

AMANDA MENDONÇA DE MATOS

**DOENÇAS RARAS E A JUDICIALIZAÇÃO PARA OBTENÇÃO DE
MEDICAMENTOS NO BRASIL**

Trabalho de Conclusão de Curso
apresentado em forma de Artigo Científico
ao Curso de Enfermagem do Centro
Universitário de Brasília sob orientação do
Prof. Dr. Eduardo Cyrino de Oliveira Filho

BRASÍLIA – DF

2017

Doenças raras e a judicialização para obtenção de medicamentos no Brasil

Amanda Mendonça de Matos¹
Eduardo Cyrino Oliveira Filho²

Resumo

O presente trabalho teve como objetivo apresentar a ocorrência de judicialização para obtenção de medicamentos por pessoas portadoras de doenças raras no Brasil. Observa-se que doenças raras são uma questão de saúde pública que vem afetando cada vez mais pessoas no mundo. Considera-se doença rara aquela que apresenta baixa prevalência na população do país, sendo degenerativas, cronicamente debilitantes e muitas demandam tratamento de maneira contínuo, podem atingir capacidades físicas, mentais, sensoriais e comportamentais. Assim, o trabalho se estruturou em uma revisão da literatura trazendo um diálogo entre os principais teóricos sobre o assunto da judicialização como um caminho para aquisição de medicamentos que possam tratar as doenças raras. Observou-se que a maior demanda se dá pelo reduzido interesse do Estado em estabelecer medidas que incentivem a produção de medicamentos para doenças raras e assim reduzir os valores cobrados para aquisição do tratamento. O que traria uma redução significativa das ações judiciais relacionadas a doenças raras no país.

Descritores: Doenças Raras. Medicamentos Órfãos. Judicialização. Políticas Públicas. Saúde.

Rare diseases and the judicialization for obtaining medicines in Brazil

Abstract:

The present study aims to present the occurrence of judicialisation to obtain medicines by persons with rare diseases in Brazil. It is noted that rare diseases are a public health issue that is affecting more and more people in the world. It is considered a rare disease that presents low prevalence in the population of the country, being degenerative, chronically debilitating and many demand treatment in a continuous way, can reach physical, mental, sensorial and behavioral capacities. Thus, the work was structured in a literature review bringing a dialogue between the main theorists on the subject of the judicialization as a way to acquire medicines that can treat rare diseases. It was observed that the greater demand is due to the lack of interest of the State in establishing measures that encourage the production of medicines for rare diseases and thus reduce the values charged for the acquisition of the treatment. This would lead to a significant reduction in lawsuits related to rare diseases in the country.

Keywords: Rare diseases. Orphan drugs. Judiciary. Public policy. Health.

¹ Aluna do Curso de Enfermagem do UniCEUB

² Professor do Curso de Enfermagem do UniCEUB

1. INTRODUÇÃO

Em 2013 já eram conhecidas mais de 7 mil doenças diferentes com pouca prevalência no mundo, aproximadamente entre 6 e 7% da população, por esse motivo elas são chamadas de doenças raras. Além desse fato parecer insignificante, em média são descobertas cinco (05) doenças novas por semana. As causas desencadeadoras variam de anomalias genéticas a infecções, ou até mesmo processos degenerativos, sendo assim essas doenças podem aparecer até mesmo na fase adulta (MONSORES, 2013).

Em sua maioria as doenças raras originam-se de anomalias cromossômicas, totalizando 80% e atingindo de 3 a 4% dos recém-nascidos (RN). Pela raridade das mesmas tem um alto índice de mortalidade e morbidades, no Brasil esse percentual chega a 30% em crianças. Vale ressaltar que há uma grande dificuldade em diagnosticar qual doenças raras o paciente apresenta, e muitas vezes o mesmo não recebe diagnóstico (LUZ et al., 2015).

Em 1968, o termo “medicamentos órfãos” foi usado para definir os remédios que eram responsáveis pelo tratamento de doenças raras. Medicamentos órfãos em sua maioria têm alto custo, e um dos critérios para que não estejam inclusos na lista do SUS, um dos problemas é que a sua avaliação é equivalente à dos medicamentos com mais prevalência. Levando em conta o custo-efetividade que em decorrência do baixo quantitativo de pacientes existentes e as reduzidas opções de tratamento para essas doenças, elevam o preço em aproximadamente 14 medicamentos e são equivalentes à 60% de 1,2 bilhões (SOUZA et al., 2010).

Por causa da raridade das doenças, a indústria farmacêutica não possui tanta produção para o mesmo tratamento, o que eleva o preço e o risco para se desenvolver pesquisas que possam resultar na produção de medicamentos para o tratamento mais adequado, o que torna as doenças raras não somente uma questão de saúde pública mas também um problema econômico e social. O alto valor cobrado para a obtenção dos remédios, muitos ainda em fase experimental, torna muito complicado a compra por meios particulares, o que demanda a judicialização para que os pacientes tenham acesso (HEEMSTRA, 2008).

