

DOENÇAS RARAS, MEDICAMENTOS ÓRFÃOS: REFLEXÕES SOBRE  
O *DARK SIDE* DAS ORGANIZAÇÕES DA INDÚSTRIA  
FARMACÊUTICA

Christiane Nery Silva Pirett<sup>1</sup>  
Cintia Rodrigues de O. Medeiros<sup>2</sup>

**Resumo**

Neste artigo teórico, nosso objetivo é ponderar sobre a atuação da indústria farmacêutica e do Estado brasileiro, quanto ao desenvolvimento e à oferta de medicamentos para o tratamento das doenças raras, na perspectiva do *dark side* das organizações. Ao fazermos isso, chamamos atenção para outras práticas corporativas que ocorrem nesse setor e que trazem implicações para a sociedade em geral. Nossa contribuição reside em estimular pesquisas sobre a indústria farmacêutica que se orientem para a compreensão de questões raramente consideradas em pesquisas no campo dos estudos organizacionais, como, por exemplo, o poder e influência desse setor em governos, mercados e instituições.

**Palavras-chave:** Dark side. Indústria farmacêutica. Doenças Raras.

437

RARE DISEASES, ORPHAN DRUGS: REFLECTIONS ON THE DARK  
SIDE OF ORGANIZATIONS OF THE PHARMACEUTICAL  
INDUSTRY

**Abstract**

In this theoretical paper, our aim is to consider the performance of the pharmaceutical industry and the Brazilian State, regarding the development and supply of drugs for the treatment of rare diseases, from the perspective of the dark side of organizations. In doing so, we call attention to other corporate practices that occur in this sector and that have implications for society in general. Our contribution is to stimulate research on the pharmaceutical industry that is oriented towards the understanding of issues rarely considered in research in the field of organizational studies, such as the power and influence of this sector in governments, markets and institutions.

**Keywords:** Dark side. Pharmaceutical industry. Rare diseases.

---

<sup>1</sup> Mestranda em Administração pela Universidade Federal de Uberlândia. Correio eletrônico: [chris.nery@gmail.com](mailto:chris.nery@gmail.com).

<sup>2</sup> Doutora em Administração pela FGV/EAESP. Professora da Universidade Federal de Uberlândia. Correio eletrônico: [cintia@ufu.br](mailto:cintia@ufu.br).

## ENFERMEDADES RARAS, MEDICAMENTOS HUÉRFANOS: REFLEXIONES SOBRE EL *DARK SIDE* DE LAS ORGANIZACIONES DE LA INDUSTRIA FARMACÉUTICA

### Resumen

En este artículo teórico, nuestro objetivo es ponderar sobre la actuación de la industria farmacéutica y del Estado brasileño, en cuanto al desarrollo y la oferta de medicamentos para el tratamiento de las enfermedades raras, en la perspectiva del *dark side* de las organizaciones. Al hacer esto, llamamos la atención sobre otras prácticas corporativas que ocurren en ese sector y que traen implicaciones para la sociedad en general. Nuestra contribución reside en estimular investigaciones sobre la industria farmacéutica que se orienten hacia la comprensión de cuestiones raramente consideradas en investigaciones en el campo de los estudios organizacionales, como por ejemplo el poder e influencia de ese sector en gobiernos, mercados e instituciones.

**Palabras-clave:** Dark side. Industria farmacéutica. Enfermedades raras.

### Introdução

Neste artigo teórico, lançamos nosso olhar para a indústria farmacêutica, abordando o que Linstead, Maréchal e Griffin (2014) chamam de *dark side* das organizações. Para esses autores, as mesmas características de um sistema que produz o lado brilhante<sup>3</sup> (*bright side*) são capazes de gerar o lado sombrio (*dark side*) da organização que, geralmente, não é central para as teorias organizacionais. Nesta discussão, consideramos que, apesar dos benefícios gerados pela indústria farmacêutica, no que diz respeito ao desenvolvimento e produção de medicamentos para a cura de muitas doenças que atingem populações, as companhias do setor, no decurso de suas operações, produzem efeitos prejudiciais, como a morte e outros danos, revelando o seu lado sombrio (*dark side*).

As experiências relacionadas ao *dark side* da indústria farmacêutica são de diversos tipos, incluindo, dentre tantos, experimentos voltados para o aperfeiçoamento de técnicas de guerra, utilização de cobaias para testes, violações éticas, fraudes, corrupção, controle sobre patentes<sup>4</sup>, e,

<sup>3</sup> No sentido daquilo que se pode ver.

<sup>4</sup> Em 2012, o escritório de patentes da Índia quebrou o monopólio da Bayer sobre a produção do medicamento Nexavar usado para tratar câncer de fígado e rim. A reação do presidente do

como focalizado neste artigo, o desenvolvimento de medicamentos para doenças raras.

Nesse contexto, não se pode negar que a busca pelo entendimento e desenvolvimento da saúde global tem sido um esforço comum de vários países. As Organizações Internacionais, como a Organização Mundial da Saúde (OMS), junto às Organizações Não-Governamentais e Governamentais nacionais e internacionais, têm buscado alternativas para melhorar os padrões de saúde para a população mundial (MARAIS et al., 2012). Contudo, os Estados enfrentam diversos desafios, como dilemas éticos e decisões sobre quais políticas e estratégias de saúde devem tomar, principalmente, com relação ao tratamento de pacientes com doenças raras em países em desenvolvimento, como o Brasil.

As doenças raras são um problema de saúde pública que afetam milhões de pessoas no mundo, apesar de possuir baixa prevalência em uma determinada população. As despesas de saúde pública com esses medicamentos causam impacto nos orçamentos globais de saúde; nos cofres públicos, principalmente dos países em desenvolvimento que possuem recursos financeiros limitados; e, sobretudo, na sobrevivência de pacientes acometidos por essas enfermidades. De quase 50.000 medicamentos produzidos, apenas 10% são medicamentos órfãos, com vendas anuais de, aproximadamente, 100 bilhões de dólares (KONTOGHIORGHE et al., 2014). Existe um sério problema ético na disponibilidade de tratamento dessas doenças, no acesso ao medicamento e aos recursos para seu financiamento no Brasil, de modo que, como o Estado não garante o direito à saúde, os cidadãos o buscam, por meio da judicialização (BOY; SCHRAMM, 2009).

O desenvolvimento de novos fármacos tem relação com a demanda do mercado, portanto, não estão disponíveis, atualmente, incentivos para o desenvolvimento de medicamentos órfãos para doenças raras, pois a indústria farmacêutica considera existir poucos pacientes demandando esses remédios se comparados à população mundial. Logo, o desenvolvimento desses medicamentos em países como o Brasil tem um custo de comercialização elevado, devido aos monopólios de medicamentos implementados pelas leis de comércio mundial, que beneficiam as empresas farmacêuticas multinacionais que estão localizadas nos países desenvolvidos (KONTOGHIORGHE et al, 2014).

