste voto, fizemos dois pequenos ajustes: no § 3º, I, a ser acrescido no art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990, para fins de precisão técnica, trocamos a palavra “incidência” por “prevalência”. Ademais, no § 3º, IV, a ser acrescido no art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990, destacamos que a dispensa da análise de custo-efetividade somente ocorrerá quando não houver outro medicamento para a mesma condição. Com isso, evitamos a ocorrência de situações em que um medicamento fosse incorporado sem essa análise, mesmo havendo outro com melhor custo-efetividade para a mesma doença.

O PL nº 705, de 2019, do Deputado Célio Studart, institui, em todo o território nacional, o Programa de mapeamento, identificação e cadastro de pessoas com doenças raras.

Como bem destacou a representante do Ministério da Saúde na audiência pública sobre doenças raras e ultrarraras promovida na Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência, um dos desafios da Política Nacional é justamente a falta de dados epidemiológicos sobre o assunto. Para o correto planejamento do gestor e para a avaliação dos resultados da Política Pública, é preciso que estejam disponíveis informações fidedignas e de qualidade acerca das doenças raras diagnosticadas. Por isso, sugeriremos a incorporação ao Substitutivo que propusemos ao final deste Voto da ideia contida no PL nº 705, de 2019, com uma redação diferenciada, conforme votarão no Substitutivo.

Por fim, o PL nº 3.543, de 2019, da Deputada Edna Henrique, inclui treinamentos em doenças raras na política de recursos humanos da área da saúde. A proposta é que sejam oferecidos cursos de educação continuada, para que os profissionais de saúde que trabalham nas principais portas de entrada do SUS possam identificar casos suspeitos de doenças raras e instituir as condutas iniciais.

A formação continuada permite que os profissionais de saúde se inteirem acerca do assunto gradativamente, uma vez que, como informado na justificção, caso fosse ministrado um curso único sobre cada doença rara, seria preciso pelo menos um semestre de dedicação exclusiva, para que todas elas fossem, brevemente, abordadas.

Dessa maneira, acreditamos que o PL nº 3.543, de 2019, deve ser aprovado, uma vez que a inclusão de treinamentos em doenças raras na política de recursos humanos do SUS tende a aprimorar a capacidade dos profissionais das portas de entrada de diagnosticar precocemente essas doenças e oferecer o tratamento correto ao paciente.

Feitas todas as essas considerações, o nosso voto é pela aprovação dos Projetos de Lei nº 3.302, de 2015; 4.818, de 2016; 5.017, de 2016; 5.998, de 2016; 4.345, de 2016; 705, de 2019; e 3.543, de 2019, nos termos do Substitutivo, e pela rejeição do Projeto de Lei nº 4.812, de 2016.

Sala da Comissão, em de de 2019.

Deputada GEOVANIA DE SÁ

Relatora

COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

SUBSTITUTIVO AO PROJETO DE LEI Nº 3.302, DE 2015

Apensados: Projeto de Lei nº 4.345, de 2016; Projeto de Lei nº 4.818, de 2016; Projeto de Lei nº 5.017, de 2016; Projeto de Lei nº 5.998, de 2016; Projeto de Lei nº 705, de 2019; Projeto de Lei nº 3.543, de 2019.

Dispõe sobre a pesquisa e o tratamento de doenças raras, e a consolidação de informações estatísticas relacionadas a essas doenças.

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Esta Lei dispõe sobre a pesquisa e o tratamento de doenças raras, e a consolidação de informações estatísticas relacionadas a essas doenças.

Art. 2º O art. 2º da Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art.2º

.....

§ 3º Dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, previsto no inciso II do art. 1º desta Lei, no mínimo 20% serão destinados a atividades voltadas à pesquisa e ao desenvolvimento de medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras.

§ 4º Dos recursos do Programa Biotecnologia e Recursos Genéticos – Genoma, previsto no inciso III do art. 1º desta Lei, no mínimo 20% serão destinados a atividades voltadas à pesquisa e desenvolvimento de medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras.

§ 5º Para os fins do disposto nos §§ 3º e 4º, doença rara é a que afeta até 65 (sessenta e cinco) em cada 100.000 (cem mil) indivíduos.

