

**UNIVERSIDADE FEDERAL DO RIO GRANDE – FURG  
INSTITUTO DE CIÊNCIAS ECONÔMICAS, ADMINISTRATIVAS E  
CONTÁBEIS – ICEAC  
CURSO DE CIÊNCIAS ECONÔMICAS**

**CRISTIELEN LOURO MARQUES**

**ECONOMIA DAS DOENÇAS RARAS:  
UMA ANÁLISE ECONÔMICA**

**RIO GRANDE - RS  
2017**

**CRISTIELEN LOURO MARQUES**

**ECONOMIA DAS DOENÇAS RARAS:  
UMA ANÁLISE ECONÔMICA**

Monografia apresentada como requisito parcial para a obtenção do título de bacharel, pelo curso de Ciências Econômicas da Universidade Federal de Rio Grande.

Orientador: Prof. Dr. Tiarajú A. de Freitas

**RIO GRANDE-RS  
2017**

*À minha bisavó Wilka Pereira, sua  
lembrança esteve sempre comigo.*

## AGRADECIMENTOS

Agradeço imensamente a Deus, por estar sempre iluminando meus passos, de forma a me guiar para os melhores caminhos, me abençoando e me protegendo a cada dia.

A minha bisavó que esteve sempre presente nos meus pensamentos, e eternizada em meu coração, dedico esta conquista a ti que mesmo não estando mais presente, foi minha maior força e motivação.

Em especial agradeço meus pais Luiz Neri Marques e Elisabeth Louro, minha madrastra Shirlei Ribeiro, meu padrasto Oriovaldo Mendes, meus irmãos Thalison Mendes e Cristinery Marques e meu cunhado Igor Pereira, por me darem todo apoio e suporte que eu precisava, e pelos momentos em que a carga se tornou pesada, mas vocês não me deixaram desistir, me mostrando sempre que eu era capaz. Sem dúvida vocês fizeram toda diferença nessa caminhada e fazem parte dessa conquista.

Ao meu orientador Tiarajú de Freitas por me acolher como orientanda, agradeço por toda ajuda na construção desse trabalho, e pela paciência a mim dedicada.

Aos professores do curso, pelos ensinamentos e aprendizados durante todos estes anos e que levarei para vida toda, tanto profissional quanto pessoal.

Um agradecimento enorme aos amigos que fiz durante esses árduos cinco anos e meio na Universidade, pela ajuda necessária, pelos incentivos, as risadas, as trocas de experiências vividas, os momentos de descontração e até mesmo os puxões de orelha quando foi preciso.

A minha família Unilis, essa equipe maravilhosa com a qual tenho o privilégio de fazer parte, obrigada por todo apoio e compreensão.

Enfim a todos meus amigos e familiares que me ajudaram direta ou indiretamente, e que confiaram em mim todo momento, me apoiando com as mensagens de incentivo no meio da madrugada, quando o cansaço predominava.

*“Lutar pela igualdade sempre que a diferença nos discrimine e lutar pela diferença sempre que a igualdade nos descaracterize” (Boaventura de Sousa Campos)*

## **RESUMO**

O presente trabalho tem por objetivo identificar os principais problemas enfrentados pelo sistema público de saúde no Brasil e revisar os aspectos econômicos, no âmbito das doenças raras e dos medicamentos órfãos. Trata-se não só de um problema de saúde pública, já que refletem em questões sociais e econômicas, pois mesmo que esta seja de baixa prevalência, existe um grande número de pacientes com tais patologias, sem assistência adequada para sua recuperação, pois ainda são poucos os incentivos para desenvolvimento de medicamentos destinados a doenças raras. Sendo a economia uma disciplina presente em todas as áreas, buscou-se através de uma revisão bibliográfica, mostrar como os instrumentos econômicos podem auxiliar na área da saúde, de forma a otimizar os serviços prestados pelo Sistema Único de Saúde, cumprindo com o que estabelece a Constituição Federal de 1988, especificamente no que tange as doenças raras.

Palavras-Chave: Doenças raras; economia da saúde; medicamentos órfãos; SUS.

## SUMÁRIO

|  |           |
|--|-----------|
| <b>1 INTRODUÇÃO .....</b>                                      | <b>1</b>  |
| <b>2 ECONOMIA DA SAÚDE .....</b>                               | <b>3</b>  |
| <b>3 FINANÇAS PÚBLICAS.....</b>                                | <b>8</b>  |
| <b>3.1 Teoria das finanças públicas .....</b>                  | <b>8</b>  |
| <b>3.2 Aspectos do sistema Tributário.....</b>                 | <b>9</b>  |
| <b>3.3 Gasto público no Brasil .....</b>                       | <b>10</b> |
| <b>4 ECONOMIA DA SAÚDE E AS DOENÇAS RARAS .....</b>            | <b>12</b> |
| <b>4.1 Definição de Doenças Raras (DR).....</b>                | <b>12</b> |
| <b>4.2. Definição de medicamentos órfãos .....</b>             | <b>15</b> |
| <b>4.3. Doenças Raras e medicamentos órfãos no Mundo .....</b> | <b>18</b> |
| <b>4.4. O caso no Brasil.....</b>                              | <b>21</b> |
| <b>5 DOENÇAS RARAS: O SUS E A JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE.....</b> | <b>24</b> |
| <b>6 CONSIDERAÇÕES FINAIS .....</b>                            | <b>31</b> |
| <b>7 REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS CITADAS .....</b>              | <b>33</b> |

## 1 INTRODUÇÃO

O presente trabalho busca identificar os principais problemas enfrentados pelo sistema público de saúde no Brasil e revisar os aspectos econômicos, no âmbito das doenças raras<sup>1</sup> e dos medicamentos órfãos<sup>2</sup>. A doença é assim caracterizada por apresentar baixa prevalência na população de um país, pois segundo Organização Mundial da Saúde, estimativas baseadas em países europeus mostram que no Brasil existe cerca de 13 milhões de pessoas acometidas com alguma doença rara, seja ela de origem genética ou não.

As doenças raras não são somente um problema de saúde pública, já que refletem em questões sociais e econômicas, pois mesmo que esta seja de baixa prevalência, existe um grande número de pacientes com tais patologias, mas essa raridade torna os investimentos pouco atrativos em termos econômicos e os custos de pesquisa e desenvolvimento muito altos para um mercado consumidor pequeno, tornando inviável a produção destes medicamentos.

A Constituição Federal de 1988 (CF/88), diz que todo cidadão tem direito à saúde, e que este é um dever do Estado. Porém, cidadãos portadores de doenças raras não têm acesso à saúde de forma igualitária, como diz um dos princípios do Sistema Único de Saúde. A atuação do governo quanto à saúde deveria ser a promoção à saúde, bem como o tratamento e a reabilitação de doenças e agravos, mas os pacientes destas anomalias enfrentam muitos obstáculos até adquirir tratamento.

A importância deste estudo está na necessidade muito grande da criação de uma regulação econômica no Brasil que aborde uma definição dessas doenças, atuando em melhorias na taxa de pacientes raros, redução dos sintomas e até mesmo uma provável cura (se isto for possível), visto que não há um conceito único para estas, dificultando a estimativa com maior precisão de um número total de doenças, dificultando protocolos e disponibilidade de medicamento.

Foi efetuado um levantamento de informações em artigos, teses, dissertações, e como forma de obter referências relevantes mais atualizadas, se utilizou revistas e sites de notícias para embasamento do estudo em questão, e através de uma revisão bibliográfica, o estudo buscou analisar a dimensão do

---

<sup>1</sup> São assim denominadas pela sua baixa prevalência, pois acometem 65 indivíduos a cada 100.000. Para uma melhor definição leia a seção 4.1.

<sup>2</sup> Fármacos utilizados para tratamento de doenças consideradas raras.

problema, identificando quais instrumentos de políticas públicas existentes de incentivo a pesquisa e desenvolvimento para o tratamento das doenças raras no Brasil, assim como em outros países. Verificou também as alternativas para corrigir a ineficiência do Sistema Único de Saúde, quanto a assistência aos portadores de doenças raras.

Assim, após esta introdução o segundo capítulo apresenta definições e conceitos sobre economia da saúde, esclarecendo como instrumentos econômicos podem auxiliar, na tomada de decisões no momento de alocar um recurso, principalmente quando se diz respeito a saúde, que se tratando de um bem escasso, quando o investimento é aplicado a uma ação que abrange parte de uma população, uma outra parte acaba sendo prejudicada. Assim a economia pode implantar políticas que tornem o gerenciamento dos recursos mais eficiente.

O terceiro capítulo traz a teoria das finanças públicas, identificando como se dá o financiamento dos gastos do setor público. Existem bens que possuem um elevado custo de investimento, causando desinteresse das indústrias em disponibilizá-los no mercado, sendo necessária uma intervenção do Estado, como forma de corrigir distorções e possíveis falhas de mercado. Nesse caso, temos o exemplo dos fármacos para doenças raras.

No quarto capítulo, serão abordadas definições para as doenças raras e drogas órfãs, sob a perspectiva de diversos autores, identificando as características e como obter um diagnóstico e tratamento adequado, frente às barreiras enfrentadas no Brasil. E ainda, como essa questão é tratada em outros países quanto a definição, política implantadas e quais incentivos em comparação ao Brasil.

No quinto capítulo foi verificada a questão da judicialização, pois os gastos com medicamentos via processo vem crescendo a cada ano, afetando consideravelmente os cofres públicos, e esta parte tem a intenção de mostrar de que forma se dá a avaliação de um processo referente a solicitação para aquisição de medicamentos, quando o mesmo não se encontra disponível de forma gratuita pelo sistema de saúde público. Os gastos com medicamentos via processo vem crescendo a cada ano, afetando consideravelmente os cofres públicos.