Este trabalho se justifica em virtude da negligência, mesmo na área da saúde, quanto a discutir sobre as doenças raras e os medicamentos órfãos, sobretudo, relacionando-os à atividade empresarial, poderosa e

---

conselho de administração foi proclamar que: “Não criamos medicamentos para os indianos, mas para os que podem pagar” (El País, 2014).

lucrativa, da indústria farmacêutica voltada para a exploração desses fármacos. Em relação aos estudos organizacionais, pesquisas voltadas para compreender a dinâmica desse setor também são raras, e, se considerarmos o *dark side* da indústria farmacêutica, os medicamentos órfãos e a judicialização da saúde no Brasil, não há uma quantidade relevante de artigos. Por isso, é importante que estudos como este difundam o conhecimento acerca dessas doenças que são pouco discutidas, porém relevantes, e mostrem a atuação do governo, que é diferente em cada país, frente aos abusos da *Big Pharma*<sup>5</sup> no tratamento dessas doenças, devido aos altos custos dos medicamentos e dos processos de pesquisa e desenvolvimento impostos por elas.

Em fevereiro de 2018, mês do dia mundial das doenças raras, instituído pela Organização Europeia de Doenças Raras, em 2008, novas regras são institucionalizadas para agilizar o registro de doenças raras. Segundo a norma RDC 3025/2017, a empresa pode propor a designação de um medicamento para tratar doença rara, sendo a Anvisa responsável pela sua validação. A nova norma prevê ainda alternativas para os casos em que a empresa solicitante do registro não tenha concluído todo o processo de desenvolvimento de um medicamento ainda não produzido para doença rara. Todavia, as exigências de comprovação de qualidade, segurança e eficácia desses medicamentos continuam sendo rígidas (BRASIL, 2018).

O objetivo deste artigo é ponderar sobre a atuação da indústria farmacêutica e do Estado brasileiro, quanto ao desenvolvimento e à oferta de medicamentos para o tratamento das doenças raras, na perspectiva do *dark side* das organizações. Pretende-se, portanto, contribuir para os estudos sobre um tipo de organização raramente considerado em pesquisas no campo.

## DOENÇAS RARAS, MEDICAMENTOS ÓRFÃOS E INDÚSTRIA FARMACÊUTICA

Existem diversas definições para o termo “doenças raras”, porém ainda não há uma conceituação universal sobre ele, mesmo com o aumento dos estudos nessa área (RICHTER et al., 2015). Portanto, a maioria das legislações dos países utiliza o critério de prevalência<sup>6</sup>, cujo

---

<sup>5</sup> *Big Pharma* é o termo que diversos autores dão para as grandes empresas farmacêuticas, especialmente quando querem discutir seus abusos, por exercerem uma influência negativa (CAMBRIDGE DICTIONARY, s/d; MERRIAM-WEBSTER DICTIONARY, s/d), uma vez que buscam enormes lucros sobre a saúde e bem-estar da população, além de corromperem a maneira pela qual a indústria da saúde oferta seus serviços que são vitais para os seres humanos (HAGOPIAN, 2015).

<sup>6</sup> O critério de prevalência mede a proporção de pessoas que apresentam uma determinada doença, em uma dada população e durante um determinado ponto no tempo ou período de tempo (E-PID, s/d).

qual se baseia no número de casos de determinada doença para cada 100 mil habitantes (DENIS et al., 2009):

**Tabela 1.** Definição de doença rara baseado no critério de prevalência

Países	Prevalência em 100 mil habitantes	Origem
Estados Unidos da América	66	<i>Orphan Drug Act 1983</i>
União Europeia	50	<i>Regulation EC nº 141/2000</i>
Japão	40	<i>Orphan Drug Act 1993</i>
Austrália	11	<i>Orphan Drug Program 1997</i>
Suécia	10	<i>Swedish National Board of Health and Welfare</i>
França	50	<i>Regulation EC nº 141/2000</i>
Holanda	50	<i>Regulation EC nº 141/2000</i>
Organização Mundial da Saúde (OMS)	65	Organização Mundial da Saúde (OMS)

Fonte: DENIS (2009, p. 10).

Não há uma definição única (Tabela 1) dos países quanto à prevalência, apesar dos esforços da OMS em instituir um significado comum por seus países membros. Haja vista a falta de interesse da indústria farmacêutica em pesquisar e desenvolver medicamentos para pacientes com uma doença rara, acordos de cooperação internacional entre os países são formas de superar a falta de pesquisas científicas, porém são limitados devido à ausência de uma definição comum sobre o que é uma doença rara, já que em um país tal doença pode ser considerada rara e em outro não. A falta de pesquisa reduz as chances dos indivíduos com doenças raras serem tratados nos estágios iniciais da doença, limita suas possibilidades de convívio social, tornando-os vulneráveis (WIEST et al., 2014).

Quantificar, de maneira exata, a prevalência da doença não é fácil, devido dificuldades em seu diagnóstico, por serem geralmente graves, crônicas, degenerativas e progressivas, e, assim, exigirem tratamento contínuo e apresentarem risco de morte ao portador em certos casos (EURORDIS, 2010). Atualmente, existem mais de sete mil tipos diferentes, com um aumento na lista de, aproximadamente, cinco novas doenças por semana, ou seja, apesar de levar o nome “raras”, são mais comuns do que se pode imaginar, constituindo entre 6 a 10% das doenças do mundo (NORD, 2011).

De fato, as doenças raras são pouco prevalentes, ao considerarmos cada uma individualmente, contudo, em conjunto são frequentes e devem ser tratadas como um problema de saúde pública (MARAIS et al., 2012; ANNEMANS et al, 2017). A estimativa é que 6 a 8% da população mundial possui alguma doença rara, ou seja, entre 420 a 560 milhões de

indivíduos, no Brasil este número chega à, aproximadamente, 13 milhões (INTERFARMA, 2016). Além disso, existe o chamado “paradoxo da raridade”, ou seja, apesar das doenças serem raras, elas afetam muitas pessoas e ao estar presente na vida do paciente, também afetam a família do mesmo, portanto, é “raro” encontrar famílias que não tenham ou tiveram alguém com alguma doença rara (EURORDIS, 2005). A pessoa com doença rara precisa de um cuidado intenso de um ou mais membros da família, o qual terá menos tempo hábil para trabalhar (ANNEMANS et al, 2017). Tanto o paciente, quanto sua família enfrentam barreiras econômicas e de saúde no diagnóstico, na prevenção, no acesso a tratamentos, nos cuidados, nos recursos educacionais e sobre o entendimento do que é a doença rara na sociedade (RODRIGUEZ-MONGUIO et al., 2017).

De maneira geral, há uma dificuldade em diagnosticar as doenças raras precocemente e há poucas opções terapêuticas e pesquisas nesse campo (RODRIGUEZ-MONGUIO et al., 2017). Alguns sintomas podem ser desencadeados no nascimento ou durante a infância, como a atrofia muscular espinhal (AME), as desordens de armazenamento lisossômico, a persistência do canal arterial (PCA), a polipose adenomatosa familiar (PAF) e a fibrose cística (FC). Porém, a maior parte das doenças raras aparecem em adultos, a exemplo do carcinoma de células renais (RCC), o glioma e a leucemia mieloide aguda (LMA) (EUROPIAN MEDICINES AGENCY, s/d).

Com as investigações científicas realizadas até o momento, sabe-se que 80% dessas doenças são de origem genética, representando entre 3 a 4% dos nascimentos envolvendo um ou vários genes ou anomalias cromossômicas; já outras origens podem se dar por infecções, por alergias ou por processos degenerativos, proliferativos ou tóxicos (LUZ et al., 2015).