As ações judiciais relacionadas a doenças raras foram iniciadas em meados de 1990 com solicitações de medicamento antirretrovirais para o HIV/AIDS, no Brasil,

desde então as ações vêm aumentando consideravelmente. O atendimento às ações judiciais questionar a metodologia utilizada pelo Sistema de Saúde e o planejamento de ações coletivas, o fato é que tal aumento de gastos com medicamentos representa enorme desafio aos planejadores e gestores. Sendo assim, vale destacar que deve haver comunicação, já que o poder executivo realiza a elaboração e implementação dessas políticas de saúde para que o cidadão não fique desamparado de assistência, enquanto o poder Judiciário deverá, quando lhe couber, garantir o direito do cidadão por meio de princípios constitucionais, sem olvidar as políticas públicas já existentes (VENTURA et al., 2014).

O presente trabalho teve como objetivo apresentar a ocorrência de judicialização para obtenção de medicamentos por pessoas portadoras de doenças raras no Brasil. Para melhor desenvolvimento do trabalho definiu-se objetivos específicos: Explicar o que são doenças raras de acordo com teóricos da área da saúde e como são categorizadas; Relatar os principais problemas enfrentados pelos pacientes para obtenção de medicamentos; Expor as políticas públicas no Brasil que tratam sobre os medicamentos órfãos e as doenças raras; Evidenciar as causas para judicialização de acesso a medicamentos partindo dos direitos fundamentais do cidadão brasileiro.

2. METODOLOGIA

O presente trabalho foi realizado a partir de um levantamento bibliográfico de autores que tratam sobre doenças raras no Brasil e o processo de judicialização. Trata-se de uma revisão da literatura no formato narrativo. Utilizou-se como ferramenta de pesquisa on-line as bases Biblioteca Virtual em Saúde (BVS) e Google Acadêmico e bibliotecas do Centro Universitário de Brasília (UNICEUB) e a da Universidade de Brasília (UNB). As pesquisas e artigos utilizados para desenvolvimento do trabalho a partir de 1988, escritos nos idiomas “íngles” e “português”.

Utilizou-se como descritores os termos: Doenças Raras, Judicialização, Medicamentos Órfãos, Políticas Públicas e SUS. As palavras foram utilizadas uma a uma e duas a duas. No total foram encontrados 33.846 artigos, mas foram utilizados 29 artigos, em função de não se adequarem a temática pesquisada ou estavam em duplicata ou não tinham texto completo disponível.

3. DESENVOLVIMENTO

3.1. Direitos Fundamentais dos cidadãos brasileiros

De acordo com a Constituição Brasileira em seu artigo 6º explica quais são os direitos fundamentais (BRASIL, 1988). Destaca-se entre esses direitos, o referente a saúde, e Macedo (et al., 2011, p. 707) define como “garantia, pelo Estado, de condições dignas de vida e de acesso universal e igualitário às ações e serviços de promoção, proteção e recuperação de saúde, em todos os níveis, a todos os habitantes do território nacional”.

A Constituição trouxe ainda em seu artigo 198, que o Sistema de Saúde (SUS) brasileiro, que seguia diferenciações entre pessoas previdenciárias e não-previdenciárias, deveria ser *único*, para todos os cidadãos brasileiros. Baseou-se esse entendimento nos princípios da descentralização, tendo a participação entre estados e municípios na gestão, a participação popular e atendimento integral. O objetivo maior do SUS seria as ações de prevenção, disponibilizando ações integradas como a vigilância sanitária e epidemiológica, saneamento básico, controle de produtos e tecnologias voltadas para a saúde (SOUZA, 2007).

O Sistema Único de Saúde é estabelecido por meio da Lei 8080/1990, trazendo também que a garantia de saúde é obrigação do Estado, sempre buscando ações voltadas para promoção, proteção e recuperação de qualquer cidadão, não devendo fazer distinções. Deverá também o SUS promover a vigilância sanitária e epidemiológica, a saúde integral e assistência terapêutica integral, sendo incluso a assistência farmacêutica. O mais relevante do ponto de vista jurídico é que a Lei estabelece os princípios (universalidade, integralidade e equidade) que norteiam as ações do SUS (VENTURA et al., 2010).

A universalidade dispõe o acesso a serviços de saúde não considerando as peculiaridades pessoais, sociais e econômicas dos cidadãos atendidos. Para Souza e Bittencourt (2011), este princípio traz a garantia de atenção em saúde para qualquer cidadão. A integralidade atende ao modelo de atenção fornecida aos pacientes, objetivando sanar os problemas de forma integral, assim, o tratamento mais simples ao mais complexo devem ser empregados para suprir as necessidades detectadas pelo profissional de saúde.

A integralidade depende da ação entre os setores do SUS para que o atendimento de forma completa e de qualidade seja realizado. A equidade viabiliza a distribuição de recursos objetivando reduzir as desigualdades entre a população, por meio de maiores investimentos em áreas com a carência maior. De acordo com Souza (2007), a equidade está ligada a igualdade, e uma forte relação ao conceito de “justiça”, ou seja, fornecer mais para quem precisa de mais e completa que “[...] a equidade em saúde implica em prover a cada um a atenção, as ações de saúde segundo suas necessidades” (SOUZA, 2007, p. 766).

3.2 Doenças Raras

Existem dois tipos de doenças raras de Origem Genética – anomalias congênitas, deficiência intelectual e EIM (Erros Inatos de Metabolismo) – e Não Genéticas – infecciosas e autoimunes. A definição de doenças raras se embasa na frequência em que atinge a população, ou seja, no Brasil são doenças raras aquelas que afetam 65 pessoas entre 100 mil habitantes (MONSORES, 2013).