§ 6º Os aspectos operacionais para cumprimento do disposto nos §§ 3º e 4º serão definidos em ato do Poder Executivo” (NR)

Art. 3º Em cada estado e no Distrito Federal haverá pelo menos um Centro de Referência em Doenças Raras, preferencialmente nas respectivas capitais, nos termos de regulamento.

Art. 4º Os pacientes diagnosticados com doenças graves ou raras têm o direito de utilizar fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e seus correlatos, ainda que estejam em fase de estudos clínicos e sem o registro sanitário, desde que observados os seguintes requisitos:

I – a doença esteja devidamente diagnosticada;

II – o paciente apresente prescrição de médico assistente; III

– não exista outra terapia com eficácia sobre a doença;

IV – o produto em fase experimental seja comprovadamente seguro para uso humano, com perfil toxicológico conhecido e já tenha completado a fase 1 da investigação clínica, permanecendo em investigação em estudo clínico regularmente aprovado pelo Poder Público;

V – o paciente ou, na sua impossibilidade, o seu representante legal firme termo de responsabilidade que ateste a natureza experimental do produto, os riscos que o paciente assume ao fazer tal opção e a falta de autorização sanitária para a sua comercialização.

Art. 5º Fica autorizada a importação de medicamentos sem o regular registro sanitário, desde que sejam devidamente autorizados no país de origem, para uso exclusivo de pacientes portadores de doenças graves ou raras.

Parágrafo único. A importação de que trata o caput somente será realizada caso sejam cumpridas as exigências previstas nos incisos I, II, III e V do art. 5º.

Art. 6º. O Poder Público fica autorizado a fornecer os produtos de que trata esta Lei, diretamente ou por meio de suas instituições de ensino e pesquisa, como forma de garantir o direito do paciente ao atendimento integral.

Art. 7º O art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, passa a vigorar acrescido do seguinte § 3º:

“Art. 19-Q.

.....

§ 3º No caso de avaliação para incorporação de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, deverão ser considerados os seguintes aspectos:

I – prevalência de condição definida clinicamente e por outros instrumentos diagnósticos complementares de até 65 pacientes por cem mil habitantes como parâmetro para definir a moléstia como rara;

II – avaliação acerca da gravidade da doença no organismo humano, de sua evolução, prognóstico e expectativa de vida, considerando seu potencial lesivo e de causar óbito, ou morbidade incapacitante, e o impacto no bem-estar individual;

III – possíveis terapias a serem utilizadas e incorporadas ao SUS de acordo com a sua eficácia sobre a etiopatogenia da doença, no controle de sintomas e na melhoria na qualidade de vida do paciente;

IV – dispensa da avaliação custo-efetividade, quando não houver outro medicamento para a mesma condição.” (NR)

Art. 8º O art. 27 da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, passa a vigorar acrescido do seguinte § 2º, renumerando-se o atual parágrafo único como § 1º:

“Art. 27.

.....

§ 1º

§ 2º Os profissionais de saúde que atuam em unidades de saúde da atenção básica, unidades de pronto atendimento e nas portas de entrada hospitalares de urgência e emergência, deverão receber treinamento anual para identificação e conduta de casos suspeitos de doenças raras, conforme protocolos de atenção e encaminhamento, elaborados pelos respectivos gestores de Sistema Único de Saúde, em cada esfera de governo.” (NR)

Art. 9º O gestor federal do Sistema Único de saúde, anualmente, consolidará os dados nacionais relativos a doenças raras registrados nos seus respectivos sistemas de informação, para fins de obtenção de instrumentos de planejamento e avaliação das ações e serviços de saúde relacionados a doenças raras.

Art. 10. Esta Lei entra em vigor na data de sua publicação, produzindo efeitos financeiros no exercício financeiro subsequente.

Sala da Comissão, em de de 2019.

Deputada GEOVANIA DE SÁ
Relatora

ANEXO II**PROJETO DE LEI Nº 1.215 DE 2015.
(Do Sr. João Rodrigues)**

Altera a Lei nº 10.048, de 8 de novembro de 2000, para estender às pessoas portadoras de doenças raras a prioridade de atendimento.