Os medicamentos para os pacientes com doenças raras são conhecidos por “medicamentos órfãos”, que são considerados diferentes, pelas autoridades reguladoras, dos outros tipos de fármacos existentes, uma vez que não são economicamente viáveis em condições normais de mercado e, também, pela desigualdade dos pacientes em termos de acesso a medicamentos (DENIS, 2009). O termo “medicamentos órfãos” foi projetado mundialmente pelos governos dos países desenvolvidos na tentativa de ajudar na produção, bem como no desenvolvimento de medicamentos para pacientes com doenças raras, de modo a buscar incentivos monetários para a atração de empresas farmacêuticas na produção dos mesmos (KONTOGHIORGHE et al., 2014). As pesquisas científicas são focadas em doenças que possuem maior prevalência na

população, como “[...] doenças cardíacas, acidentes vasculares cerebrais, câncer, diabetes tipo 2, obesidade e artrite [...]” (CDC, 2016). A indústria farmacêutica decide produzir fármacos ou não devido à análise de um mercado potencial para a compra dos mesmos, se concentrando na produção e no desenvolvimento de remédios interligado à demanda por eles. Assim, medicamentos que apresentam um baixo consumo, como os utilizados no tratamento de doenças raras, por terem baixo retorno e/ou por serem controlados pelo governo, são retirados do mercado ou nem ao menos chegam a ser desenvolvidos (SILVA, 2000).

Os esforços em pesquisa e desenvolvimento (P&D) em doenças raras se voltam apenas para aquelas que afetam um grande número de pacientes, que resultam no desenvolvimento e na aprovação de medicamentos órfãos para melhorar a qualidade de vida e a saúde dos pacientes, porém, além de abranger uma pequena fração frente aos diferentes tipos de doenças raras existentes, o custo limita o acesso dos mesmos ao tratamento (RODRIGUEZ-MONGUIO et al., 2017). Os medicamentos órfãos têm um custo de desenvolvimento muito elevado, e a maioria deles não são aprovados, assim, as empresas farmacêuticas não têm disposição de gastar grandes recursos para a obtenção de uma baixa recompensa em troca, por isso os países, junto à Organizações Governamentais e Não-Governamentais, nacionais e internacionais, lutam em busca de incentivos para o desenvolvimento desses fármacos (MARAIS et al., 2012).

Além disso, a Lei de Medicamentos Órfãos e a legislação semelhante em países da Europa, Ásia e Austrália têm aumentado os incentivos para lidar com essa grande necessidade de fornecimento de remédios para pacientes com doenças raras, gerando um ambiente fértil capaz influenciar os grupos de defesa desses pacientes, que desempenham um papel cada vez maior no desenvolvimento desses medicamentos, quer seja no financiamento direto de estudos clínicos, ou no recrutamento de pacientes (ABELLA, 2016).

### **Saúde como Direito Fundamental e Dever do Estado Brasileiro e a Judicialização**

De acordo com o artigo 196 da Constituição Federal de 1988, “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). O Sistema Único de Saúde (SUS), criado por esta Constituição, é um sistema público universal,

que estima a equidade e a integralidade dos cidadãos brasileiros (BRASIL, 2007). O SUS deve identificar e divulgar fatores condicionantes e determinantes da saúde; formular políticas de saúde; assistir pessoas por meio de ações de promoção, proteção e recuperação da saúde; executar ações de assistência terapêutica integral e farmacêutica; formular a política de medicamentos e etc. (BRASIL, 1990). A partir da criação do SUS, as políticas realizadas pelo Ministério da saúde são executadas com foco neste sistema.

Com a Política Nacional de Medicamentos (PNM), aprovada em 1998, houve a criação de programas voltados à garantia do acesso a medicamentos essenciais pelos cidadãos do país, “suas principais diretrizes são o estabelecimento da relação de medicamentos essenciais<sup>7</sup>, a reorientação da assistência farmacêutica, o estímulo à produção de medicamentos e a sua regulamentação sanitária (BRASIL, 1998). A PNM, que é parte da Política Nacional de Saúde, portanto, fortalece os princípios e as diretrizes básicas do SUS.

Com o intuito de racionalizar a PNM, em 1999, foi reeditada a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), que possui uma lista de fármacos para o tratamento de doenças mais prevalentes que deveriam ser disponibilizados pelo SUS (BRASIL, 2007).

Contudo, nem todos os medicamentos órfãos existentes para o tratamento de doenças raras estão incluídos na lista de fármacos essenciais. Na maioria dos casos, os indivíduos com doenças raras não conseguem ter acesso a serviços de saúde que atendem os princípios de qualidade, equidade, resolutividade e integralidade, devendo travar uma batalha nos meios judiciais para que consiga o tratamento (LUZ et al., 2015).

As famílias e os pacientes das doenças movem ações contra o Estado reivindicando o acesso à assistência farmacêutica, devido a responsabilidade direta que o mesmo possui no atendimento das necessidades de saúde e seus cidadãos, segundo a Constituição Federal de 1988 (SANT’ANA et al., 2011) e a Lei nº 8.080/1990, que reforça os princípios constitucionais, baseando a busca judicial (SARTORI JUNIOR et al., 2011). Tais medidas judiciais individuais são conhecidas por judicialização.

O termo “judicialização da saúde” se trata de um “[...] de um fenômeno complexo, responsável por crescente número de ações judiciais impetradas para garantir o acesso, através do Sistema Único de Saúde, a medicamentos e equipamentos, considerados por seus prescritores,

<sup>7</sup> “Medicamentos essenciais são aqueles que satisfazem às necessidades de saúde da maioria da população, a um preço que eles e a comunidade possam pagar; portanto eles deveriam estar disponíveis em todos os momentos, em quantidades adequadas e em formas farmacêuticas apropriadas” (IVF, 2006).



indispensáveis à garantia de saúde de seus pacientes” (OLIVEIRA et al., 2012).

Até 2013, o Brasil não tinha uma política específica para as doenças raras, mas, ações isoladas e uma iniciativa oficial, voltada às pessoas com doenças raras, o Componente de Medicamentos de Dispensação Excepcional (CMDE), estratégia da Política de Assistência Farmacêutica (PAF) que disponibiliza os medicamentos de alto custo pelo SUS para o tratamento destas e outras doenças (OLIVEIRA et al., 2012). A pressão pública por acesso aos medicamentos, por meio de ações judiciais individuais culminou na criação de uma política específica.

A partir de 2014, com a Portaria nº 199/2014 foi instituída no Brasil a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS, a qual evidencia o entendimento comum às orientações da OMS sobre o que é uma doença rara e quais os incentivos financeiros de custeio (BRASIL, 2014). Porém, até o momento existem dificuldades na efetivação dessa política na oferta desses medicamentos pelo SUS, os quais ainda, na maioria dos casos, apenas são adquiridos por meio das Portarias Especiais preexistentes, como a Portaria nº 50/1995 e nº 2.305/2001 (BRASIL, 1995, 2001).

### **Os medicamentos para tratamento das doenças raras e o papel da indústria farmacêutica**

Para o desenvolvimento de novos medicamentos, a indústria farmacêutica precisa levar em consideração o lucro que poderá ser obtido na comercialização dos mesmos. Dessa forma, os medicamentos órfãos, destinados à uma parcela pequena da população com doenças raras, são negligenciados em detrimento daqueles que podem ser vendidos em larga escala (FEBRAFAR, 2013). A indústria farmacêutica, portanto, não tem interesse no desenvolvimento e na comercialização de medicamentos órfãos, visto o alto custo de investimento em pesquisa e tecnologia, bem como a pouca demanda de mercado, pela baixa prevalência das doenças raras (SAÚDE!BRASILEIROS, 2016).