## 2 ECONOMIA DA SAÚDE

Para saber como surgiu a economia da saúde, parte-se de um breve conceito sobre o que é a economia e também o que é saúde.

Segundo Mankiw (2009, p.4), “Economia é o estudo de como a sociedade administra seus recursos escassos”, trata-se de um problema econômico, que é a escassez de bens e serviços, frente as infinitas necessidades da sociedade, pois não existe a possibilidade de produzir a quantidade de bens necessários para satisfazer a população como um todo, de forma a gerar um padrão elevado de vida. Eis a importância de se trabalhar a gestão para melhor alocar estes recursos limitados, auxiliando na tomada de decisões dos indivíduos a fim de maximizar a utilidade ou satisfação dos consumidores.

Antes de tomar qualquer decisão, o indivíduo precisa ter conhecimento de suas opções, e estar ciente que para investir em algo, diminuirá o recurso investido em outro, o que o autor chama de um tipo de *tradeoffs*, e sua decisão deve ser aquela em que seu benefício seja maior que o custo. Deve ainda estar atento ao custo de oportunidade, dada a sua escolha, ou seja, aquilo que ele deixou de ter ou fazer, em prol de sua decisão.

Outro *tradeoff* que a sociedade enfrenta é entre eficiência e equidade. Eficiência significa que a sociedade está obtendo o máximo que pode de seus recursos escassos. Equidade significa que os benefícios advindos desses recursos estão sendo distribuídos com justiça entre os membros da sociedade. Em outras palavras, a eficiência se refere ao tamanho do bolo econômico e equidade, à maneira como o bolo é dividido. (Mankiw, Gregory N. 2009 – p.5).

Mankiw (2009), menciona que se o mercado no momento de gerenciar seus recursos não for eficiente, poderá gerar uma falha de mercado, que pode ser causada ao implantar uma ação que prejudique o bem estar de outrem, ou ainda dar o poder de mercado a uma determinada empresa, de forma que ela não precisa competir com outras, elevando assim os preços do seu bem ou serviço. Nesse caso a implementação de políticas públicas, podem de maneira econômica, elevar a eficiência da alocação.

Segundo Backes et. al (2009), no que diz respeito a saúde, a Organização Mundial da Saúde (OMS) define como uma situação de completo bem-estar físico, mental e social, e não apenas a ausência de doença. Mas a saúde é resultado de

uma junção de fatores essenciais a vida, claro que é preciso que se tenha como prioridade o acesso a saúde, porém existem outros aspectos que devem ser levados em consideração, como por exemplo saneamento básico (água potável, tratamento de esgotos, coleta de resíduos...), evitando assim o surgimento de novas doenças e promovendo saúde.

No Brasil, a Constituição Cidadã de 1988, no art. 196, diz que “A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação” (BRASIL, 1988), baseado nisso, Arouca (1986) diz ser necessário que a sociedade tenha melhores condições de vida, como um trabalho com um bom salário, educação, como forma de se qualificar, alimentação, um ambiente favorável e ainda uma casa que o proteja de situações impostas pela natureza e mais importante o acesso aos serviços de saúde.

Se uma pessoa ganha pouco e não consegue comprar aquilo que é fundamental para sua sobrevivência, ela não consegue recuperar toda energia que está gastando no trabalho, e, portanto, se enfraquece; se alguém mora mal, não consegue que sua casa seja uma proteção contra as agressões do meio ambiente; se não tem acesso a educação, não consegue ter aquele conhecimento que lhe permite controlar a natureza [...]. (Arouca, Antônio Sergio S. 1986 – p. 3).

A partir destes dois breves conceitos, pode-se perceber que estas duas disciplinas estão relacionadas através da avaliação de problemas no quesito saúde e pela busca de qual a melhor forma em solucioná-los, surgindo assim a Economia da Saúde. Segundo Nero (2002), o fato de os profissionais da economia e saúde, analisarem a assistência à saúde sob éticas distintas, onde a economia trabalha com a ética social e a saúde com a ética individualista, faz com que exista conflitos na gestão eficiente dos serviços de ambas disciplinas. Isso mostra a dificuldade que estes profissionais tem em se interessar um pelo serviço do outro, mas a criação da Economia da Saúde é indispensável para aqueles que trabalham na administração dos serviços de saúde, de forma a compreender a complexidade desta área.

Segundo Piola et al (2009), historicamente os serviços de saúde para conservação da saúde no Brasil originam-se em parte por corporações médicas, onde a classe mais alta tinha atendimento médico, e filantropia em que os mais pobres buscavam auxílio através da caridade prestada por entidades religiosas e

benzedoras (ainda existem instituições filantrópicas responsáveis pela prestação de serviços, são as chamadas Santa Casas) e o Estado só intercedia em casos de calamidades. Em 1923 com a criação do sistema de Previdência social o sistema evoluiu, agregando valor social à saúde de forma a mostrar o quanto isto era um problema, posteriormente, mais precisamente em 1960 foram criadas políticas públicas para corrigir algumas distorções adquiridas junto a Previdência Social, do qual ainda excluía parte dos cidadãos.

A Constituição Federal de 1988, é a que mais se dedica a saúde, e o art. 196 deixa claro que a saúde deve ser promovida igualmente para todos cidadãos gratuitamente, e para que isso pudesse ser de fato estabelecido, ela cria o Sistema Único de Saúde (SUS), este sistema é baseado na solidariedade e trabalha conforme a necessidade da população, promovendo integral atenção àqueles que o utilizam, refletindo o bem estar populacional, e este sistema não pode negar acesso aos serviços de saúde para nenhum indivíduo, conforme previsto na lei. E para casos em que o SUS não tem a capacidade de atender, a busca de um tratamento se dá via Poder Judiciário.

A "integralidade" da assistência está prevista no art. 198 da Constituição (atendimento integral) e de forma mais explícita no artigo 7º, da Lei nº 8.080/1990 como "o conjunto articulado e contínuo das ações e serviços preventivos e curativos, individuais e coletivos, exigidos para cada caso em todos os níveis de complexidade do sistema" (Piola, Sérgio F. et al 2009 – p. 24)

A Lei nº. 8.080 de 19 de setembro de 1990 dispõe sobre as condições para promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. (BRASIL, 1988). O SUS, juntamente com outros setores do governo (educação, transporte, segurança e ambiental), deve desenvolver ações que contribuam para melhores condições de vida e saúde da população.

Andrade et. al (2007), diz que o Sistema Único de Saúde (SUS) surgiu como forma de ampliar o direito a saúde de forma igualitária para todos cidadãos, obedecendo o que diz a Constituição, porém isto fez com que a procura por esse serviço também aumentasse, logo precisava ser mais eficiente, e é dessa maneira que a Economia da Saúde precisou ser desenvolvida como forma de direcionar a melhor distribuição dos recursos, auxiliando na verificação do que é prioridade na gestão.

Silva (2003), aborda em Revista Portuguesa de Saúde Pública, que a Economia da Saúde já vem sendo aplicada nos países desenvolvidos de maneira bem intensa, mas passou a ser inserida no Brasil nos anos 80, justamente pelo fato de existir a necessidade de um maior controle sobre os custos na saúde. De forma a complementar o parágrafo, Andrade et. al (2007) diz que mesmo sendo um estudo que já está bem desenvolvido em outros países como Europa, Canadá, Estados Unidos e Austrália, justamente por ser muito importante na parte de planejamento e gestão de serviços de saúde, no Brasil esta disciplina possui pouco desenvolvimento, foi criada a partir de Associação Brasileira de Economia da Saúde (Abres), mas de maneira científica age desde 1993, por meio de apoio de programas de cooperação entre Reino Unido e Brasil coordenadas pelo Ministério da Saúde.

Conforme Nero (2002, p.6) “a aplicação de instrumentos econômicos a questões tanto estratégicas como operacionais do setor saúde deram origem à Economia da Saúde”. Estudos são realizados a respeito da população de determinada região, como forma de poder confrontar fatores econômicos e sociais com indicadores de saúde, mostrando como uma coisa afeta a outra, como exemplos, quanto menor a renda familiar, maior o índice de mortalidade infantil, ou ainda, como o desenvolvimento de um país afeta o serviço de saúde do mesmo, a economia pode também avaliar financiamentos e gastos nessa área, mas pode trabalhar com análises do tipo custo efetividade, para produção de um medicamento e viabilidade para implantar uma tecnologia, esses são alguns dos exemplos citados pelo autor como forma de mostrar de que maneira a economia pode ser aplicada à saúde.

Segundo Barros (2013) a solução para os problemas na saúde se dá por meio da análise econômica e esta pode contribuir para que sejam criadas ações na área da saúde, e a importância de se ter o conhecimento adequado, para saber onde o recurso aplicado será mais eficiente, pois existem casos que nem sempre a alocação de um bem ou serviço, irá se transformar em maiores benefícios, pois quando existe um orçamento para ser destinado ao controle de uma determinada doença, é necessário que seja feita uma análise, de forma a verificar se esta aplicação irá beneficiar a maior parte da população. Esta análise é útil na compreensão de como funciona o setor da saúde.

Segundo Ferraz (2006), em entrevista a revista gestão estratégica em medicina laboratorial menciona algumas das análises econômicas utilizadas e suas

limitações, que são: custo/efetividade do qual utiliza-se um parâmetro para saber se, o tratamento utilizado para uma doença específica, está melhorando a qualidade de vida do usuário, porém o parâmetro não avalia se o tratamento está causando algum efeito colateral, verifica apenas se a doença está sendo controlada. O custo/utilidade que mensura a qualidade de vida através de instrumentos que possibilitem avaliar o que é mais importante para o paciente, como por exemplo um medicamento utilizado para uma doença específica, pode causar outros desconfortos, mas sua limitação se dá pelo fato de existir outras situações fora da questão hospitalar e que também geram saúde, como por exemplo transporte. E ainda o custo/benefício que tenta atribuir valor ao ganho de saúde, esta ainda está sob análise, visto que é difícil atribuir valor a vida de um cidadão.