Cabe destacar que não existe uma única definição para *Doenças Raras*. A Organização Mundial da Saúde (OMS) ainda não estabeleceu um padrão para que essas sejam conceituadas por todas os países que compõe a Organização. Contudo, considera-se rara “pelo número da sua ocorrência, pelo significado estatístico da sua incidência na população. A doença rara ocorre de forma infrequente. Foge, portanto, à norma” (PORTUGAL, 2013).

Castelló (et. al. 2000, p. 14) trouxe uma conceituação mais abrangente do que seria a doença rara “[...] doença rara é uma condição médica que afeta menos de uma a cada mil pessoas, seu diagnóstico é difícil e não existem métodos de prevenção ou tratamento”. Complementando essa ideia, os autores também destacam que a indústria farmacêutica não possui interesse em desenvolver medicamentos para tratamento das doenças raras, “o mercado é tão pequeno que investimentos em pesquisa e desenvolvimento não são lucrativos e conseqüentemente, não há incentivos para trazer estas drogas para este mercado”.

A doença rara também é conhecida como Doença Órfã, fazendo analogia a doenças que não ocorrem com tanta frequência na população. Segundo Eurordis (2005, p. 6):

“Doenças raras são caracterizadas por sua baixa prevalência (menos 1/2,000) e sua heterogeneidade. Elas afetam tanto adultos quanto crianças em qualquer lugar do mundo. Visto que pacientes com doenças raras são uma minoria, há uma carência de recursos públicos; estas doenças não representam uma prioridade de saúde pública, e poucas pesquisas realizadas. O mercado é tão restrito para estas doenças que a indústria farmacêutica é reticente para investir em pesquisa e para desenvolver tratamentos para doenças raras. Há então uma necessidade de regulação econômica”

Por serem raras, essas doenças são de difícil diagnóstico, e também podem ser caracterizadas pela gravidade, cronicidade, degenerativas, progressivas, podem ter um alto índice de mortalidade ou não terem tratamento (BOY; SCHRAMM, 2009). Com essa realidade, o paciente e sua família tornam-se vulneráveis socialmente, economicamente e psicologicamente, pois passam a lidar com preconceitos, com marginalização e a ausência de tratamentos necessários. Destaca-se também que para muitas doenças não tem como identificar o mecanismo e causa e os fatores de sua ocorrência, isso se dá pelo desconhecimento ou pela falta de pesquisas e estudos mais aprofundados (SOUZA et al., 2007).

Completando as ideias acima, Monsores em 2013, destacou que pessoas com doenças raras são vulneráveis por “eventos genéticos” que foram desenvolvidos aleatoriamente ou são hereditários, e conseqüentemente sofrem uma exclusão social devido a classificações apresentadas no Quadro 1.

Quadro 1: Características de Exclusão de Pessoas com Doenças Raras:

Se tornam invisíveis às outras pessoas, já que a deficiência resultante da doença é sobre determinante ao seu status de pessoa;
Se tornam intocáveis, já que o estigma que portam, isto é, as mudanças em seus corpos, causam estranheza, pavor ou repulsa naqueles que fortuitamente atravessam seus caminhos;
São rotulados como incapazes por precisarem de tecnologias assistivas, por terem convalescença súbita ou longa e por terem limitações ao que é convencional de “vida comum”.

Fonte adaptada: Monsores, 2013, p 18

Os principais problemas que acometem as pessoas, que possuem alguma doença rara, são apresentados no Quadro 2 (BOY; SCHRAMM, 2009; FEDERHEN et al., 2014).

Quadro 2: Principais Problemas que Portadores de Doenças Raras Enfrentam:

A falta de acesso a diagnóstico correto, com longos itinerários diagnósticos, muitas vezes equivocados e imprecisos;
A falta de informação sobre a doença e sobre onde obter ajuda de profissionais de saúde;
A falta de conhecimento científico com escassez de estratégias diagnósticas e terapêuticas;
A falta de cuidados multiprofissionais de saúde após o diagnóstico inicial;
As consequências sociais das manifestações das doenças, já que muitos destes pacientes são pessoas com necessidades especiais, o que gera estigmatização, isolamento, exclusão e discriminação, bem como redução das oportunidades profissionais;
O alto custo dos poucos medicamentos disponíveis e o custo do cuidado continuado que, combinado com a falta de benefícios sociais e reembolso, causam a pauperização das famílias.

Fonte adaptada: Boy e Schramm (2009); Federhen et al. (2014)

Outro ponto importante a ser destacado sobre as doenças raras é o turismo de saúde, que seria a busca de vários pacientes e familiares no exterior tratamentos mais efetivos para as doenças, alguns destes tratamentos ainda não possuem pesquisas suficientes e nem mesmo embasamento científico. Esses tratamentos alternativos têm consequências sérias, podendo citar os eventos iatrogênicos que deixam os pacientes ainda mais debilitados e trazem ônus para o SUS que terá que dispor de incursões terapêuticas para essas pessoas (MONSORES, 2013).

3.3 Medicamentos Órfãos

De acordo com a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) os medicamentos órfãos seriam “medicamentos eficazes no tratamento ou diagnóstico de doenças raras ou negligenciadas” (INTERFARMA, 2015). Cabe destacar que a ANVISA não considera as questões econômicas relacionadas ao alto custo dos medicamentos órfãos.