Os países buscam incentivar, por meio de financiamentos, a pesquisa e o desenvolvimento de medicamentos, uma vez que a indústria farmacêutica, na maioria das vezes, não apresenta este interesse em particular (OLIVEIRA et al., 2011). Contudo, tais incentivos estimulam o monopólio de indústrias farmacêuticas, o que torna os medicamentos mais lucrativos para elas, deixando as pessoas com doenças raras vulneráveis e sem perspectivas de tratamento (SOUZA et al. 2010).

Nesse contexto, as pessoas com doenças raras tornam-se uma mina de ouro para a indústria farmacêutica caso a mesma consiga os benefícios do governo, como os subsídios federais, os incentivos fiscais e a exclusividade de marketing, que no caso das doenças raras é de sete anos para o tratamento da doença (DALLARI, 2015). Assim, o desenvolvimento de fármacos, mesmo que para um pequeno número de clientes, pode gerar lucros em milhões de dólares. Os monopólios são protegidos pelos próprios governos, somado ao público de pacientes bem organizados em grupos de defesa que espera pelo medicamento, elevam ainda mais os preços dos fármacos.

O alto custo dos remédios já existentes, limita a disponibilidade destes para os pacientes que mais precisam, pois o governo não consegue comprá-los ou negociá-los para suprir seus programas de saúde. Os doentes e as famílias sofrem tanto pela ausência de perspectiva de melhora no quadro clínico, quanto pela possibilidade de óbito, relacionados à falta do tratamento.

Com o objetivo de ilustrar essa questão, apresentamos um caso mostrado pelo Gazeta Online (2017), de uma menina de 11 anos, que possui uma doença rara, sem cura, a Síndrome Hemolítico Urêmica Atípica (SHU). O medicamento que controla a doença custa R\$22 mil o frasco e ela precisa tomar quatro caixas por mês, o que equivale à um gasto de R\$122 mil por mês, inviável para a maioria das famílias brasileiras. O Ministério da Saúde, que fornecia o medicamento, entrou com um recurso para suspender o fornecimento sem responder os motivos. O frasco terminará em julho de 2017 e sem ele a menina poderá ter complicações e chegar ao óbito.

O caso acima mostra a importância do medicamento órfão no tratamento de doenças raras. O desenvolvimento e a oferta dos mesmos para a população fazem parte dos direitos humanos, uma vez que o direito à vida deve ser absoluto, sendo obrigação do Estado garanti-lo. Contudo, o Estado brasileiro, em análise, enfrenta dificuldades financeiras para garantir este direito fundamental devido ao elevado valor cobrado pela indústria farmacêutica. O caso da menina apresentado acima reflete também uma falta de compromisso por parte do Ministério da Saúde, pois uma vez que ele já fornecia o medicamento ele não poderia, simplesmente, suspendê-lo.

### **A política pública de saúde brasileira à pessoa com doença rara**

A partir da consideração dos princípios do SUS, apresentados anteriormente, a saúde é um direito legítimo e é responsabilidade moral

do Estado promovê-la e, para tanto, desenvolver e implantar políticas públicas que permitam assistir às pessoas com doenças raras, no sentido da prevenção, promoção e controle das complicações, constitui um dever do Estado.

As pessoas com doenças raras devem ter à disposição políticas públicas legítimas que se relacionem com o princípio de equidade, que garantam a igualdade formal (BOY; SCHRAMM, 2009). Nessa perspectiva, o Projeto de lei do Senado Federal 530/2013 para a instauração da Política Nacional para Doenças Raras no SUS, bem como a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças raras, instituída em 2014 pelo Ministério da Saúde, foram importantes para o esclarecimento do que o Ministério da Saúde entende por doença rara e medicamento órfão (DALLARI, 2015).

Essa política aprovada em 2014, contudo não saiu do papel. A população continua, assim como antes da existência da mesma, promovendo ações judiciais para conseguir os medicamentos órfãos necessários ao tratamento das doenças raras, conforme mostra a imprensa online brasileira (SAÚDE!BRASILEIROS, 2016). Isso ainda acontece, devido à inércia do Estado na implementação efetiva da política, que não publicou, até outubro de 2016, nem mesmo os 12 Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs) prometidos para que novas tecnologias e terapias sejam somadas ao tratamento (CÂMARA NOTÍCIAS, 2016). A política ajudaria no conhecimento das pessoas com doenças raras, além de prover uma assistência mais adequada a elas. Possibilitaria também, por exemplo, a redução dos custos com a realização de compras conjuntas a partir do compartilhamento de doses entre os doentes (SAÚDE! BRASILEIROS, 2016). Sem os PCDTs, a ANVISA tem negado a incorporação de novas tecnologias testadas do exterior (CÂMARA NOTÍCIAS, 2016), tornando o processo ainda mais difícil e moroso.

A concretização do direito à saúde exige que as inúmeras instâncias de poder, os profissionais de saúde e os pacientes se comprometam eticamente para que os direitos fundamentais garantidos pela Constituição Federal sejam cumpridos, no fornecimento de um serviço de saúde justo e eficaz para a população. Porém, a atuação jurisdicional para muitas pessoas com doenças raras, as quais podem se beneficiar de um medicamento órfão, ainda continua sendo o único meio para que o direito à saúde possa ser concretizado (GANDINI et al., 2007).

### **A situação atual do problema das doenças raras e medicamentos órfãos no Brasil**

O processo para se conseguir o diagnóstico específico de uma doença rara é lento e desafiador, entretanto, após a sua realização as famílias e o paciente ainda precisam enfrentar uma batalha para conseguir o tratamento adequado. São poucas as opções terapêuticas, e quando existem, geralmente são de alto custo e só são possíveis através de meios judiciais (LUZ et al., 2015). Além disso, esses tratamentos não englobam todos os diferentes tipos de doenças raras.

O Ministério da Saúde publicou duas portarias, em 2009 e em 2014, que instituíram uma política para o atendimento de indivíduos com doenças raras no âmbito do SUS. Contudo, na prática, até o momento tais portarias não se efetivaram devido à falta de Protocolos e Diretrizes Clínicas adequados ao tratamento dessas doenças, o que incentiva ainda mais a judicialização, pois sem tais protocolos, os medicamentos não podem ser padronizados no âmbito do SUS (VEJA, 2017b). No Brasil, não há dados epidemiológicos fidedignos sobre a prevalência dessas doenças, contudo estima-se que cerca de 13 milhões de brasileiros tenham uma doença rara. Apesar do número alarmante de casos, que cresce a cada dia, essa política não foi, de fato, implantada (SILVA; SOUSA, 2015; LUZ et al, 2015; BBC, 2013).

O jornal BBC (2013) mostrou que, além do fato de algumas doenças raras não estarem inseridas em nenhum dos protocolos de atendimento clínico, apenas um dos 18 protocolos do SUS considera o uso de drogas órfãs, no entanto, apenas para uma doença específica, a de Gaucher. Existem 14 doenças raras que já têm medicamentos órfãos registrados na ANVISA (Agência Nacional de Vigilância Sanitária), mas que não são disponibilizados no SUS, o que faz com que muitos pacientes recorram à justiça para conseguir o tratamento adequado. O jornal também denunciou que o SUS, apesar de ter instituído a política para doenças raras, ainda atende os pacientes de maneira individualizada e fragmentada, por ocasião dos processos de judicialização, mas isso ocorre sem qualquer preocupação com um planejamento adequado, o que, por fim, gera enorme desperdício de recursos públicos, bem como prejuízo aos pacientes.