Outra maneira que a economia está interligada com a saúde, é que através de suas teorias, é possível esclarecer como o governo auxilia na oferta de bens públicos, aqui denominado saúde, com a promoção de ações públicas, de forma a corrigir as falhas de mercado, bem como as assimetrias de informação, logo é essencial que o governo regule tais situações.

[...] A teoria econômica fundamenta uma importante justificativa para a intervenção governamental na produção desses bens. Em segundo lugar, há bens e serviços oferecidos pelo sistema de atenção médica que geram externalidades positivas, como os programas de vacinação. A teoria econômica indica que a presença de externalidades é uma condição para “falhas de mercado”, uma situação na qual o mercado tende a prover um nível subótimo de bens e serviços. Em terceiro lugar, existem assimetrias de informação nos mercados de bens e serviços de saúde [...] (Andrade, Eli lola G. et. al 2007 – p.214)

Nero (2002), mostra que a intervenção do Estado, que possui uma importância quanto ao progresso na questão saúde como parte da situação social e não apenas por intervir na saúde, essa participação do Estado pode trazer benefícios a saúde, mas também pode apresentar resultados negativos, pois em períodos de crise do Estado, essa relação se manifestam na crise de acesso, de custos e de eficácia na saúde.

### **3 FINANÇAS PÚBLICAS**

Conforme Foschete (2015) Finanças Públicas é um ramo da ciência econômica que trabalha os gastos do setor público, como estes são financiados, e ainda explica, através de teorias e modelos, a evolução do setor, assim como as fontes e origens da receita pública.

#### **3.1 Teoria das finanças públicas**

O fato de o mercado não conseguir desempenhar funções econômicas e sociais por si só, faz com que seja de extrema importância a existência do governo como forma de complementá-lo, principalmente no que diz respeito a forma de regular e disciplinar uma sociedade, pois as empresas operam visando seu lucro e não o bem-estar da população. Existem bens que têm um elevado custo de investimento, logo o mercado não consegue fornecê-los, assim o setor público interfere de forma a regular o mesmo, e corrigir distorções existentes na redistribuição de renda e as possíveis falhas de mercado.

Segundo Giambiagi (2011), a teoria econômica do bem estar diz que não existe a possibilidade de alocar um recurso como forma de promover o aumento de bem estar de um cidadão, sem que isso prejudique a satisfação de outro indivíduo, isto é conhecido na economia como ótimo de Pareto, porém existem falhas de mercado que impedem que se tenha um Pareto eficiente, estas falhas se dão pela existência de bens públicos e semi-públicos, monopólios naturais, externalidades, falha de competição e de informação, mercados incompletos, entre outras.

Conforme Boueri (2015), bens públicos são aqueles em que a utilização por um indivíduo, não pode afetar a utilidade de outro, como exemplo a segurança pública, e os bens semi-públicos são aqueles com grande importância econômica e social, como saúde e educação, que embora sejam fornecidos pelo setor privado, existe ainda a necessidade de complementar, pois nenhum cidadão pode ser privado de assistência, conforme previsto em Constituição.

Giambiagi (2011), diz que os bens públicos têm ainda a característica do princípio de não exclusão, em outras palavras, não se pode impedir que um cidadão usufrua de um bem que é público, e este princípio mostra justamente a ineficiência do mercado na produção adequada de bens para a sociedade, outra questão

importante que o autor relata, é que o fato de não poder restringir acesso ao bem, faz com que muitas pessoas se beneficiem sem arcar com nenhum custo, por esse motivo que a responsabilidade passa a ser do governo, que financia a produção através de impostos.

Assim de forma a compreender como o Governo age e por que de sua importância, é preciso entender sobre alguns pontos importantes da teoria de finanças públicas, pois dentre as funções obrigatórias de um Estado junto a sociedade estão: educação, saúde, justiça, assistencialismo, entre outras. Se o Governo não assume as funções referentes a estes bens públicos e semi-públicos, ninguém irá realizar de forma eficiente, ou seja, a intervenção do Estado serve para maximizar o bem-estar social.

De acordo com Boueri (2015), o governo pode agir de três formas ao intervir no mercado através da política fiscal, que são: distributiva, estabilizador ou alocativa. Com função distributiva ele é responsável por diminuir as desigualdades sociais de uma região, principalmente no que diz respeito a renda, pois se o mercado não consegue fazer uma redistribuição, o governo interfere de forma a fazê-la conforme a necessidade da população. Estabilizador quando ocorre casos de choque econômico (desaceleração ou aquecimento) que afetem o bem-estar da sociedade como um todo, nesse caso ele se utiliza da demanda agregada como forma de controlar ou estimular a economia, e pode ainda se utilizar de métodos que impedem que a demanda agregada seja afetada. E por último, quando o setor privado não é capaz de satisfazer as necessidades da população de forma eficiente, devido as falhas de mercado existentes na distribuição de bens e serviços, o setor público complementa este, de forma a garantir a satisfação da sociedade em relação a alocação desses serviços.

### **3.2 Aspectos do sistema Tributário**

Segundo Giambiagi (2011), para que o governo possa arcar com suas funções descritas acima, ele precisa gerar recursos, e este se dá através da tributação. É necessário que esse tributo obedeça quatro pré-requisitos, onde deve ser cobrado de forma justa, aquele que possui maior renda, deverá pagar impostos maiores, o sistema de tributos não pode interferir na alocação eficiente dos recursos

e por último deve ter uma administração eficiente de forma que os custos de fiscalização sejam mínimos.

O governo pode financiar seus gastos com emissão de moeda, e esta era a mais utilizada na economia brasileira (proibida pela Constituição Federal), empréstimos bancários, dos quais também existem leis que impedem o endividamento bancário, venda de títulos públicos ou via tributação (hoje são os mais utilizados). Porém a tributação é o principal instrumento de financiamento dos gastos do governo, e os títulos servem como complementos da tributação (Foschete).

Conforme Giambiagi (2011), dentre os princípios da tributação estão o da neutralidade que serve como o próprio nome diz, para neutralizar um imposto de forma a não prejudicar a eficiência do sistema, o imposto de renda é um exemplo de tributação neutra. Um imposto corrige falhas de mercado, e o autor exemplifica através dos impostos cobrados no consumo de bebidas alcoólicas que pode reduzir as externalidades negativas decorrentes de um motorista que dirige embriagado. Este imposto é conhecido nas finanças públicas como tributo ótimo no sentido de Pareto.

Outro princípio citado pelo autor é o de simplicidade, esse conceito diz que o imposto deve ser de fácil entendimento para aquele que precisa arcar com o mesmo, e não podem gerar custos administrativos para o governo. Onde ele apresenta a curva de Laffer, esta mostra que uma alíquota nunca será 0 e nem 100%, mesmo porque se chegar neste patamar, a receita também é nula, pois ninguém irá trabalhar deixando seu ganho para o governo, logo os aumentos de alíquotas desestimulam certas atividades e geram perda de receita.

Segundo Biderman (2005), o Brasil tem um sistema tributário progressivo, ainda que seja menor do que o previsto pelo Poder Legislativo, e diz que os agentes econômicos têm uma influência muito forte sobre mercados monopolizados, pois segundo o autor, o produtor pode diminuir a produção e aumentar o preço, pois ao repassar o imposto para o consumidor, ele reduz suas vendas e equilibra isso ao reduzir a sua produção.

### **3.3 Gasto público no Brasil**

Segundo Giambiagi (2011) o gasto do governo afeta diversas áreas, e aquele que administra o setor público, ao selecionar qual atividade necessita de maior atenção, certamente deixará muitos cidadãos não satisfeitos. A dimensão do governo brasileiro pode ser analisada pelas contas nacionais, onde o governo é responsável por 15% do emprego e 20% do PIB vai para os gastos com pessoal e compras de bens e serviços. Outra maneira de quantificar a participação do governo na economia é através da arrecadação dos tributos, que no Brasil é 35% do PIB. A função do governo é arrecadar impostos de uma parte da população, de forma a beneficiar uma outra parte com esses recursos. Entre os gastos mais importantes do governo, estão educação e saúde, que como mencionados anteriormente, são ofertados pelo setor privado, mas há necessidade de complementá-los com o setor público.

Boueri (2015), diz que “a classificação funcional organiza os gastos públicos por área de atuação governamental”. No Brasil essa estrutura se dá por inúmeras funções e subfunções. Desde a Constituição de 1988, os gastos com saúde são executados pelas três esferas do governo, de forma que os estados, os municípios e o Distrito Federal, assumem a responsabilidade de ofertar esse serviço junto a União. A cada ano a União é obrigada a aplicar no mínimo o mesmo valor do ano anterior que foi direcionado para ações e serviço público.

Para os estados e municípios, o montante mínimo de recursos aplicados em saúde deveria corresponder a um percentual da receita de impostos e transferências constitucionais e legais. Esse percentual foi gradualmente ampliado e, desde 2004, corresponde a 12% para os estados e 15% para os municípios [...]. (Boueri, et.al 2015 – p. 33)

O sistema de saúde pública tem sua organização descentralizada, e é financiado com os recursos orçamentários da União, dos estados, do Distrito Federal e municípios. Entre as subfunções da função da saúde, estão: atenção básica, assistência hospitalar, suporte profilático e terapêutico, vigilância sanitária e epidemiológica e por último alimentação e vestuário. É importante ressaltar que os gastos são maiores nos dois primeiros itens. (Boueri et. al, 2015)

## 4 ECONOMIA DA SAÚDE E AS DOENÇAS RARAS

Neste capítulo será apresentado uma definição sobre as doenças raras, também conhecidas como doenças órfãs, que são aquelas que ocorrem com baixíssima frequência, afetando poucas pessoas comparado a população geral, medicamentos órfãos ou excepcionais e ainda de que forma os instrumentos econômicos utilizados na área da saúde podem intervir nas doenças raras.