O CONGRESSO NACIONAL decreta:

Art. 1º A Lei nº 10.048, de 8 de novembro de 2000, passa a vigorar com as seguintes alterações:

"Art. 1º As pessoas portadoras de deficiência, os idosos com idade igual ou superior a sessenta anos, as gestantes, as lactantes, as pessoas acompanhadas por crianças de colo e as pessoas portadoras de doenças raras, terão atendimento prioritário, nos termos desta Lei."

Art. 2º Esta Lei em vigor na data de sua publicação.

JUSTIFICAÇÃO

A presente proposição objetiva estender aos portadores de doenças raras o direito a prioridade de atendimento, nos moldes da Lei Federal n. 10.048, de 08 de novembro de 2000. A citada lei assegura as pessoas portadoras de deficiência, aos idosos com idade igual ou superior a 60 (sessenta) anos, as gestantes, as lactantes e as pessoas acompanhadas por crianças de colo, atendimento prioritário nas repartições públicas, empresas concessionárias de serviços públicos e instituições financeiras, dispondo também que as empresas públicas de transporte e as concessionárias de transporte coletivo reservarão assentos, devidamente identificados as pessoas portadoras de deficiência, aos idosos com idade igual ou superior a 60 (sessenta) anos, as gestantes, as lactantes e as pessoas acompanhadas por crianças de colo.

Os portadores de doenças raras possuem limitações idênticas e muitas vezes maiores do que as pessoas com deficiência, idosos, gestantes, lactantes e as pessoas acompanhadas por crianças de colo e, no entanto, a legislação federal não lhes assegura os mesmos direitos, uma vez que não têm dispensado o atendimento prioritário nas repartições públicas, empresas concessionárias de serviços públicos e instituições financeiras.

As doenças raras afetam 8% da população mundial, são graves e degenerativas, expõem a vida dos pacientes em risco, são incapacitantes e complexas em seus sintomas. Não bastasse, muitas delas sequer têm tratamento específico, vindo muitos pacientes à óbito sem a menor chance de acesso ao seu direito à saúde.

Estudos médicos comprovam que os portadores de doenças raras desenvolvem diversas espécies de deficiências físicas e mentais, merecendo, portanto, a mesma prioridade que é dispensada às pessoas elencadas no artigo 1º da Lei Federal n. 10.048, de 8 de novembro de 2000.

À propósito, o conceito de pessoa com deficiência foi ampliado pela Lei Federal n. 12.435/2011. Atualmente, considera-se pessoa com deficiência *"aquela que tem impedimentos de longo prazo de natureza física, intelectual ou sensorial, os quais, em interação com diversas barreiras, podem obstruir sua participação plena e efetiva na sociedade com as demais pessoas; além de ter impedimentos de longo prazo, ou seja, aqueles que incapacitam a pessoa com deficiência para a vida independente e para o trabalho pelo prazo mínimo de 2 (dois) anos."*

A previsão legal de atendimento prioritário tem o respaldo constitucional específico do art. 227, II, da CF/88, que prevê o "atendimento especializado" para as pessoas com necessidades especiais.

"Art. 227. (...) II – criação de programas de prevenção e atendimento especializado para as pessoas portadoras de deficiência física, sensorial ou mental, bem como de integração social do adolescente e do jovem portador de deficiência, mediante o treinamento para o trabalho e a convivência, e a facilitação do acesso aos bens e serviços coletivos, com a eliminação de obstáculos arquitetônicos e de todas as formas de discriminação. (Redação dada Pela Emenda Constitucional nº 65, de 2010)"

O portador de doença rara possui impedimentos de natureza física, intelectual ou sensorial que podem perdurar por toda sua vida, que o incapacitam para a vida independente e para o trabalho e obstruem a inserção social, sendo, portanto, portador de necessidades especiais.

Dentre as mais de sete mil doenças raras conhecidas, menos de 10% contam com tratamento específico e a maioria de seus portadores passam anos até obter diagnóstico correto e não têm dispensado nenhum tratamento especial condizente com suas necessidades. Estima-se que há um portador de alguma doença rara a cada 2.500 recém-nascidos no Brasil, segundo a geneticista Ana Maria Martins. (fonte: IBGE/2004).