O BBC (2013), bem como a Revista Veja (2017b) denunciaram também outros tipos de negligência do estado para com a pessoa com doença rara. Entre elas pode-se citar a carência de capacitação adequada aos profissionais de saúde; o número reduzido de médicos geneticistas para o diagnóstico e aconselhamento genético das famílias; os centros de referência de doenças raras concentram-se nas regiões mais ricas do país; não existem incentivos satisfatórios para o desenvolvimento de pesquisas na área. Considerando-se, portanto, a data de publicação dessas notícias, observa-se que ambas denunciam a mesma situação em anos diferentes e que até 2013 ainda não

existia a política, mas mesmo com a existência dela há três anos, em 2017 a situação não mudou.

### **O papel do Estado brasileiro no tratamento da doença rara**

Um dos princípios básicos do SUS, a equidade, está diretamente relacionada aos conceitos de igualdade e de justiça. Procura-se reconhecer as diferenças nas condições de vida e de saúde e nas necessidades das pessoas, uma vez que o direito à saúde deve atender à diversidade.

Nesse sentido, Salmo Raskin, médico geneticista, em entrevista na Revista Veja (2017a), afirma que se o Estado não tomar medidas efetivas, voltadas especificamente aos milhões de brasileiros com doenças raras, os graves problemas que afetam estas pessoas e seus familiares tenderão a aumentar excessivamente nos próximos anos. Raskin pondera que uma das medidas para tentar resolver o problema, seria a criação, pelo Estado brasileiro, de uma comissão com representantes de todas as instâncias interessadas, como governo, população, organizações não governamentais (ONGs) e indústria farmacêutica. A participação de instituições democráticas no SUS é essencial, uma vez que essas instituições - conferências e conselhos de saúde, consultas e audiências públicas, dentre outras -, permitem um ambiente expandido de discussão, o que favorece a definição de condutas mais eficazes e legítimas pelos gestores públicos responsáveis (AITH et al., 2014).

Em audiência pública realizada em outubro de 2016, a Comissão de Seguridade Social e Família da Câmara dos Deputados debateu a questão da judicialização dos pedidos de financiamento, pelo Estado, de remédios contra doenças raras. Foi argumentado que a judicialização, apesar de ser um meio de luta para o paciente que precisa do medicamento, não é a opção mais eficiente para o tratamento dessas doenças. Na audiência foi reforçado o fato de que os deputados da comissão aprovaram R\$500 milhões em emendas à Lei Orçamentária Anual de 2017, direcionadas ao tratamento de pessoas com doenças raras. Além disso, considerou-se que o aumento de recursos à Justiça é consequência da própria inércia do Estado em implementar a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovada em 2014 (CÂMARA NOTÍCIAS, 2016).

A judicialização restringe o amparo das necessidades em saúde, pois garante somente a aquisição do medicamento e não a adequação de sua administração e da manutenção do tratamento. Após o resultado da sentença favorável ao recebimento do medicamento, o Estado é obrigado a incluir a pessoa com a doença rara no sistema de dispensação de medicamentos de alto custo. Entretanto, demais condições da assistência

em saúde não são considerados, tais como o armazenamento e a administração de medicamentos complexos como as enzimas, o treinamento das equipes de saúde ou a definição de locais adequados para a infusão, no caso de medicamentos de injetáveis. Há evidências de que a indústria farmacêutica é a principal responsável pela organização desses outros domínios de assistência para a manutenção do tratamento do paciente (DINIZ et al., 2012).

Embora o Estado brasileiro reconheça constitucionalmente o direito universal e igualitário à saúde, o país não reúne, ainda, as condições organizacionais e financeiras para responder à real demanda pelas ações e serviços de saúde reprimidos. Além disso, o SUS ainda não possui uma política de assistência farmacêutica voltada para doenças raras. A própria construção dessa política tropeça em questões bioéticas que envolvem equidade, recursos escassos e a reserva do possível (SOUZA et al., 2010).

### **A pessoa com doença rara, a família e o acesso ao tratamento**

A família que possui uma pessoa com doença rara tem um cotidiano permeado por dificuldades e desafios constantes, relacionados à responsabilidade em buscar serviços de saúde de qualidade e igualdade de direitos (LUZ et al., 2015). Não bastasse tudo isso, a pessoa com doença rara e seus familiares, do ponto de vista econômico, social e psicológico, são mais vulneráveis e enfrentam, diariamente, preconceito (SOUZA et al., 2010).

Como já foi mencionado, o Estado deve garantir a assistência à saúde para os pacientes com doenças raras, que inclui o diagnóstico, instalações para acolhimento, exames, medicamentos e profissionais capacitados. Contudo, como visto, o acesso não é universal e para que o direito à saúde se concretize, as famílias recorrem a todos os meios possíveis, mesmo sabendo que a doença não tem cura. O jornal *Correio Braziliense* (2016), mostrou em uma matéria que, com o intuito de pressionar o Supremo Tribunal Federal (STF) para que o Estado arque com os medicamentos de alto custo que não integram o SUS, os pacientes, seus familiares e associações se reuniram em 2016 em mobilizações, com faixas e cartazes nas ruas e abaixo-assinados, para sensibilizar a população.

Diante das dificuldades financeiras para custear o tratamento, as famílias além de recorrer a processos judiciais, realizam campanhas nas redes sociais online para a arrecadação de recursos financeiros. O *Correio Braziliense* (2017) publicou o caso de três famílias. No primeiro caso, a mãe de um jovem de 19 anos com bronquite obliterante, pede doações na

internet para que seu filho consiga fazer um transplante pulmonar no Canadá, no valor de 300 mil dólares, pois apenas 15% do pulmão dele funciona e necessita usar um balão de oxigênio 24 horas por dia para conseguir respirar e não correr o risco de uma morte súbita.

O segundo caso apresentado foi o de uma mãe que criou uma ação para arrecadar dinheiro para custear a cirurgia de seus filhos gêmeos, de 3 anos, que possuem dismorfismo craniano do tipo escafocefálico. Para a realização da cirurgia corretiva que pode permitir a melhoria do desenvolvimento da cavidade craneana, até o mês de abril de 2017, ainda faltavam aproximadamente 99 mil reais. O terceiro caso mostrado foi o de uma mãe com um bebê, atualmente com três meses de idade, com diagnóstico de cardiopatia congênita, a qual precisava ainda arrecadar um valor restante de 98.510 reais até abril de 2017, para arcar com os custos da cirurgia e as diárias do processo de recuperação do filho, que não foram conseguidas através do SUS.

Os casos ilustrados acima evidenciam a importância do apoio familiar para a pessoa com a doença rara, além disso mostram a barreira financeira que estas famílias e os pacientes enfrentam, devido à indisponibilidade do Estado no fornecimento de tratamento à toda a população que precisa.

### **A judicialização como estratégia para a obtenção de medicamentos órfãos**

O Estado democrático de direito deveria garantir a saúde à população, porém sua ineficácia ou omissão na assistência farmacêutica, faz com que as pessoas, por meio da judicialização, busquem o poder Judiciário, o qual obrigará o Estado a fornecer o medicamento órfão, o atendimento médico e a assistência ao indivíduo com a doença rara (GANDINI et al., 2007; AITH et al., 2014). O poder Judiciário, portanto, coage o Estado ao cumprimento da Constituição Federal quanto ao direito à saúde da população (GANDINI et al., 2007).