### 4.1 Definição de Doenças Raras (DR)

Segundo a Organização Mundial da Saúde (OMS), doenças raras são enfermidades que afetam até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, variando de um país para outro, pois cada um se baseia no número de pessoas que são acometidas por uma doença, embora não exista uma definição única quanto a sua prevalência, o que gera a incerteza de estimativa, presume-se que 13 milhões de pessoas sofram de algum tipo de doença rara no Brasil.

Na Europa, uma doença é definida como rara, quando afeta menos de 5 por 10.000 habitantes, tendo uma estimativa de 27 a 36 milhões de pessoas afetadas por estas perturbações. E em Portugal, de acordo com a Federação das Doenças Raras de Portugal - FEDRA, os enfermos variam de 600.000 a 800.000 habitantes. (SOARES, Maria Antonieta, 2015).

Segundo Wiest (*apud* HUGHES; TUNNAGE E YEO, 2005, p. 829), de forma ampla, dependendo da legislação vigente no país, uma doença é considerada rara quando sua prevalência é de 11 a 66 casos a cada 100.000 pessoas. Apesar da raridade, algumas doenças costumam ser mais comum do que outras, fazendo com que haja uma diferença entre doenças raras e doenças ultrarraras, que geralmente são aquelas que atingem menos de 10.000 pessoas em uma população de 300 milhões de indivíduos.

Conforme Silva e Souza (2015), as doenças raras possuem características como sendo cronicamente debilitantes, progressivas, degenerativas, alteram a capacidade mental, física, sensorial e comportamental, necessitam de um tratamento contínuo, afetando diretamente na qualidade de vida dos enfermos e perda de autonomia para as mais diversas atividades, como consequência o portador adquire um elevado grau de dependência. Estas podem se manifestar desde o nascimento até a fase adulta, podendo ser identificada por testes biológicos

e pelo teste do pezinho ao nascer.

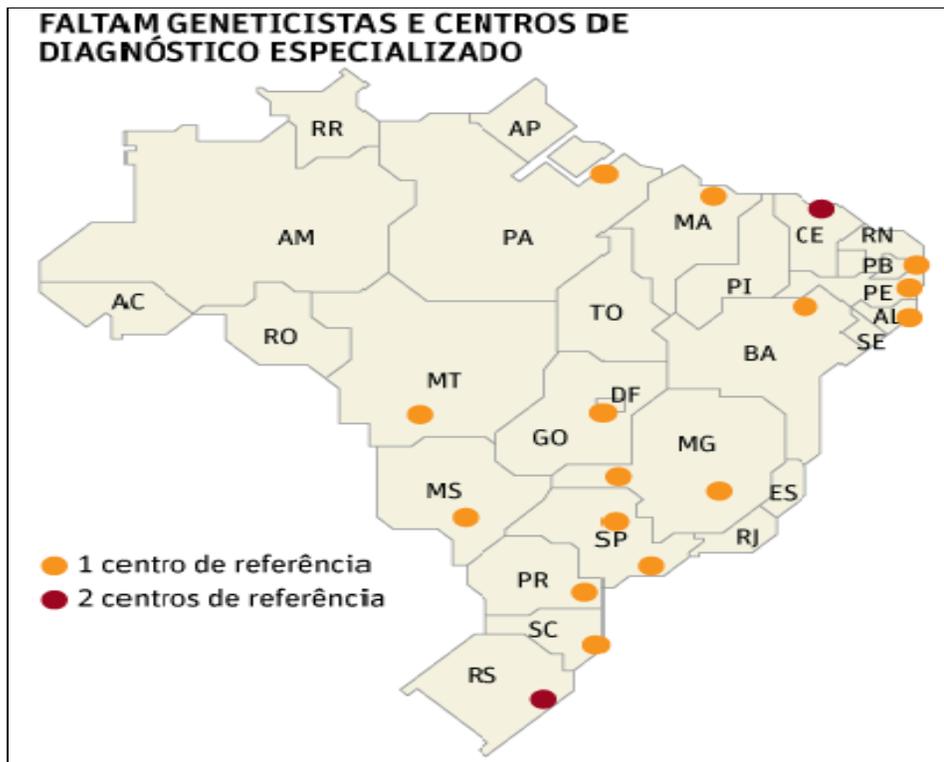
Essa amplitude de sinais e sintomas citados acima, que variam de uma doença para outra, é um entre os diversos problemas que atrasam o diagnóstico, e trazem dificuldades para o portador de uma doença rara no que diz respeito a inserção no mercado de trabalho devido a sua vulnerabilidade e prejudicando o convívio social, enfrentando o preconceito existente, de forma que não só o indivíduo, bem como sua família passem a viver de forma isolada.

Segundo a Organização Europeia para Doenças Raras (Eurordis) embora o número exato de doenças raras ainda seja desconhecido, atualmente são descritas de sete a oito mil doenças na literatura médica, onde 75% afetam crianças, quase metade dos pacientes vêm a falecer antes dos cinco anos de idade (interrompendo os projetos de vida de uma família), 80% delas decorrem de fatores genéticos e os outros 20% estão distribuídos em causas ambientais, infecciosas e imunológicas.

A raridade de condição para os indivíduos com essas patologias traz consequências como um déficit do conhecimento que os profissionais da área têm sobre o assunto, refletindo em problemas de assistência à saúde de qualidade, e dificultando a formação de profissionais especializados nesta área, de forma que o sistema público de saúde forneça uma cobertura inadequada, e provavelmente pouco eficaz, dado um diagnóstico tardio.

Levando em consideração que a maior parte é de origem genética, é necessário que existam especialistas na área para que se obtenha um diagnóstico precoce e correto, de forma a iniciar um tratamento adequado imediatamente (quando possível), bem como proporcionar aos pacientes um acompanhamento com um geneticista durante o tratamento, porém conta-se com um número pequeno de especialistas para a população brasileira em geral. Segundo Gabrielli (2014), essa escassez, assim como a concentração dos centros de referência no Sul e no Sudeste implicam em dificuldades no acesso ao tratamento específico, levando-os a tratamentos que amenizam seus sintomas, mas não impedem a evolução da doença.

Esses geneticistas estão distribuídos nos centros de referência, que são unidades de saúde com qualidade elevada, composto por ambulatório, laboratórios e setor de pesquisa clínica, com atendimento multidisciplinar a pacientes com suspeita de problemas genéticos, por exemplo. Porém conforme mostra a figura 1, estes centros não estão distribuídos de forma a atender todos necessitados.



**Figura 1.** Distribuição dos centros de referência  
**Fonte:** Folha de São Paulo

Segundo a Sociedade Brasileira de Genética Médica, o país conta com cerca de 246 geneticistas. Partindo do princípio em que o Brasil tem em média uma população de 207 milhões de habitantes, segundo IBGE, isto significa que há um especialista em genética para cada 843.668 mil indivíduos.



**Figura 2.** Distribuição de Geneticistas no Brasil

**Fonte:** Sociedade Brasileira de Genética Médica

Segundo Wiest (2010), um diagnóstico precoce, implica em um tratamento correto do qual interfere na evolução da doença, assim proporcionando uma vida normal ao paciente. Porém esses diagnósticos são muito demorados, devido à falta de políticas de saúde, bem como o conhecimento especializado sobre tais doenças. A falta de tratamento eficaz se dá pela escassez de investigação, e ainda a falta de interesse para desenvolvimento de medicamentos órfãos para um número pequeno de doentes, por não ser lucrativo comercialmente.

#### 4.2. Definição de medicamentos órfãos

Conforme a Agencia Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) “medicamento é um produto farmacêutico, tecnicamente obtido ou elaborado, com finalidade profilática, curativa, paliativa ou para fins de diagnóstico”.

Esta definição de medicamento órfão foi usada pela primeira vez em 1968, como forma de representar os medicamentos que não estavam disponíveis no mercado, justamente por não apresentar lucratividade em sua produção, devido todas dificuldades enfrentadas e serem destinadas as doenças raras. (LOPES, 2014)

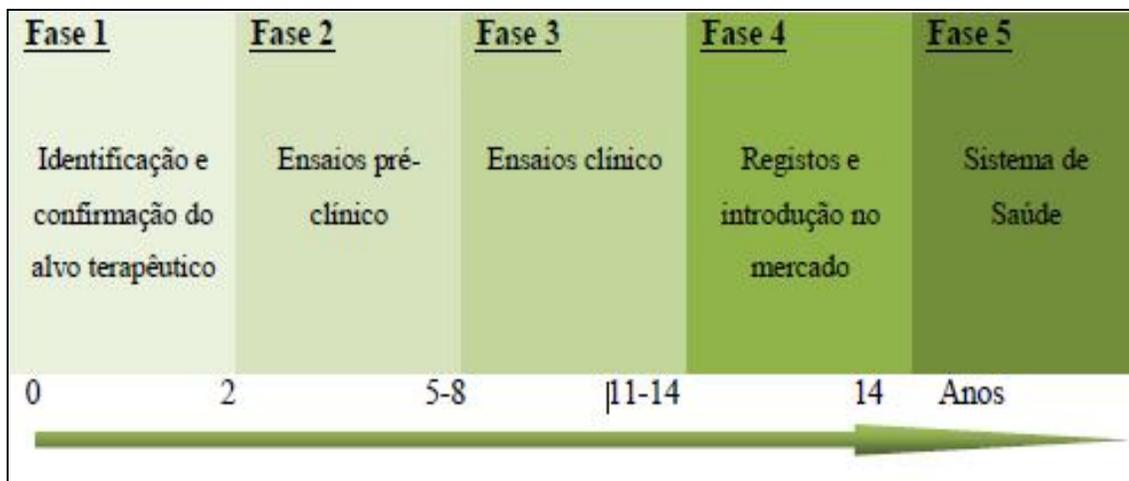
A ANVISA define no Brasil, como sendo medicamentos “usados em doenças raras, cuja dispensação atende a casos específicos”. (BRASIL, 2007). Conceito não muito esclarecido, pode-se dizer que incompleto, pois não traz uma definição de doença rara no país.