A primeira vez que se utilizou o conceito de medicamento órfão foi em 1968 pelo médico pediatra Harry Shirkey em seu artigo na revista *Pediatrics* que tratava sobre um remédio adulto que estava sendo utilizado para tratamento infantil. Considerava que neste artigo que medicamento órfão seriam aqueles remédios que não estão disponíveis no mercado consumidor, pois é muito baixa a sua utilização e muito elevado o custo para sua produção (AITH et al., 2014).

Na Europa, o Comitê de Produtos e Medicamentos Órfãos (*Committee for Orphan Medicinal Products* -COMP) que pertence a Agencia Europeia de Medicina (*European Medicines Agency* - EMEA), que foi criada em 1999 é a responsável por medicamentos órfãos. O Governo lança incentivos para o desenvolvimento de tais produtos, visto que a indústria farmacêutica não se interessa por tais produtos em condições normais de mercado. Assim, faz uma avaliação realizada pelo Comitê para que um medicamento se torne ou não em medicamento órfão (BINNS; DRISCOLL, 2000).

Nos Estados Unidos, existe o Departamento de Desenvolvimento de Produtos Órfãos (*Office of Orphan Products Development* – OOPD) que trabalha com esse tipo de produto. No princípio atuava em fatores econômicos, de acordo com que foi orientado pelo Orphan Act (1983), mas desde 2004 a OOPD também considera os fatores epidemiológicos. Para atingir esse objetivo são considerados os seguintes critérios: 1. O medicamento deve apresentar maior efetividade do que o de mercado; 2. Maior segurança do que o registrado e, 3. Caso não haja o medicamento órfão disponível o mesmo deve contribuir para o tratamento do doente (VASQUEZ et al. 2008).

Para Aith et al. em 2014, p. 28, “a discussão sobre doenças raras impõe uma abordagem conjunta com os denominados medicamentos órfãos, uma vez que geralmente estes são essenciais para o tratamento terapêutico dos portadores de doenças raras”. Torna-se relevante também a temática pois questiona a efetividade do Estado em disponibilizar aos portadores de doenças raras os seus direitos fundamentais como a saúde, e os princípios do SUS, a universalidade e integralidade e equidade. Pode-se afirmar que pela definição proposta, os tratamentos de doenças raras e a utilização de medicamentos órfãos se diferenciam muito de doenças comuns e dos métodos para tratamento.

Os maiores problemas do desenvolvimento de medicamentos para portadores de doenças raras iniciam-se pelo baixo quantitativo de pessoas, o que interfere na

realização de pesquisas clínicas, no embasamento científico e de custo-efetivo dos produtos. Com maior ênfase no fator econômico, o que resulta em custo elevado para que a indústria farmacêutica os desenvolvam por possuírem um mercado extremamente restrito comparado com doenças prevalentes (MONSORES, 2013).

Porém, é necessário destacar que o desenvolvimento de medicamentos para doenças raras, mesmo tendo custos elevados, resulta na diminuição de outros gastos pelo SUS, como exemplo a diminuição de internações em hospitais e a utilização ineficiente de outros tratamentos e medicamentos (FEDERHEN et al., 2014).

A responsabilidade pelos medicamentos órfãos no Brasil é da ANVISA segundo a Lei 9.782/1999, devendo registrar e monitorar os medicamentos, e a aplicação desses produtos. Existe um documento que define de maneira restrita os medicamentos órfãos os diferenciando. Mesmo assim, não traz um processo de registro e estipulação de preços para estes medicamentos, ou seja, deveriam ser avaliados da mesma maneira que os medicamentos destinados para doenças de alta prevalência. Aith *et al.* (2014) discorre que a ANVISA não possui prerrogativa para conferir ao medicamento o *status* de órfão.

3.4 Políticas Públicas no Brasil

Sobre à implementação de políticas públicas de saúde, doenças raras é um tema que tem pouco tempo de discussão, demonstrando a busca por uma maneira mais adequada para amparar os pacientes que foram negligenciados por um longo período de tempo. Contudo, o atraso para adoção de política voltadas para estas pessoas resultou na ausência de confiabilidade no Sistema Público de Saúde (SUS) pelos pacientes e suas famílias (MONSORES, 2013).

Em outros países as doenças raras já possuem um atendimento diferenciado, na França já possui o Plano Nacional para Doenças Raras do seu Ministério da Saúde, que traz a atuação de profissionais especializados, associações e profissionais da saúde que atendem em 67 centros que tratam 18 categorias de doenças (INTERFARMA, 2015). No Japão existe o Programa Nacional de Doenças Raras e Intratáveis, desde 1972, e cerca de 60 grupos estudam e pesquisam 123 doenças raras no país, estes grupos possuem auxílio financeiro estatal, e devem tornar público todas as informações encontradas, principalmente aquelas que orientam para o diagnóstico e tratamento de pacientes.

As Políticas Públicas voltadas para doenças raras começaram a ter relevância em países da Europa e nos Estados Unidos após cobranças da sociedade civil organizada, por meio de associações de pacientes e familiares que necessitam de atenção para portadores das doenças. Outros países que também dispuseram atenção para as doenças raras foram a Austrália a partir de 1998 e a Colômbia através da Lei 1392 de 2010 (SOUZA; BITTENCOURT, 2011).