A judicialização do tratamento de doenças genéticas raras, contém diversas questões a serem consideradas, as quais divergem do cenário comum do fenômeno. Entretanto, a faculdade destes direitos não pode tornar os cidadãos em receptores passivos dos benefícios do Estado, como uma forma de “privatização da cidadania”, sem considerar os aspectos bioéticos, médicos, econômicos e jurídicos em questão (SARTORI JÚNIOR et al., 2012).

De acordo com o geneticista Salmo Raskin, um dos maiores culpados pelo aumento vertiginoso do número de processos de

judicialização de medicamentos órfãos no Brasil, devido à sua histórica postura de negligência e descaso em relação ao atendimento de pacientes com doenças raras, é o próprio governo. Salmo Raskin (2017b) reforça ainda que o processo de judicialização torna o medicamento ainda mais caro, pois devido aos monopólios de distribuição dos medicamentos, o governo perde o poder de negociação, de administrar as compras, de se planejar para organizar estoques e torna-se ineficaz em relação à escala. Raskin também assinala que a agilidade nos processos de registro de medicamentos órfãos, como preconizado no artigo 12 da lei 6.360, de 1976, no parágrafo 3, resolveria grande parte do problema da judicialização. Assim, é necessária por parte do governo uma profunda revisão do processo de aprovação de medicamentos pelo órgão responsável, a ANVISA (VEJA, 2017b).

A judicialização da saúde no país não está apenas ligada ao fato que o Brasil não possui recursos suficientes para garantir o direito à saúde da população que mais precisa dela, mas, sim, à falta de ética, em um processo extremamente vantajoso para a indústria farmacêutica, bem como para alguns advogados e médicos envolvidos em esquemas ilegais de aquisição de drogas órfãs. A indústria farmacêutica influencia os médicos na prescrição de medicamentos novos que podem ser mais eficazes e seguros, ou o próprio médico, pode ser agraciado pela indústria com a comercialização dos fármacos. Os médicos, portanto, podem ser vítimas da indústria, como também os vilões. A confiança nos relatórios médicos pode levar o juiz a não discutir sua validade e aprovar o fornecimento de um medicamento que pode não ser, realmente eficaz. O advogado, na demanda judicial pode afirmar que tal fármaco é o único que pode garantir a vida do paciente, mesmo que isso possa não ser uma verdade e tal medicamento possa não ofertar nenhuma perspectiva de melhora e até acelerar a morte do paciente. A realidade é que, nesse tipo de esquema, o paciente pode ou não ser beneficiado com judicialização. Porém, antes dele, o maior benefício será obtido pela indústria farmacêutica (ARAÚJO, 2016).

### **Considerações Finais**

As vantagens obtidas pela indústria farmacêutica na comercialização de drogas consideradas órfãs, utilizadas no tratamento de pessoas com doenças raras no Brasil são muitas. Primeiramente, pelos incentivos do governo que estimulam o monopólio e a alta lucratividade dessas organizações a partir da compra compulsória destes fármacos, via processos de judicialização. Em segundo lugar, pela demanda reprimida



da população doente que se organiza em grupos, a partir do apoio da própria indústria farmacêutica, de advogados, de profissionais da saúde e de ONGs, o que também favorece ainda mais a elevação do preço do medicamento, dada a sua relevância no contexto social e político atual.

Dessa forma, no que diz respeito à busca de uma explicação possível para a questão da judicialização extensiva das drogas órfãs no Brasil, destacam-se três atores: o Estado brasileiro, a indústria farmacêutica e os pacientes (organizações ou representantes) que acionam a justiça. O primeiro se torna o responsável por pagar o custo extremamente alto dessa conta, sem poder de negociação, uma vez que não se preparou para a explosão de casos de ações judiciais promovidas por pessoas com doenças raras para aquisição desse meio de tratamento. Não houve por parte do Estado brasileiro o estímulo à pesquisa, a elaboração e implementação de protocolos e diretrizes bem definidas e delimitadas para o tratamento dos diversos tipos de doenças raras existentes, ou pelo menos daquelas que mais acometem a população brasileira e cujo tratamento é possível. O segundo ator, a indústria farmacêutica, é a que detêm a pesquisa, a tecnologia, a produção, a exclusividade de marketing e os lucros excepcionais de todo este processo. No meio desse jogo de gigantes, observa-se uma população de vulneráveis, abrangida por milhões de pessoas com doenças raras e seus familiares que aguardam por um tratamento digno, justo e igualitário. Essas pessoas não têm outra opção, quando da necessidade de tratamento medicamentoso com drogas órfãs não disponibilizadas pelo SUS, a não ser recorrer a advogados e processos judiciais extensamente burocráticos que demandam disponibilidade de tempo, de recursos financeiros, físicos e emocionais, frequentemente escassos nessas famílias.

O *dark side* da indústria farmacêutica é um vasto campo de pesquisa para interessados nos estudos organizacionais, no entanto, são escassas as pesquisas que discutem as organizações dessa indústria em suas várias dimensões. Apesar dos seus êxitos no desenvolvimento de drogas para tratamento de muitas doenças, essa indústria pode ser comparada ao crime organizado, forjando evidências, cometendo fraudes, envolvendo-se em ligações questionáveis com médicos, profissionais da saúde, associações de pacientes, agências reguladoras e periódicos científicos.

Na tentativa de estimular pesquisas que tenham a indústria farmacêutica como foco nos estudos organizacionais, propomos uma agenda que focalize: as pressões do setor para aprovar legislações e regulamentos que lhe sejam favoráveis; os crimes corporativos cometidos pelas companhias do setor; a corrupção institucional presente no setor; a posição profissional dos médicos na indicação de medicamentos; a

dinâmica das alianças entre companhias do setor e pesquisadores das faculdades de medicina. Essas são possibilidades que poderão trazer à tona outras questões merecedoras de atenção de pesquisadores dos estudos organizacionais.

## Referências

ABELLA, J. **Register now: patient advocacy groups and their role in orphan drug development.** Disponível em: <<https://premier-research.com/perspectivesorphan-drug-development-webinar-patient-advocacy-groups/>>. Acesso em: 30 de abr. 2017.

AITH, F. et al. **Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica.** Revista Direito Sanitário, São Paulo v.15 n.1, p. 10-39, mar./jun. 2014.

ANNEMANS, Lieven et al. Recommendations from the European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases (ORPH-VAL). **Orphanet Journal Of Rare Diseases**, [s.l.], v. 12, n. 1, p.1-15, 10 mar. 2017. Springer Nature.

454

ARAÚJO, C. P. A judicialização da saúde e a necessidade de assessoramento técnico do juiz para decidir. *In*: RIBEIRO, Rodrigo Araújo; MORAIS, Dalton Santos; BATISTA, Flávio Roberto; MACIEL, Fernando (Orgs.). **A Seguridade Social em Questão: da normatividade à jurisprudência.** Belo Horizonte: D'plácido, 2016.

ASSOCIAÇÃO DA INDÚSTRIA FARMACÊUTICA DE PESQUISA (INTERFARMA). **Doenças raras.** In: Guia 2016. Disponível em: <[https://www.interfarma.org.br/guia/guia\\_2016/doencas\\_raras/](https://www.interfarma.org.br/guia/guia_2016/doencas_raras/)>. Acesso em 18 de abr. 2017.