Levando em consideração a prevalência da doença na população e a questão econômica de que não há qualquer rentabilidade em medicamentos para tratamento das doenças em questão, é possível analisar que não existe estímulos para as empresas farmacêuticas investirem em pesquisa e desenvolvimento (P&D), visto que não é possível obter lucros devido à baixa incidência das doenças órfãs, ocasionando desvantagem para os enfermos. Essas informações mostram a necessidade de políticas públicas com foco no atendimento aos portadores de doenças raras. (HAFFNER, 2006 *apud* LOPES, 2014)

Segundo a Associação EURORDIS (2014), medicamentos órfãos são aqueles destinados a prevenção ou tratamento de doenças potencialmente fatais, muito graves ou perturbações raras. Sem incentivos, a indústria farmacêutica tem muito pouco interesse em desenvolver e comercializar esses medicamentos, pois estes possuem um alto custo de todo processo, desde as pesquisas até a introdução no mercado, que não é recuperado com as vendas previstas, podendo implicar em perdas financeiras. Mas na Europa, já existem alguns incentivos econômicos que estimulem os laboratórios a desenvolver e comercializarem tais medicamentos destinados para as doenças raras.

Para a União Europeia, a definição de droga órfã se dá quando for para diagnóstico, prevenção e tratamento para doenças crônicas e que necessitam de acompanhamento contínuo e não possui incentivos para tal. Cada país adere a uma definição destas drogas, assim como para doenças raras, pelo critério de prevalência através de legislações estabelecidas por cada um.

A figura 3 mostra as fases que compõem a produção de um medicamento. Para que um fármaco seja produzido e posteriormente inserido no mercado, é necessário ter três informações essenciais já resolvidas: a utilização, a necessidade terapêutica e na visão econômica, ser lucrativo. “O desenvolvimento de um medicamento é complexo e envolve um elevado esforço de capital, pois este demora em média 14 anos a ser colocado no mercado, caso tenha sucesso em todas as fases de desenvolvimento.” (SOARES, 2015, p.4)



**Figura 3.** Processo de desenvolvimento de um medicamento.

**Fonte:** Soares (*apud* EKDOM, 2006, P. 20)

A fase 1 leva cerca de 2 anos e corresponde ao período no qual identifica-se o produto ou doença “alvo” para conduzir as pesquisas de ordem básica. Na fase 2 ocorre a delimitação do estudo e o início dos ensaios pré-clínicos, nos quais os princípios ativos são testados em animais para verificar sua eficácia e segurança. Esta fase leva entre 3 a 6 anos para ser desenvolvida. A fase 3 leva de 3 a 7 anos e corresponde ao período no qual ocorrem os ensaios clínicos, ou seja, os produtos passam a ser testados em seres humanos. Já na fase 4, que decorre em aproximadamente 2 a 4 anos, são verificados os ensaios realizados na fase anterior. Caso o resultado tenha sido positivo, a indústria farmacêutica busca o registro e a autorização para a comercialização junto as autoridades de saúde. Por fim, a fase 5 trata da introdução deste medicamento no mercado de fato. Destaca-se que todo o processo leva em torno de 14 anos, o que evidencia a sua complexidade e a necessidade de um elevado dispêndio de capital humano e monetário para sua conclusão. Wiest (*apud* EKDOM, 2006, P.20).

Wiest (*apud* Stolk; Willemen e Leufkens, 2006, p.746) destacaram o aspecto de que, quando o tratamento existe, há outros obstáculos que dificultam o acesso aos medicamentos. A falta de conhecimento sobre os medicamentos disponíveis e a carência de treinamento adequado para os profissionais da saúde faz com que muitas informações disponíveis não sejam conhecidas, dessa forma, a falta de qualificação dos profissionais não permite o desenvolvimento de um sistema de diagnóstico preciso, uma vez que em alguns casos não existem nem mesmo protocolos definidos, conseqüentemente causando problemas significativos quanto à validade dos testes e o acesso às tecnologias disponíveis.

Como resultado prático, o período entre o aparecimento dos primeiros sintomas e a identificação da doença é muito grande, o que acaba por aumentar os riscos ao paciente e reduzir a possibilidade de cura ou até mesmo de controle da doença. A partir disto, tem-se a dificuldade para desenvolver ferramentas,

estratégias terapêuticas e, conseqüentemente, produtos para tratamento. Segundo Soares (2015) na maioria dos casos, o Estado tem que financiar os tratamentos, gerando custos consideráveis para o Ministério da Saúde.

Uma intervenção do governo no mercado das drogas órfãs para doenças raras, seria para atribuir correções nas falhas existentes neste mercado, que são: falta de conhecimento, má gestão pública e custos altos para produção. O custo nada mais é do que o total de insumos utilizados na produção de um medicamento, estes podem ser classificados como diretos, indiretos e intangíveis (psicológicos, onde não é possível atribuir valor monetário). Quando se usa o insumo na produção de um bem, deixa-se de alocá-lo em outro, caracterizando assim um custo de oportunidade.

Wiest (*apud* Drummond, 2008, p. 16-17) fez referência aos desafios da avaliação econômica para as drogas órfãs. Segundo o autor, o aumento dos gastos com saúde acaba gerando uma pressão orçamentária que faz com que cresça o interesse das autoridades públicas de saúde em utilizar métodos econômicos para subsidiar a tomada de decisão, principalmente quanto às questões de reembolso dos gastos com medicamentos. Dessa forma, análises do tipo custo-efetividade têm sido utilizadas como critério para o direcionamento das políticas de saúde. Defende ainda que é necessário avaliar, além da taxa de custo efetividade incremental, o custo social da tecnologia a ser implementada.

O elevado custo para desenvolvimento destes medicamentos, que se agravam pela dificuldade de realizar ensaios clínicos em uma população imensamente reduzida de indivíduos acometidos a doenças raras, demonstram um problema de saúde pública. (CIPRIANI et al., 2014). Baseado nisso o Estado poderia criar incentivos econômicos, como regulação pró-mercado, visando estimular as empresas desenvolverem produtos antes não produzidos, dado a falta de viabilidade econômica.

### **4.3. Doenças Raras e medicamentos órfãos no Mundo**

Esta seção irá abordar como a questão das doenças raras é tratada em outros países, bem como as políticas implantadas para desenvolvimento de pesquisas e comercialização de drogas órfãs. Quais incentivos utilizados como forma de estimular empresas farmacêuticas a produzirem medicamentos para tratamento de doenças com baixa prevalência na população. Essas experiências

internacionais, contribuem para elaboração das políticas públicas no Brasil. Muitos países emergentes estão se esforçando continuamente para ampliar o acesso aos tratamentos órfãos.

Entre os anos de 1950 e 1980, existia um grupo de defesa nos Estados Unidos que atuava de forma a expor os problemas relacionados ao financiamento e desenvolvimento de tecnologias que atendessem as necessidades dos portadores de doenças raras, buscando a colaboração de diversas entidades, com o intuito de conseguir recursos de forma a possibilitar o desenvolvimento de pesquisas, ensaios clínicos, e testes com medicamentos para tratar as doenças raras. Surgiu assim em janeiro 1983, a instituição *Orphan Drug Act* (ODA), esta foi a primeira lei criada com o objetivo de regular o desenvolvimento e o mercado das drogas usadas para doenças de baixa prevalência. Essa legislação, passou a classificar como rara, uma doença que atingisse 7,5 indivíduos a cada 10.000 habitantes (LESLIE, 2006 *apud* WIEST, 2010).

A ODA implantou diferentes incentivos para que a indústria farmacêutica fosse estimulada a desenvolver pesquisas e produzir drogas que promovessem o tratamento de tais doenças, como forma de eliminar a limitação que existia pela carência de tecnologia e baixo número de voluntários para testes clínicos, do contrário não seria possível, visto que essas indústrias atuam como qualquer empresa privada, sendo conduzida a obter um retorno financeiro de seus investimentos. Conforme a Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa – Interfarma, entre estes incentivos estão subsídios, exclusividade de comercialização, isenção de taxas, e flexibilização de critérios para aprovação de medicamentos.

Influenciados pelas iniciativas tomadas pelos Estados Unidos, outros países também vieram a desenvolver legislações. Em 2000, a União Europeia fundou o EC Regulation on Orphan Medical Products, com a finalidade semelhante à dos Estados Unidos, porém nesta a indústria precisa necessariamente comprovar que o medicamento é destinado para diagnóstico, prevenção ou tratamento de uma doença rara, e caso já exista a droga para este fim, têm que demonstrar que o novo medicamento é mais eficaz (HEEMSTRA et al., 2008 *apud* WIEST, 2010).

Segundo relato da Interfarma (2013) União Europeia é o país mais avançado em relação a assistência, pois trabalham com clinicas multidisciplinares, ou seja, uma equipe de profissionais da saúde de diversas especialidades, que trabalham juntos de forma a alcançar um mesmo objetivo. Quanto o acesso dos pacientes a

medicamentos órfãos, cada país adota um modelo diferente de política, mas com a intenção de reduzir o excesso de burocracia em relação aos pré-requisitos (revisão de documentação, redução de exigências para estudos clínicos) para a comercialização de uma droga, a maioria de utiliza de avaliações de custo-efetividade, porém com algumas modificações.