No Brasil a atenção para as doenças raras iniciou-se nos anos 2000, quando criou-se um grupo focado em genética clínica no SUS, que posteriormente deu origem a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. De acordo com Federhen (et al. 2014) a abordagem utilizada era insuficiente para tratar da problemática das doenças raras, pois o foco era somente as doenças de origem genética. Assim, após pressão social, publica-se a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, que serão expostas abaixo. O Brasil não possui uma legislação que permita a indústria farmacêutica desenvolver estudos e pesquisa para novas tecnologias de tratamento (MONSORES, 2013).

A atual regulamentação obriga que o financiador das pesquisas que disponibilize a melhor terapia existente após a finalização dos estudos, inclusive terapias que são disponíveis apenas em rede privada de saúde, como fisioterapias, terapias ocupacionais entre outras. As doenças raras normalmente atingem múltiplos órgãos e necessitam que sejam feitos exames periódicos, como exemplo o PET-TC (PET-Scan0), pois muitos hospitais não possuem o aparato técnico, os quais não estão disponíveis sempre no SUS (FEDERHEN et al., 2014).

Existia a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica, que foi de responsabilidade Federal, seguindo a Portaria nº 81/2009 (BRASIL, 2009), que objetiva incentivar pesquisas em genética clínica que auxiliem na identificação das causas de anomalias congênitas e fatores determinantes de doenças genéticas, o que auxilia no desenvolvimento de políticas públicas de enfermidades. Para Aith et al. (2014) essa Portaria se torna importante para o âmbito de doenças raras, pois cerca de 80% são doenças de origem genética. A Política é composta por dois níveis, com a Atenção Básica, focada em aconselhar os familiares e pacientes de doenças genéticas e a Atenção Especializada em Genética Clínica, com atendimento interdisciplinar e responsável por acompanhar os pacientes e tratamento.

A Portaria nº 81/2009, do Ministério da Saúde, trouxe um grande benefício para as pessoas com doenças raras, pois, discuti a necessidade de inclusão dessas no SUS,

sendo necessária uma política que abarcasse desde o diagnóstico até o tratamento, tendo sua ação a partir de uma rede de assistência e maior especialização profissional e que trouxesse uma maior atuação do Poder estatal. Contudo, destaca-se que mesmo com a publicação dessa Portaria não obteve-se o impacto necessário para que ocorresse uma melhoria nos diagnósticos e tratamento dos portadores de doenças raras (BRASIL, 2009).

Diante disso, a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras foi instituída pela Portaria 199 de 30 de janeiro de 2014, trazendo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras pelo SUS e institui os incentivos financeiros para que sejam desenvolvidas. E conceitua como doença rara “aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 (cem mil) indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 (dois mil) indivíduos” (BRASIL, 2014, art. 3º). De acordo com Art. 4º o objetivo da Política é diminuir a mortalidade, e buscar meios para redução da morbimortalidade e de manifestações secundárias, busca-se também proporcionar um vida melhor das pessoas, através prevenção, divulgação e tratamento mais adequado para as incapacidades e até cuidados paliativos (BRASIL, 2014).

A Política de Atenção Integral também traz em seu texto a classificação das doenças raras em dois eixos: as que são de origem genética, as que são enquadradas nesse grupo são as anomalias congênitas ou de manifestação tardia, a deficiência intelectual e erros inatos de metabolismo; e as de origem não-genética, seriam as infecciosas, as inflamatórias. Desta maneira, torna-se válido que esta Política se interligue com outras políticas, como a Rede de Atenção às Pessoas com Doenças Crônicas e a Rede de Atenção à Pessoa com Deficiência (SOUZA; BITTENCOURT, 2011).

A Política segue os mesmos moldes das demais que integram o SUS, tendo sua responsabilidade comum entre o Ministério da Saúde (União) e as Secretarias de Saúde (Estados e o DF) e os Municípios, devendo partilhar a gestão e do financiamento. Entre as diretrizes e princípios trazidos pela Política, destacam-se a qualificação de profissionais para diagnosticar e tratar de doenças raras, a articulação intersetorial e, principalmente o que está exposto no art. 6º, trazendo a utilização de mecanismos tecnológicos que proporcionem a prevenção e o cuidado integral da Rede de Atenção à Saúde, utilizando-se também de medicamentos e formulas nutricionais que devem ser resultados das recomendações formuladas por órgãos governamentais a partir do processo de avaliação e aprovação pela Comissão Nacional de Incorporação de

Tecnologias no SUS (CONITEC) e Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) (BRASIL, 2014).

Existe também a Lei 8080 de 1990 que traz em seus artigos 6º e 13º a Assistência Farmacêutica como objetivo do SUS. De acordo com Pepe (et. al. 2010, p. 2407), a assistência farmacêutica seria “como um conjunto de atividades sistêmicas articuladas como um ciclo, que se sucedem e só se completam nas medidas em que a atividade anterior for adequadamente realizada”. Esse ciclo seria composto por seleção, programação, aquisição, armazenamento, distribuição e utilização, e relacionados com a prescrição, dispensa e uso de remédios.