BBC (Brasília). **Brasil tem 13 milhões de pessoas com doenças raras, diz pesquisa.** 2013. Disponível em: <[http://www.bbc.com/portuguese/noticias/2013/03/130311\\_doencas\\_raras\\_pai.shtml](http://www.bbc.com/portuguese/noticias/2013/03/130311_doencas_raras_pai.shtml)>. Acesso em: 20 jun. 2017.

BIG PHARMA. In: **Cambridge DICTIONARY.** Disponível em: <<http://dictionary.cambridge.org/dictionary/english/big-pharma>>. Acesso em 06 abr. 2017.

BIG PHARMA. In: **Merriam-Webster DICTIONARY**. Disponível em: <<https://www.merriam-webster.com/dictionary/Big%20Pharma>>. Acesso em 06 abr. 2017.

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

BRASIL. Constituição (1988). **Constituição da República Federativa do Brasil**. Brasília: Senado Federal; 1988. Disponível em: <[http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/constituicao/constituicao.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao.htm)>. Acesso em: 20 mai. 2017.

\_\_\_\_\_. **Lei 8.080/1990**. Disponível em: <[http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/leis/L8080.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/L8080.htm)>. Acesso em: 20 mai. 2017.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. **Entendendo o SUS**. Brasília: Ministério da Saúde, 2006. Disponível em: <<http://portalarquivos.saude.gov.br/images/pdf/2013/agosto/28/cartilha-entendendo-o-sus-2007.pdf>>. Acesso em: 27 mai. 2017.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. **Portaria 50/1995**. Disponível em: <[http://sna.saude.gov.br/legislacao/leg\\_detalhes2.cfm?id=3180](http://sna.saude.gov.br/legislacao/leg_detalhes2.cfm?id=3180)>. Acesso em: 15 jun. 2017.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. **Portaria 199/2014**. Disponível em: <[http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 15 jun. 2017.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. **Portaria 2.305/2001**. Disponível em: <[sna.saude.gov.br/legisla/legisla/informes/GM\\_P2.305\\_01informes.doc](http://sna.saude.gov.br/legisla/legisla/informes/GM_P2.305_01informes.doc)>. Acesso em: 15 jun. 2017.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. **Portaria 3.916/1998**. Disponível em: <[http://www.cff.org.br/userfiles/file/portarias/3916\\_gm.pdf](http://www.cff.org.br/userfiles/file/portarias/3916_gm.pdf)>. Acesso em: 27 mai. 2017.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. **Relação Nacional de Medicamentos**

**Essenciais (RENAME)**. Série B. Textos Básicos de Saúde, Brasília: 5ª ed., p.1-286, 2007. Disponível em: <[http://www.anvisa.gov.br/medicamentos/renome/renome\\_2006\\_5ed.pdf](http://www.anvisa.gov.br/medicamentos/renome/renome_2006_5ed.pdf)>. Acesso em: 11 jun. 2017.

\_\_\_\_\_. Ministério da saúde. **Blog da saúde**. Disponível em: <http://www.blog.saude.gov.br/index.php/53229-doencas-raras-ganham-regra-especifica-para-medicamento>. Acesso em: 28 fev.2018.

CÂMARA NOTÍCIAS. Câmara dos Deputados. **Especialistas criticam judicialização de pedidos de remédios contra doenças raras**. 2016. Reportagem de Emanuelle Brasil, edição de Newton Araújo, publicação de Lúcio Bernardo Junior. Disponível em: <<http://www2.camara.leg.br/camaranoticias/noticias/SAUDE/518149-ESPECIALISTAS-CRITICAM-JUDICIALIZACAO-DE-PEDIDOS-DE-REMEDIOS-CONTRA-DOENCAS-RARAS.html>>. Acesso em: 28 jun. 2017. CENTERS FOR DISEASE CONTROL AND PREVENTION (CDC). **Chronic disease overview**. 2016. Disponível em: <<https://www.cdc.gov/chronicdisease/overview/index.htm>>. Acesso em: 07 mai. 2017.

456

CORREIO BRAZILIENSE (Brasília). **Famílias recorrem à internet para salvar parentes com doenças raras**: Diante da dificuldade financeira, moradores do DF aderem a campanhas de arrecadação de dinheiro on-line para custear o tratamento dos filhos. 2017. Elaborado por Tainan Pimentel e Jéssica Eufrásio. Disponível em: <[http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia/cidades/2017/04/11/interna\\_cidadesdf,587469/familias-recorrem-a-internet-para-salvar-parentes-com-doencas-raras.shtml](http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia/cidades/2017/04/11/interna_cidadesdf,587469/familias-recorrem-a-internet-para-salvar-parentes-com-doencas-raras.shtml)>. Acesso em: 19 jun. 2017.

\_\_\_\_\_. **Mobilização de pacientes com doenças raras pede garantia a medicamentos**: Na quarta-feira (28/9), o Supremo Tribunal Federal (STF) decidirá se o poder público deve arcar com medicamentos de alto custo que não integram o Sistema Único de Saúde (SUS). 2016. Disponível em: <[http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia/cidades/2016/09/25/interna\\_cidadesdf,550370/mobilizacao-de-pacientes-com-doencas-raras-pede-garantia-a-medicamento.shtml](http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia/cidades/2016/09/25/interna_cidadesdf,550370/mobilizacao-de-pacientes-com-doencas-raras-pede-garantia-a-medicamento.shtml)>. Acesso em: 19 jun. 2017.

DALLARI, S. G. Fornecimento do medicamento pós-estudo em caso de doenças raras: conflito ético. *Revista Bioética*, [s.l.], v. 23, n. 2, p.256-266, ago. 2015.

DENIS, A. et al. **Polices for orphan diseases and orphan drugs**. Bélgica: Belgian Health Care Knowledge Centre, 2009. Disponível em: <[http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/docs/policies\\_orphan\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/policies_orphan_en.pdf)>. Acesso em: 22 de abr. 2017.

DINIZ, D. et al. **Consequências da judicialização das políticas de saúde: custos de medicamentos para as mucopolissacaridoses**. Cad. Saúde Pública[online]. 2012, vol.28, n.3, pp.479-489. ISSN 1678-4464.

EL PAÍS. “**Não criamos medicamentos para os indianos, mas para os que podem pagar**”. 23/01/2014. Disponível em: [https://brasil.elpais.com/brasil/2014/01/23/sociedad/1390497913\\_508926.html](https://brasil.elpais.com/brasil/2014/01/23/sociedad/1390497913_508926.html) Acesso em: 10 jan.2017.

EUROPEAN MEDICINES AGENCY. **Orphan Designation**. Disponível em: <[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general\\_content\\_000029.jsp&mid=WC0b01ac0580b18a41](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp&mid=WC0b01ac0580b18a41)>. Acesso em: 17 abr. 2017.

EUROPEAN ORGANIZATION FOR RARE DISEASES (EURORDIS). **EUROPEAN CONFERENCE ON RARE DISEASES**. Luxembourg: Eurordis, 2005. 93 p. Disponível em: <<http://www.eurordis.org/IMG/pdf/EN-ECRDtotal-2.pdf>>. Acesso em: 07 mai. 2017.