A Itália estabeleceu em 2001 uma rede nacional que conta com centros espalhados em todas as regiões do país, e tem sua assistência de forma gratuita no sistema público. Em 2005 a França aprovou um plano nacional, estruturando centro de referência dentro de hospitais universitários, como forma de garantir diagnóstico e acesso a medicamentos órfãos, e em quatro anos o país criou 131 centros, Noruega, Dinamarca e Suécia utilizam praticamente os mesmos métodos que a França, com o objetivo de otimizar o tratamento e reduzir gastos.

Conforme um relatório da EURORDIS de 2009, o custo em média para realizar um tratamento de uma doença rara em um centro de referência, equivale a apenas 33% do que seria o custo fora destas instituições.

A Alemanha tem vinculado ao Ministério da Saúde uma Liga Nacional de Ação para portadores de doenças raras, e dispõe de 16 centros de pesquisa para essas anomalias, quanto aos medicamentos órfãos, o país é mais flexível em relação ao método de análise. A autoridade sanitária da Austrália e Canadá não adotam a análise custo-efetividade e utilizam os critérios de avaliação do Food and Drug Administration (FDA) junto a um de eficácia clínica.

Segundo Wiest (2010), existem cinco tipos de incentivos econômicos que são promovidos pela ODA e pela regulação da União Europeia como forma de estimular as empresas à produção de medicamentos de alto custo, que são:

**(a) procedimento centralizado de análise:** cria um acesso direto à agência de regulação permitindo maior agilidade para aprovação de drogas órfãs para comercialização;

**(b) assistência à protocolos:** para que um medicamento seja autorizado, é preciso que seja comprovada sua qualidade, segurança e eficácia, porém isso se dá através de testes que levam de 02 a 04 anos para conclusão. Com este incentivo é possível solicitar as agências reguladoras um auxílio aos procedimentos padronizados, reduzindo o máximo o tempo;

**(c) acesso a fundos para financiamento de pesquisa:** Transferências de recursos podem ser financiadas por empresas privadas, não governamentais ou conjunta de vários países, gerando recursos para financiamento das drogas;

**(d) isenção tributária e redução de taxas:** este incentivo varia de um país para outro, mas as reduções de taxas das agências reguladoras são implementadas para todos procedimentos, exceto os de âmbito nacional;

**(e) exclusividade de mercado:** este incentivo é o mais importante, pois é concedido exclusividade de mercado por um tempo que pode variar entre 05 a 12 anos, e neste período nenhum medicamento similar para mesma doença pode ser produzido, somente se a indústria farmacêutica não for capaz de fornecer a quantidade necessária.

Uma intervenção do governo é importante quanto a determinação de preços, para limitar reembolsos públicos e tornar os medicamentos custo-efetivos. Alguns países comparam preços das drogas com outros, para assim determinar um valor fixo. Na Inglaterra e Suécia a precificação é livre, atraindo indústrias farmacêuticas. Como mencionado anteriormente, a maioria dos países utiliza o critério custo-efetividade, mas são medicamentos destinados a enfermidades raras e não existe um tratamento alternativo, logo é mais viável uma análise do impacto orçamentário (DENIS et al., 2010 *apud* WIEST, 2010).

#### **4.4. O caso no Brasil**

Esta seção irá abordar como o Brasil trata a questão das doenças raras e dos medicamentos utilizados para tratamento das mesmas, quais políticas existentes destinadas a este grupo. Não existem muitos trabalhos de pesquisa disponibilizados na literatura sobre o assunto, tampouco uma política específica para o país em questão

O artigo 196 da Constituição Federal de 1988 diz que: “A saúde é um direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem a redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação”. (BRASIL, 1988).

Porém, cidadãos portadores de doenças raras não têm acesso à saúde de forma igualitária, como diz a Constituição. A atuação do governo quanto à saúde deveria ser a promoção à saúde, bem como o tratamento e a reabilitação de

doenças e agravos, mas no caso das patologias raras nem sempre acontece dessa maneira.

Em 30 de janeiro de 2014, o ministério da saúde estabeleceu a Portaria 199, que criou a política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio, considerando, entre outras, as leis nº 8.080 de 19 de setembro de 1990, que “dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências” e a nº 7508 de 28 de junho de 2011, que regulamenta a anterior, para dispor sobre o SUS, o planejamento e a assistência à saúde, bem como a articulação interfederativa. (BRASIL, 2014)

Segundo o Ministério da Saúde, a Portaria 199/2014 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” e consta no art. 8º que a responsabilidade de garantir que os serviços de saúde tenham uma infraestrutura adequada, recursos humanos qualificados, suficiência de matérias, equipamentos e insumos para que se tenha um cuidado necessário.

Embora não haja uma definição muito clara sobre as doenças raras, o Ministério da Saúde já desenvolveu Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), para em média 26 doenças raras. Este protocolo tem finalidade criar mecanismos para garantir a prescrição segura e eficaz e de estabelecer os critérios para diagnosticar corretamente as doenças, pois os medicamentos devem ser disponibilizados para os pacientes que se enquadram nos critérios estabelecidos no PCDT, ressaltando que existem pouquíssimas doenças protocoladas.

Os fatores que distinguem a atividade da saúde das demais foram descritos segundo Lakhani (*apud* Arrow, 1963) como sendo a participação extensiva do governo nos sistemas de saúde, a presença de incerteza significativa acerca da ocorrência e recuperação de doença, assimetria de conhecimento entre profissional da saúde e o doente, o papel das instituições sem fins lucrativos e a presença do princípio social de que ninguém deve ser privado da saúde.

Atualmente tais casos são tratados como um problema relacionado à gestão do orçamento e não como um problema de saúde pública. Contudo, alguns tipos de doenças raras são contemplados pela Componente de Medicamentos de Dispensação Excepcional (CMDE). Este mecanismo tem por objetivo fornecer medicamentos de alto valor unitário para a população, sendo estas doenças prevalentes ou não. Este processo dificulta o acesso a medicamentos órfãos, desencadeando um processo de judicialização da saúde. (WIEST, 2010)

## 5 DOENÇAS RARAS: O SUS E A JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

Este capítulo mostra como se deu o surgimento do Sistema Único de Saúde (SUS), esclarecendo seus princípios e demonstrando como ele vem agindo em relação às doenças raras, e ainda irá abordar a questão de judicialização para aquisição de medicamentos órfãos, por que em muitos casos se faz necessário recorrer ao órgão tributário, quais as análises realizadas para liberação ou não de medicamentos.

Até o ano de 1988 o sistema público de saúde atendia àqueles que contribuía com a Previdência Social, predominava o conceito de seguro, ou seja, o Estado atendia quem tivesse vínculo com o processo econômico, logo para os pobres restava recorrer à caridade através de associações filantrópicas. Era centralizado e a assistência era apenas médico hospitalar, cobrindo apenas 30 milhões de pessoas em média. Após a publicação da Constituição Federal de 1988, o sistema passou a ser de conceituado como seguridade social, abrangendo assim toda a população, tornando-o municipalizado e participativo. (BRASIL, 2013)

O direito à saúde estabelecido nos termos do art. 196 da CF/88, diz que o Estado deve promover não apenas proteção e recuperação da saúde, mas adotar políticas econômicas e sociais para melhoria das condições de vida dos cidadãos, de forma a prevenir que a doença ocorra. No art. 198 estabelece que o sistema deve ser único, considerando os princípios de descentralização com a participação dos estados e municípios em sua gestão.

A Lei Orgânica de Saúde nº 8.080/1990, é uma das ações da Constituição Federal de 1988, e instituiu o Sistema Único de Saúde (SUS). A lei estabelece que a garantia de saúde deve se dar por ações que gerem promoção, proteção e recuperação de qualquer cidadão de forma totalmente gratuita, e compete também como responsabilidade do SUS ações de vigilância sanitária e epidemiológica, de saúde integral e de assistência terapêutica, bem como farmacêutica. (BRASIL, 1990)

Dessa forma todo indivíduo tem direito a consultas, exames, internações e tratamento em sistemas de saúde públicos ou privados, se contratadas pelo gestor público. Este sistema é financiado com recursos que são arrecadados através de impostos e contribuições sociais que compõem os recursos do governo federal, estadual e municipal.

Os princípios do SUS são universalidade, equidade e integralidade, pois antes somente trabalhadores segurados do Instituto Nacional de Previdência Social – INPS – tinham direito a saúde no Brasil. A universalidade garante acesso aos serviços de saúde a todas as pessoas; a equidade visa a redução de desigualdades, e para isso é importante que os serviços de saúde estejam atentos ao que a população necessita de fato, e a integralidade diz que é preciso promover saúde, prevenir doenças, disponibilizar tratamentos, como consequência disso o cidadão possui uma maior qualidade de vida, buscando solucionar os problemas de forma integral (RIBEIRO, 2015).

A descentralização é necessária para o funcionamento do sistema, visto que a União compartilha as competências com os estados e municípios. Essa divisão é necessária para que se diminua a complexidade de atendimento. O marco que regula essa descentralização é a Lei nº 8.142/1990 que estabelece a participação popular e a transferência de recursos intergovernamentais. O sistema deve ser financiado por todas as esferas de governo. Antes o financiamento se dava por 30% do dinheiro arrecadado pela previdência à seguridade social.