Dentre as mais de 7.000 (sete) mil espécies de doenças raras, no Brasil temos diagnosticados casos de Anemia Falciforme, Ataxia Dominante, Distrofia Muscular, Doença de Huntington, Osteogenesis Imperfecta, Porfirias, Doença de Gaucher, Doença de Fabry, Hemangiomas e Linfangiomas, Talassemia; Síndrome de Rett, Síndrome de Williams, Neurofibromatose, Síndrome de Angelman, Leucodistrofia Metacromática (LDM) e a Síndrome do X-Frágil.

É necessário despertar a sociedade quanto às peculiaridades destes pacientes, para que suas necessidades sejam respeitadas e para que lhes seja assegurado por lei a prioridade de atendimento, nos termos da Lei Federal n. 10.048, de 8 de novembro de 2000.

Diante do Consagrado Principio da Igualdade, no Estado Democrático de Direito, é impossível dispensar tratamento diferenciado para pessoas que possuem as mesmas limitações.

Pelo exposto, conto com o apoio dos nobres deputados para a aprovação do presente projeto de lei.

Sala das Sessões, em 22 de Abril de 2015.

Deputado **JOÃO RODRIGUES**

ANEXO III**PROJETO DE LEI DO SENADO
Nº 40, DE 2015**

Institui o Dia Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras.

O **CONGRESSO NACIONAL** decreta:

Art. 1º Fica instituído o dia 29 de fevereiro como o Dia Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras.

Parágrafo único. À exceção de anos bissextos, a data a que se refere o caput fica estabelecida para o dia 28 de fevereiro de cada ano.

Art. 2º Esta lei entra em vigor na data de sua publicação.

JUSTIFICAÇÃO

De modo geral, doenças raras são aquelas que ocorrem com pouca frequência ou raramente na população em geral. Analisando-se os vários conceitos adotados no mundo, é possível situar as doenças raras na faixa das que possuem prevalência máxima variável de 0,5 a 7 por 10.000 habitantes.

Até o início dos anos 80, os pacientes com doenças raras não faziam parte da agenda das autoridades governamentais. A atuação de organizações de pacientes e movimentos sociais ao redor do mundo não apenas deu voz às necessidades dessas pessoas como contribuiu para que doenças raras passassem a ser consideradas um problema de saúde pública.

O reconhecimento do Dia Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras leva à comunidade a importância do trabalho e atuação em rede para o atendimento a pessoa com alguma doença rara.

Somente pelo esforço conjunto e integrado pode ser possível atender os pacientes e suas famílias. As ações que vêm sendo promovidas possuem grande foco na sensibilização e comunicação de uma realidade que afeta até 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos (1,3 para cada 2 mil pessoas).

Trazendo as estatísticas para nossa realidade e considerando o censo de 2010 são 13 a 16 milhões de famílias brasileiras que sofrem com as restrições impostas pelas doenças raras. Estima-se que hoje existam entre 5000 e 8000 doenças raras distintas, afetando entre 6% e 8% da população total, noutras palavras, entre 24 e 36 milhões de pessoas na Comunidade Europeia - equivalente à população conjunta da Holanda, Bélgica e Luxemburgo.

As pessoas que vivem com doenças raras e as que convivem com elas, trilham um longo caminho para serem enxergadas, pelo Estado e pela sociedade. Os pacientes e seus familiares acabam assumindo a tarefa de conseguirem, sozinhos, as respostas das questões que lhes assolam.

Nossa iniciativa tem o propósito de criar uma identidade específica para o Dia Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras.

A criação dessa identidade visa destacar as ações que vêm sendo promovidas, como a proposição de políticas públicas, a realização de pesquisas científicas, a formação de parcerias e a criação de redes de apoio.

Esperamos, assim, poder contar com o valioso apoio dos nobres Pares em favor de sua aprovação nesta Casa.

Sala das Sessões,

Senador **ROMÁRIO**

(À Comissão de Educação, Cultura e Esporte; em decisão terminativa)