\_\_\_\_\_. **What a rare disease?** 2010. Disponível em: <<http://www.eurordis.org/content/what-rare-disease>>. Acesso em: 07 mai. 2017.

FEBRAFAR. **Indústrias farmacêuticas buscam lucro em drogas para doenças raras**. 2013. Disponível em: <<http://febrafar.com.br/industrias-farmaceuticas-buscam-lucro-em-drogas-para-doencas-raras/>>. Acesso em: 28 jun. 2017.

FONTELETTES, M. J. et al. **Metodologia da pesquisa científica: diretrizes para a elaboração de um protocolo de pesquisa**. Rev Para Med 2009;23(3).

GANDINI, J. A. D. et al. **A judicialização do direito à saúde: a obtenção de atendimento médico, medicamentos e insumos terapêuticos por via judicial: critérios e experiências**. Brasília, DF: BDJur, 2007.

GAZETA ONLINE. Rede Gazeta. **Menina com doença rara só tem remédio para mais um mês de tratamento:** A mãe dela conseguiu na Justiça o direito de receber o medicamento, mas o Ministério da Saúde entrou com recurso para suspender o fornecimento. 2017. Elaborado por Fabíola de Paula da TV Gazeta. Disponível em: <<http://www.gazetaonline.com.br/noticias/cidades/2017/06/menina-com-doenca-rara-so-tem-remedio-para-mais-um-mes-de-tratamento-1014071413.html>>. Acesso em: 20 jun. 2017.

HAGOPIAN, J. **The evils of Big Pharma exposed.** Disponível em: <<http://www.globalresearch.ca/the-evils-of-big-pharma-exposed/5425382>>. Acesso em: 06 abr. 2017.

INSTITUTO VIRTUAL DE FÁRMACOS DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO (IVFRJ). **Ministério da saúde reativa comissão de medicamentos essenciais.** Rio de Janeiro. Disponível em: <[http://www.ivfrj.ccsdecania.ufrj.br/ivfonline/edicao\\_0027/comare.html](http://www.ivfrj.ccsdecania.ufrj.br/ivfonline/edicao_0027/comare.html)>. Acesso em 06 abr. 2017.

KONTOGHIORGHE, C. N. et al. World health dilemmas: Orphan and rare diseases, orphan drugs and orphan patients. **World Journal Of Methodology**, [s.l.], v. 4, n. 3, p.163-188, 2014. Baishideng Publishing Group Inc.

LINSTEAD, S; MARÉCHAL, G; GRIFFIN, R.W. Theorizing and researching the dark side of organization, **Organization Studies**, v. 35, n. 2, pp. 165 – 188, 2014.

LUZ, G. S. et al. **Doenças raras:** itinerário diagnóstico e terapêutico das famílias de pessoas afetadas. *Acta paul. enferm.* [online]. 2015, vol. 28, n. 5, pp. 339-400. ISSN 0103-2100.

MARAIS B. et al. **One world, one health:** beyond the Millennium Development Goals. *Lancet*. 2012; 380:805–806.

NATIONAL ORGANIZATION FOR RARE DISORDERS (NORD). **Rare disease information.** Disponível em: <<https://rarediseases.org/for-patients-and-families/information-resources/rare-disease-information/>>. Acesso em: 17 de abr. 2017.

OLIVEIRA, C. R. C; GUIMARAES, M. C. S; MACHADO, R. **Doenças Raras como categoria de classificação emergente**: caso brasileiro. Revista de Ciências da Informação, v.13, n.1, 2012.

OLIVEIRA, C. R. C. et al. **Políticas da 'expertise'**: Doenças raras e gestão das tecnologias em saúde pelo SUS. Revista Brasileira de Ciência, Tecnologia e Sociedade , 2011.

PESQUISA, INFORMAÇÃO E DESENVOLVIMENTO EM EPIDEMIOLOGIA (E-PID). **Prevalência**. Disponível em: <<<http://www.uff.br/e-pid/prevalencia.htm>>>. Acesso em: 07 mai. 2017.

RICHTER, T. et al. International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research Rare Disease Special Interest Group. **Rare disease terminology and definitions-a systematic global review**: report of the ISPOR Rare Disease Special Interest Group. Value Health. 2015; 18(6):906–14.

RODRIGUEZ-MONGUIO, R. et al. Ethical imperatives of timely access to orphan drugs: is possible to reconcile economic incentives and patients' health needs?. **Orphanet Journal Of Rare Diseases**, [s.l.], v. 12, n. 1, p.1-8, 5 jan. 2017. Springer Nature.

SANT'ANA, J. M. B et al. Essencialidade e assistência farmacêutica: considerações sobre o acesso a medicamentos mediante ações judiciais no Brasil. Rev Panam Salud Publica. 2011;29(2):138–44.

SARTORI JUNIOR, D. et al. **Judicialização do acesso ao tratamento de doenças genéticas raras: a doença de Fabry no Rio Grande do Sul**. Ciênc. saúde coletiva [online]. 2012, vol.17, n.10, pp.2717-2728. ISSN 1413-8123.

SAÚDE!BRASILEIROS. Revista Brasileiros. **A complexa situação das doenças raras no Brasil**: Política que não saiu do papel, centros que não receberam verba, alto preço de medicamentos, ações judiciais e falta de protocolos clínicos. Um cenário difícil. 2016. Elaborado por Monique Oliveira. Disponível em: <<http://brasileiros.com.br/2016/10/a-complexa-situacao-das-doencas-raras-no-brasil/>>. Acesso em: 19 jun. 2017.

SILVA, E. N.; SOUSA, T. R. V. Economic evaluation in the context of rare diseases: is it possible?. **Cadernos de Saúde Pública**, [s.l.], v. 31, n. 3, p.496-506, mar. 2015.

SILVA, R. C. S. **Medicamentos excepcionais no âmbito da assistência farmacêutica no Brasil**. [Mestrado] Fundação Oswaldo Cruz, Escola Nacional de Saúde Pública; 2000. 215 p.

SOUZA, M. V. et al. **Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas**. Revista Ciência & Saúde Coletiva. Rio de Janeiro: 2010.

UZUNOĞLU, B. **Rare diseases and orphan drugs**. In: Pharmaceutical Business Review. Disponível em: <[http://rxcorporate.com/pbr\\_en.pdf](http://rxcorporate.com/pbr_en.pdf)>. Acesso em 20 abr. 2017.

VEJA (a). Grupo Abril (Ed). **Tem alguém na família com uma doença rara?: Dia 28/2 é celebrado o Dia Internacional das Doenças Raras**. Entenda o que são doenças raras e deixe seu depoimento em homenagem a esse dia. 2017. Elaborado por Salmo Raskin, médico geneticista e membro titular da Sociedade Brasileira de Genética Médica. Disponível em: <<http://veja.abril.com.br/blog/letra-de-medico/tem-alguem-na-familia-com-uma-doenca-rara/>>. Acesso em: 19 jun. 2017.

VEJA (b). Grupo Abril (Ed.). **O Estado deve ou não arcar com o tratamento de doenças raras, afinal?**2017. Elaborado por Salmo Raskin, médico geneticista e membro titular da Sociedade Brasileira de Genética Médica. Disponível em: <<http://veja.abril.com.br/blog/letra-de-medico/o-estado-deve-ou-nao-arcar-com-o-tratamento-de-doencas-raras-afinal/>>. Acesso em: 19 jun. 2017.

**Submetido em 04/03/2018**

**Aprovado em 26/03/2018**