A Lei estabelece ainda nos artigos 6º e 13º que outro objetivo do SUS é a assistência farmacêutica,

[...] o poder público define em seus programas os medicamentos para tratamento de doenças, com em critérios aceitos cientificamente, pois esses medicamentos serão utilizados por milhões de brasileiros; dessa maneira, é primordial ofertar à população medicamentos seguros, eficazes, eficientes e custo-efetivos. (Chieffi e Barata, 2010 – p.423 apud Ribeiro, 2015)

Mesmo com todas as leis e a instituição de uma política pública de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (Portaria 199/2014), com o objetivo da redução da mortalidade, da morbimortalidade e a melhoria da qualidade de vida dos portadores de doenças raras, ao incluir o tratamento de pessoas com doenças raras aos princípios do SUS, garantindo-lhes o acesso a diagnóstico e a tratamentos adequados, o que é considerado um avanço, o acesso a medicamentos essenciais no tratamento ainda deixa a desejar, pois embora o Ministério da Saúde tenha protocolo clínico para 26 doenças raras, como mencionado no capítulo anterior, não existe a disponibilidade de medicamentos órfãos para as doenças protocoladas, o que significa que as doenças estão sendo tratadas com medicamentos que amenizam sintomas, mas não diminuem a evolução da patologia (INTERFARMA, 2013).

Segundo a Interfarma (2013), existem drogas órfãs que têm registro junto a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) para determinadas doenças raras, porém nenhuma destas consta nos protocolos clínicos. Logo cria-se uma barreira, visto que não é possível o acesso via SUS. A oferta de um medicamento pelo sistema de saúde só pode ser efetuada após uma avaliação técnica e econômica de viabilidade, ou seja, por custo-efetividade, para levar em conta se o tratamento é eficaz e qual o impacto nos custos, em relação a outros medicamentos, porém essa avaliação feita pelo governo faz com que alguns pacientes não obtenham o tratamento.

Esse é um dos obstáculos enfrentados por quem sofre de alguma patologia rara, pois é muito difícil a realização de testes clínicos que visam mostrar a eficácia da droga, dado um número muito reduzido de pacientes. Assim esses medicamentos acabam sempre tendo um custo proibitivo que não possuem outro com a mesma função para comparar o custo efetividade da mesma. Desta forma, muitos pacientes acabam recorrendo a disputas judiciais para garanti-los levando a um impacto relativamente grande para o orçamento do governo. (INTERFARMA, 2013)

Partindo do que diz a Constituição, que saúde é um direito de todo cidadão e dever do Estado, percebe-se que existem muitas falhas que mostram a ineficiência do sistema, como falta de investimentos, e a não prestação de assistência farmacêutica em casos de medicamentos de alto custo. Em alguns casos o medicamento existe, mas não consta na lista do SUS e desta forma não pode ser disponibilizado, assim pacientes que necessitam de tratamentos de alto custo, solicitam via judicial.

Em 1998 foi formulada uma Política Nacional de Medicamentos (PNM), com objetivo de garantir acesso aos medicamentos essenciais para a população, tendo como prioridades reorientar a assistência farmacêutica e a adoção da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename), reafirmadas pela política nacional de assistência farmacêutica (PNAF). “A Rename é instrumento orientador das ações de planejamento, seleção de medicamento e de organização da assistência farmacêutica no SUS em todos níveis de atenção” (CASTRO et al., 2011, p.139), e tem sido implantado no Brasil para escolha de medicamentos de até segunda linha para tratar doenças raras.

A organização da assistência farmacêutica cabe às Secretarias Estaduais de Saúde, que são responsáveis pela coordenação da aquisição de medicamentos e pela distribuição entre os municípios de acordo com a demanda específica de cada um. Vale ressaltar que o financiamento da assistência farmacêutica compete às três esferas de governo, sendo o componente do SUS um daqueles com maior impacto orçamentário na gestão. No caso de medicamentos excepcionais, estes tem suas especificidades estabelecidas nos PCDTs, que são documentos centrais para a Assistência Farmacêutica no SUS, sendo seu uso essencial para a regulação da oferta de medicamentos, garantindo a efetividade e seguranças dos tratamentos oferecidos pelo mesmo, e são utilizados como forma de direcionar melhor a execução dos serviços e ajudando no planejamento de ações da saúde (RIBEIRO, 2015).

Em abril de 2011, foi publicada a Lei 12.401, que altera a lei nº 8.080, para “dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS”. (BRASIL, 2011). A partir desta lei, foi criada a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), com o objetivo de assegurar a transparência e a possibilidade de participação da sociedade civil nesses processos, bem como define prazos para análise e decisão dos processos de incorporação de novas tecnologias ao SUS (AITH et al. 2014, p.16 apud RIBEIRO, 2015).

[...] importância do impacto da CONITEC na judicialização da saúde, em julho de 2015 a comissão recomendou a exclusão do medicamento Avonex® para o tratamento de esclerose múltipla, uma doença autoimune que afeta o sistema nervoso central, que podem ter consequências como a interrupção da fala e a perda da capacidade de andar. O relatório lançado pela CONITEC à sociedade sobre a proposta coloca que a doença não possui cura, porém os tratamentos existentes para a doença podem oferecer aos portadores uma vida confortável, impedindo a progressão da doença e evitar crises. (Ribeiro, Bruna, 2015 – p. 29)

O fato de existir uma lei onde estabelece que o Estado deve atender as necessidades da população de forma igualitária, universal e integral, possibilitou a busca pelos direitos individuais ou coletivos, de assistência à saúde em caso de omissão ou ineficiência do Estado. Os gastos com saúde no Brasil têm crescido muito, mas o impacto maior é a aquisição de medicamentos, pois existe uma insuficiência na gratuidade destes. Castro et al. (2011), menciona que os recursos para saúde são escassos, mesmo em países com pouca desigualdade,

impossibilitando a satisfação total das necessidades individuais e coletivas. Essa escassez pode se dar de forma natural, onde não há possibilidade de aumentar a oferta de um bem, ou ainda artificial, quando existe falta de interesse de órgãos competentes para tornar o bem acessível.

Em audiência pública, as discussões sobre saúde indicaram um critério principal, que é preciso avaliar os casos em razão da especificidade que cada um traz considerando a normativa jurídica, se não houver essa avaliação o Sistema de Saúde (SUS) é comprometido e acaba prejudicando outra parcela mais necessitada da população. Para o ministro Gilmar Mendes a atuação do Poder Judiciário é fundamental.

“[...] não cabe ao cidadão esperar o impossível do Estado, mas este também não pode negar o mínimo existencial para aquele. “Assim ao menos o ‘mínimo existencial’ de cada um dos direitos – existência lógica do princípio da dignidade da pessoa humana- não poderia deixar de ser objeto de apreciação judicial’ (VALLE, Gustavo; CAMARGO, João. 2011 - p. 22)

Se a prestação do serviço de saúde for solicitada, mas não estiver nas políticas do SUS, é necessário primeiramente analisar o por que não ocorre a prestação, se por omissão, decisão administrativa ou vedação legal de sua dispensação. O não fornecimento de medicamentos pode ser por duas hipóteses, uma em que sistema fornece tratamento alternativo, porém não adequado ao paciente, ou realmente não possui o tratamento adequado. Mas se o Sistema fornece um tratamento equivalente, o enfermo não pode solicitar outro tratamento com custo superior, a não ser que seja comprovado que o organismo do paciente reage de forma ineficaz ao medicamento. Existem muitos casos judiciais em que o medicamento é oferecido pelo SUS, porém a falta de conhecimento faz com que o indivíduo busque os tribunais para adquiri-lo, causando assim impactos no orçamento público da saúde. (VALLE e CAMARGO, 2011)

Segundo Valle e Camargo (2011), ainda como reflexo de audiência pública, o Conselho Nacional de Justiça recomendou aos magistrados uma série de medidas, que asseguram a eficiência nas soluções, como: instruir as ações com relatórios médicos, prescrição de medicamento com a denominação, descrição de qual doença se trata com o CID, e a posologia exata; não devem autorizar medicamentos que ainda não estejam registrados junto a ANVISA, salvo exceções; verificar se o paciente não faz parte de programas de pesquisa experimental de laboratórios, pois todo indivíduo que participa de testes, deve ter seu direito a medicamento através do

próprio laboratório; e determinar no momento da concessão, a inscrição do paciente nos programas.

A judicialização não é o mais adequado, mas infelizmente tem sido o único método de se conseguir tratamento, seria mais viável que a saúde pública se tornasse menos burocrática e buscasse por mudanças que solucionassem os problemas enfrentados para aquisição de medicamentos órfãos, porém a busca através da justiça está se tornando regra, e isso implica para os cofres públicos um valor anual bem considerável.

Conforme publicação a revista da FAPESP de fevereiro de 2017, mostrou que em 05 anos o número de processos para aquisição de medicamentos que ainda não estão disponíveis no SUS aumentaram em mais de 90%. Ações judiciais comprometem parte do orçamento que poderia ser revertido em casos mais específicos de pacientes, que englobam um número maior de pessoas a serem tratadas, devido ao custo ser mais baixo, mas por outro lado é a única forma de salvar a vida de um portador de doença rara, dado os medicamentos terem um valor extremamente caro. Em 2010 foi criado pela Coordenação das Demandas e Estratégias do SUS (Codes) um programa de computador que gerencia os processos judiciais, nesse caso movidos em São Paulo, e este detectou que mais da metade dos casos eram prescrições advindas de médicos do sistema privado de saúde, que desconhecem a lista de fármacos disponíveis na rede pública, mas ainda assim 66% do total desses medicamentos não constavam na lista do SUS.

Ainda segundo a FAPESP, de 2010 a 2016 o Ministério da Saúde arcou com R\$ 4,5 bilhões a partir de determinações judiciais, para aquisição de medicamentos, equipamentos e cobertura de cirurgias e internações. E incluindo os gastos municipais e estaduais o governo federal calcula que em 2016 o total tenha alcançado o valor de R\$ 7 bilhões. Dos dez medicamentos mais caros obtidos por determinação da justiça em 2016, seis deles não possuem registro junto a ANVISA, e seus valores variam de R\$ 240 mil a R\$ 1,4 milhão ao ano por paciente.