A Assistência Farmacêutica envolve a Política Nacional de Medicamentos (PNM) e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF), para Chieffi e Barata (2010, p. 423), na elaboração de políticas ligadas a medicamentos, o poder estatal caracteriza os medicamentos para tratamento de doenças, baseando-se em critérios científicos, pois serão medicamentos utilizados por milhões de pessoas, assim torna-se necessário dispor a população medicamentos confiáveis, eficientes e eficazes e com custo-efetivo.

A PNM foi instituída pelo Ministério da Saúde através da Portaria 3916/1998, esta traz que as pessoas responsáveis pela gestão do SUS deverão garantir medicamentos sejam seguros, eficazes e com qualidade e tenham o menor custo possível. De forma simples, a PNM é considerada como uma política inclusiva, que objetiva garantir o acesso a medicamentos a população dentro da capacidade do Estado, utilizando da racionalidade como meio de segurança e de economia orçamentária (CONASS, 2007).

A PNM tem como uma das diretrizes a revisão permanente da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), que consiste em uma lista de medicamentos essenciais para o atendimento da maior parte dos problemas de saúde do país, tendo como objetivo orientar e padronizar a prescrição e o abastecimento de medicamentos, o que proporciona uma redução de preços e maior acessibilidade dos usuários ao tratamento. Os medicamentos da lista devem ter registro na ANVISA obrigatoriamente (SOARES; DEPRÁ, 2011).

3.5 O Processo de Judicialização da Saúde

A Judicialização da saúde no país é uma demanda que acompanha a necessidade de se elaborar e executar políticas públicas pelo Ministério da Saúde. No entendimento de Aith *et al.* (2014) a participação do poder Judiciário é o de julgar, em último grau, as demandas que são relacionadas ao direito à saúde, observando que a sociedade que

devem solicitar. Completa afirmando que a falta de delimitação do dever do Estado para a população no quesito saúde, e a obrigatoriedade de disponibilizar serviços que atendam esse direito, resulta no aumento significativo de ações judiciais por medicamentos e tratamentos de saúde.

A problemática das demandas judiciais não se restringe somente aos direitos garantidos pela Constituição do Brasil, questiona-se também os distintos princípios do SUS e como por meio da ação judicial pode-se conseguir que a universalidade, equidade e da integralidade que se deseja alcançar. Inclúisse também na questão o quesito orçamento, e os danos advindos a população pela utilização inadequada de medicamentos. Para Soares e Deprá (2011, p. 318) “as ações judiciais passam a ocupar lugar de destaque na assistência farmacêutica, e desrespeitam muitas vezes, os princípios que deveriam reger a utilização de medicamentos”.

O processo de judicialização da saúde iniciou-se a partir de 1990, onde ONGs (Organizações Não-Governamentais) tinham como objetivo conseguir tratamento através de medicamentos para pessoas portadoras da AIDS. O método utilizado é o de responsabilizar o Estado brasileiro pelo direito a saúde da pessoa. O maior problema constatado em pesquisas para a judicialização é o acesso a medicamentos, que mesmo com a Política Nacional de Medicamentos Genéricos de 1999, esse cenário teve poucas alterações, e a falta de ações governamentais contribuem significativamente para o cenário da judicialização (BAPTISTA et al., 2008).

A judicialização de medicamentos para tratamento de doenças raras tem se tornado cada vez mais comum, por vários motivos que são categorizados em dois (02) ramos: tratamentos disponíveis no SUS e medicamentos que não foram incorporados à lista de oferta do SUS. Nos dois (02) ramos, pode-se observar a redução de medicamentos disponíveis. Chieffi e Barata (2009) apresentaram uma lista com os motivos para que a situação citada a cima, dentre eles, os preços são abusivos, não possuem em estoque, a padronização de utilização, a falta de registro no país, e questões relacionadas a comprovação da eficiência por meio de critérios científicos.

Para Ventura et al. (2010) as ações do Judiciário nos casos demonstram claramente as fragilidades da Administração Pública no cumprimento da política de assistência farmacêutica. Contudo, ressalta o benefício dessa situação, trazendo a responsabilização dos administradores da saúde para que melhorem os processos de incorporação, aquisição e dispensa de medicamentos pelo SUS. E afirma que essa prática é algo que traz riscos sérios, pois acaba fazendo com que a judicialização seja a

única maneira pelo qual se tem acesso a medicamento no Brasil. Macedo (et. al. 2011) concorda em partes com essas afirmações, mas atribue a judicialização de medicamentos que já estão no SUS ao desatendo em examinar e analisar a execução de política públicas, sendo a judicialização é um importante mecanismo que amplia e rever políticas públicas.

Para que nesse processo de judicialização não haja falha nas decisões dos magistrados, estes se apoiam em alguns critérios bem específicos são eles: a prescrição médica, que também gera questões entre os teóricos; a hipossuficiência econômica, que seria a capacidade financeira do paciente em adquirir os medicamentos por meios particulares e a urgência do acesso ao remédio para o tratamento (CHIEFFI, BARATA, 2009).

De acordo com Linhares (2015), no ano de 2006, criou-se no Rio de Janeiro (RJ) o Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde (NAT), que tem como objetivo fornecer uma assessoria aos Juízes e Defensores públicos em ações judiciais que sejam contra o estado para obtenção de medicamentos, observa-se que esse núcleo tem tido resultado positivos, evitando diversos pedidos de acesso.

Porém, como discorrem Chieffi e Barata (2010), mesmo com a apresentação de informações importantes por gestores de saúde a pedido dos juízes, não é garantido que estes tomem decisões que dialoguem com o conhecimento técnico e científico específicos do setor de saúde. Todas as informações são passíveis de interpretações pessoais, e nem sempre vão resultar em decisões que garantam a segurança do paciente e a efetividade do tratamento. A indústria é um dos personagens mais importantes para o setor de saúde no Brasil. Ressaltam a importância do SUS no mercado de medicamentos. Por ser um sistema público de caráter universal e que, portanto, garante à indústria farmacêutica um amplo mercado para a venda de seus produtos, há situações em que não há concorrência direta entre empresas do setor.

A maior problematização sobre o processo de judicialização é como este tem forte impacto sobre os orçamentos estatais e aos princípios do SUS. Deve-se ressaltar que as Políticas Públicas voltadas para saúde têm um planejamento e são implementadas orientadas para o bem-estar social, buscando seguir os princípios do SUS de maneira aceitável. Contudo, as judicializações tem como característica principal na maioria dos casos o individualismo, o que traz prejuízos para a execução de políticas que foram planejadas de forma coletiva (CHIEFFI; BARATA, 2009).

Cabe destacar que o quantitativo orçamentário que a judicialização solicita é tão elevado que tem forte impacto sobre os gastos públicos e assim os Estados e Municípios sofrem grandes prejuízos para suprir as demandas judiciais, estes possuem recursos destinados a outros setores que necessitem de tais verbas e má gestão. Deve-se ressaltar que com a transferência de recursos para as ações judiciais ocorre o não abastecimento de medicamentos que são de uso comum e necessários nos centros médicos do SUS, trazendo um rompendo com o planejamento global (SOARES; DEPRÁ, 2011).

4. CONSIDERAÇÕES FINAIS

De acordo com a Constituição Federal Brasileira é obrigação do Estado, das instituições competentes e da sociedade prover a saúde de todo seu povo de maneira universal, integral e com equidade por meio do SUS, que tem como gestor e recursos orçamentário advindos da União, dos estados e municípios. Os elaboradores do texto constitucional não previram que poderia ocorrer transformações nos tratamentos médicos, como exemplo o surgimento de novas doenças e tratamentos adequados, como também não trouxe a complexidade que a área da saúde está envolta.

Em busca de melhores e mais adequados tratamentos a população não se restringe aos hospitais, indo buscar os seus direitos em tribunais através da judicialização para alcançar tratamentos e medicamentos que não estão disponíveis para garantia de sua vida ou de entes queridos. Desta maneira a judicialização tem se tornado algo muito complexo para as demandas da saúde pois, por um lado busca a garantia de direitos constitucionais, mas também traz a escassez de produtos que atendam as pessoas que possuem doenças com baixa incidência.

Outro problema que afeta aos portadores de doenças raras é que não existe uma única definição, o que traz uma barreira para a implantação de políticas públicas coerentes e que possam promover o diagnóstico precoce e assim um tratamento mais adequado. Uma forma de diminuição da judicialização no Brasil, seria a definição de políticas públicas que objetivem a assistência à saúde adequada e conseqüentemente incentivem pesquisas e estudos sobre as doenças raras. O conhecimento científico reduzido e comprovação de eficácia clínica de medicamentos é outro problema muito comum no país, que ocorre pela raridade das doenças.

A utilização de medicamentos órfãos para tratamentos de doenças raras é o tema das principais ações que são judicializadas, pois o valor atribuído pela indústria desses

medicamentos é muito elevado. Assim, muitas pessoas necessitam desses medicamentos de forma contínua, e não têm recursos próprios para o acesso. A indústria farmacêutica possui interesse reduzido no desenvolvimento de remédios em quantidade para atender as demandas por não haver compradores dispostos a pagar o valor elevado. Neste momento deve-se destacar a intervenção do Estado e a sociedade civil como agente condutor do processo de criação de instrumentos que possam incentivar as indústrias na produção de drogas órfãs.

5. REFERÊNCIAS

AITH, F.; BUJDOSO, Y.; NASCIMENTO, P. R.; DALLARI, S. G. Os princípios da Universalidade e Integralidade do SUS sob a Perspectiva da Política de Doenças Raras e da Incorporação Tecnológica. **Revista de Direito Sanitário**, São Paulo v.15 n.1, p. 10-39, mar./jun. 2014.

BAPTISTA, T. W. F.; MACHADO, C. V.; LIMA, L. D. S. responsibility and right to health in Brazil: a balance of the Branches' actions. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 14, n.3, p.829-839, maio/jun. 2009.

BINNS, R.; DRISCOLL, B. New European rules on orphan drugs. **Pharmaceutical Science & Technology Today**, Oxford, v. 3. p. 218-219, jul. 2000.

BOY, R.; SCHRAMM, F. R. Bioética da proteção e tratamento de doenças genéticas raras no Brasil: o caso das doenças de depósito lisossomal. **Cadernos de Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v. 25, p. 1276-1284, Jun. 2009.

BRASIL, MINISTERIO DA SAÚDE. **Portaria Nº 81, de 20 de Janeiro de 2009**. Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. Disponível em: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2009/prt0081_20_01_2009.html. Acesso em: 03 mar. 2017.