Quadro 1. Gastos do Governo Federal com a compra de medicamentos por determinação da justiça

|      |                   |
|------|-------------------|
| 2010 | R\$ 122,6 milhões |
| 2011 | R\$ 230,5 milhões |
| 2012 | R\$ 367,8 milhões |
| 2013 | R\$ 549,1 milhões |

|      |                   |
|------|-------------------|
| 2014 | R\$ 839,7 milhões |
| 2015 | R\$ 1,1 bilhão    |
| 2016 | R\$ 1,6 bilhão    |

Fonte: Ministério da Saúde *apud* FAPESP, 2017.

Segundo reportagem de Marcelle de Souza para o site da UOL em abril de 2017, a despesa total com remédios via despesa judicial em 2016 chegou a R\$ 1,2 bilhão, mas quando um paciente é diagnosticado com uma doença rara e depende de um tratamento com um medicamento que não consta registro na ANVISA, o único meio é a judicialização. Os gastos individuais gerados pela judicialização interferem nos possíveis gastos destinados à coletividade. Essa concepção, por si só, fere o princípio da equidade proposto pelo Sistema Único de Saúde

## 6 CONSIDERAÇÕES FINAIS

O desenvolvimento do presente estudo possibilitou uma análise de como são tratadas as questões relacionadas as doenças raras no Brasil e em alguns países mais desenvolvidos. A baixa prevalência da doença desencadeia diversos problemas, como a dificuldade de se obter informações mais precisas destas.

A importância de uma avaliação econômica se dá pela pressão orçamentária nos gastos com saúde, pois para impedir o desenvolvimento da doença, é necessário tratamento com medicamentos de alto custo. Um método utilizado para direcionar gastos com políticas de saúde é a análise custo efetividade.

As drogas raras não causam interesse na indústria farmacêutica para sua produção, visto que não há retorno com comercialização da mesma, dado o pequeno número de pessoas acometidas com doenças, dificultando os testes clínicos que comprovem a eficácia do tratamento, e isso é necessário para registro junto a ANVISA.

Os Estados Unidos, assim como países da União Europeia, vêm investindo muito em políticas para desenvolvimento de pesquisas e produção de medicamentos, implantando diferentes incentivos para estimular as indústrias farmacêuticas, eliminando a limitação de carência à tecnologia, pois essas indústrias visam lucro.

A União Europeia possui uma assistência através de clínicas multidisciplinares com profissionais capacitados a atender pacientes com alguma enfermidade rara, sendo assim o país mais avançado nessa questão.

Dentre os incentivos no exterior estão, a centralização na análise, com agilidade na aprovação de drogas órfãs; assistência a protocolos que diminuem o tempo de testes clínicos; acesso a fundos que financiem a pesquisa; isenção tributária e a exclusividade de mercado para a indústria que produzir o medicamento.

O Brasil apresenta uma carência de políticas públicas em funcionamento, levando os portadores de doenças raras a enfrentarem muitas barreiras na busca incansável por qualidade de vida. O direito à saúde é garantido constitucionalmente, porém para estes pacientes a situação é mais complexa. Mesmo com a criação da portaria 199/2014, os portadores de doenças raras enfrentam dificuldades em tratamento adequado que lhe preserve a vida. Embora existam algumas anomalias

já registradas em protocolo, muitas vezes o medicamento para a mesma não existe, e se existir, não está disponível por falta de registro nos protocolos de saúde do SUS. As dificuldades enfrentadas no Brasil, são o diagnóstico tardio, onde pacientes trocam de médicos de diversas especialidades até identificação da doença, mas enquanto esperam, a doença evolui, e quanto maior a gravidade, maior o custo para tratamento.

Existe no país um déficit de médicos especialistas em genética, implicando assim em diagnósticos muitas vezes incorretos, levando ao enfermo a tratar sintomas de sua doença, sem afetar na evolução desta. A falta de qualificação tem como consequência problemas significativos, não sendo possível validar testes e impedindo o acesso as tecnologias já disponíveis.

Além dessa escassez de profissionais, a maioria está concentrada em centros de referência no sul e sudeste, e diante dessa carência os centros acabam prestando um atendimento médico mais informal, utilizando verba que seria destinada a pesquisa com recursos do SUS.

A demora na concessão de um registro de medicamento junto aos órgãos competentes, bem como a lentidão em fixar um preço e comercializar a droga, é outro problema enfrentado pelo Brasil, pois a dificuldade em adquirir os medicamentos, leva muitos pacientes a recorrerem aos tribunais, causando aos cofres públicos uma despesa consideravelmente grande.

Sem intenção de esgotar o assunto, o Brasil necessita de uma política que venha a organizar a assistência aos portadores de doenças raras, de forma a proporcionar um diagnóstico mais precoce e preciso, encaminhando o mesmo para o atendimento indicado e não os submete a tratamentos paliativos, ou seja, necessita de criação de centros de referência para doenças raras especificamente.

Tendo como base outros países, o Brasil deveria adotar políticas específicas que acelerassem a concessão de medicamentos, pois embora exista uma solicitação de análise prioritária, esta se encontra em processo de revisão. Esse atributo diminuiria o tempo de avaliação de registro junto a ANVISA que é de 02 a 04 anos para 45 dias.

## 7 REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS CITADAS

BOUERI, Rogério; ROCHA, Fabiana; ROPOULOS, Fabiana. **Avaliação da qualidade do gasto público e mensuração da eficiência**. Brasília. 2015, cap. 1.

BRITTO, Antonio. **Doenças Raras**: contribuições para uma política nacional. Edições especiais saúde, São Paulo, vol. V, mar 2013. Disponível em: < [http://www.sbmf.org.br/pdf/biblioteca/14/doencas\\_raras\\_2013.pdf](http://www.sbmf.org.br/pdf/biblioteca/14/doencas_raras_2013.pdf)>

CIPRIANI, Franciele; WIEST, Ramon; BALBINOTTO NETO, Giacómo. **A economia das doenças raras**: incentivos e regulação. *Economic Analysis of Law Review*, Brasília, vol. 5, n 01, p. 69-98, jan-jun 2014. Disponível em: < <http://portalrevistas.ucb.br/index.php/EALR/article/view/5%20EALR%2069/5%20EALR%2069>>. Acesso em 24 abr. 2016.

DALFOVO, Michael Samir; LANA, Rogério Adilson; SILVEIRA, Amélia. Métodos quantitativos e qualitativos: um resgate teórico. **Revista Interdisciplinar Científica Aplicada**, Blumenau, v. 2, n4, p. 01-13, sem II 2008.

FIANI, Ronaldo. **Cooperação e conflito**: instituições e desenvolvimento econômico. Rio de Janeiro: Campus - Elsevier, 2011, caps. 1 e 2.

FOSCHETE, M., Incidência Tributária, in “Economia Básica e Intermediária”, 2ª Edição, Brasília, Gráfica Valci, 2001.

LAKHANI, Ria Ajitkumar. **Economia da saúde**: Conceitos e métodos de avaliação. Universidade do Porto, Porto, POR, 2014. Disponível em: <<https://repositorio-aberto.up.pt/handle/10216/77286>>. Acesso em 27 abr. 2016.

PIOLA, Sergio Francisco; VIANNA, Solon Magalhães. **Economia da Saúde**: Conceito e contribuição para gestão de saúde. Brasília – 2002. 3ªEd.

PÓS-GRADUANDO. **As diferenças entre pesquisa descritiva, exploratória e explicativa**. Disponível em: <<http://posgraduando.com/diferencas-pesquisa-descritiva-exploratoria-explicativa>>. Acesso em 28 mai. 2016.

SAÚDE BRASILEIROS. **A complexa situação das doenças raras no Brasil**. Disponível em: <http://brasileiros.com.br/2016/10/a-complexa-situacao-das-doencas-raras-no-brasil/>. Acesso em 20 mai. 2017.

SILVA, Everton Nunes; SOUSA, Tanara. **Avaliação econômica no âmbito das doenças raras**: isto é possível?. *Cad. Saúde Pública*, Rio de Janeiro, vol. 31, n 3, mar, 2015. Disponível em: < [http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0102-311X2015000300496&script=sci\\_arttext&tlng=pt](http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0102-311X2015000300496&script=sci_arttext&tlng=pt)>

SOARES, Maria Antonieta. **A Realidade dos Medicamentos Órfãos e as Doenças Raras**. 2015. 74f. Pós graduação em Ciências Farmaceuticas- Universidade Fernando Pessoa, Faculdade de Ciências da Saúde

Stefani, S. Economia das doenças raras. *Jornal brasileiro de economia da saúde*, dez 2014. Disponível em: < <http://www.interfarma.org.br/uploads/biblioteca/58-jbes-doencas-raras.pdf>>

VALLE, Gustavo Henrique M.; CAMARGO, João Marcos P. **A audiência pública sobre a judicialização da saúde e seus reflexos na jurisprudência do Supremo Tribunal Federal**. São Paulo, v.11, n.3, p. 13-31, Fev.2011.

VEJA.com. **O Estado deve ou não arcar com o tratamento de doenças raras**. Disponível em:< <http://veja.abril.com.br/blog/letra-de-medico/o-estado-deve-ou-nao-arcas-com-o-tratamento-de-doencas-raras-afinal/>>. Acesso em 20 mai. 2017.

Wiest, R. **Economia das doenças raras: Teoria, evidência e políticas públicas**. 2010. 107f. Bacharel em Ciências Econômicas – Faculdade de Ciências Econômicas da Universidade Federal do rio Grande do Sul, Porto Alegre, 2010.