BRASIL. MINISTERIO DA SAÚDE. **Portaria Nº 199, de 30 de Janeiro de 2014**. Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Disponível em: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html. Acesso em: 03 mar. 2017.

BRASIL. **Constituição Federal**. 1988. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicaocompilado.htm

Acesso em: 03 mar. 2017.

CASTELLÓ, J. C. et al. Orphan drugs and Orphan diseases. **European Journal of Paediatric Neurology**, Nice, v. 4, p. 141-149. Mês. 2000.

CHIEFFI, A. L.; BARATA, R. B. Judicialização da política pública de assistência farmacêutica e equidade. **Cadernos de Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v.25, n.8, p.1839-1849, ago. 2009.

CHIEFFI, A. L.; BARATA, R. C. B. Ações judiciais: estratégia da indústria farmacêutica para introdução de novos medicamentos. **Revista de Saúde Pública**, São Paulo, v.44, n.3, p.421-429, jun. 2010.

CONASS, Conselho Nacional de Secretários de Saúde. **Atenção Primária e Promoção da Saúde**. Brasília: CONASS, 2007

EURORDIS. **Rare Diseases: understanding this Public Health Priority**. 2005. Disponível em: www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf. Acesso em: 05 maio 2017.

FEDERHEN, A. et al. Pesquisa clínica e doenças raras: a situação no Brasil. **Jornal Brasileiro de Economia da Saúde**, São Paulo, suplemento 1, p.17-23, dez.2014.

HEEMSTRA, H. E. et al. Orphan drug development across Europe: bottlenecks and opportunities. **Drug Discovery Today**. Oxford, v. 13, p.670-676, ago. 2008.

INTERFARMA. **Proposta para Incorporação de medicamentos em Doenças Raras: definição de critérios para avaliação de reembolso de medicamentos órfãos para tratamento de doenças raras no SUS**. São Paulo: Interfarma, 2015.

LUZ, G.; SILVA; M. R.; DEMONTIGNY, F. Doenças Raras: Itinerário Diagnóstico e terapêutico das famílias de pessoas afetadas. Rio Grande do Sul: **Acta Paulista de Enfermagem**, São Paulo, v. 28, n. 5, p 395-400, ago. 2015.

MACEDO, E. I. de; LOPES, L. C.; BARBERATO-FILHO, S. Análise técnica para a tomada de decisão do fornecimento de medicamentos pela via judicial. **Revista de Saúde Pública**, São Paulo, v.45, n.4, p.706-713, ago. 2011.

MONSORES, N. Questões Bioéticas sobre Doenças Genéticas Raras. *In: Dia Mundial das Doenças Raras – 2013*. Brasília: Câmara dos Deputados: Centro de Documentação e Informação, 2013.

PEPE, V. L. E. et al. A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v.15, n.5, p.2405-2414, ago. 2010.

PORTUGAL, Ministério da Saúde. Direção Geral da Saúde. **Programa Nacional para Doenças Raras (PNDR)**. Lisboa: jun. 2008. Disponível em: <http://1nj5ms2lli5hdggbe3mm7ms5.wpengine.netdna-cdn.com/files/2015/08/Programa-Nacional-para-Doen%C3%A7as-Raras.pdf>. Acesso em: 05 maio 2017.

PORTUGAL, S. Para um começo de reflexão sobre o cuidado com doenças raras. *In: CÂMARA DOS DEPUTADOS. Dia Mundial das Doenças Raras – 2013*. Brasília: Câmara dos Deputados: Centro de Documentação e Informação, 2013. p. 25-28

SOUZA, M. L. G.; BITTENCOURT, S. A. **A saúde no Brasil: história do Sistema Único de Saúde, arcabouço legal, organização, funcionamento, financiamento do SUS e as principais propostas de regulamentação da Emenda Constitucional nº 29, de 2000**. Câmara dos Deputados, Consultoria de Orçamento e Fiscalização Financeira, Brasília, 2011, 88p. (Série Estudo Técnico). Disponível em: <http://bd.camara.gov.br/bd/handle/bdcamara/7346>. Acesso em: 11 mar. 2017.

SOUZA, M. V. et al. Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas. **Ciência & Saúde Coletiva**. Rio de Janeiro: v. 15, n. 3, p. 3443-3454, nov. 2010.

SOUZA, R. R. de. Políticas e práticas de saúde e equidade. **Revista da Escola de Enfermagem da USP**, São Paulo, v. 41, p. 765-770, dez. 2007.

VASQUEZ, S. E. et al. Incentives for orphan drug research and development in the United States. **Orphanet Journal of Rare Diseases**. London. v. 3, p.1-7, dez. 2008.

PEPE, V. L. E. et al. Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde. **Ciencia e Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v.20, n.1, p.77-100, ago. 2010.

VIEIRA, F. S.; ZUCCHI, P. Distorções causadas pelas ações judiciais à política de medicamentos no Brasil. **Revista de Saúde Pública**, São Paulo, v.41 n.2 p. 214-222, abr. 2007.

WANG, C.; LI, D. Esforços legislativos para o cuidado de Doenças Raras na china: Análise dos fundamentos jurídicos e chamada para um quadro regulatório. **Revista de Direito Sanitário**, São Paulo, v. 14, p. 11-33, mar./jun. 2013.