
DOENÇAS RARAS E POLÍTICAS PÚBLICAS DE SAÚDE NO BRASIL E EM PORTUGAL: UM ESTUDO COMPARADO

*RARE DISEASES AND PUBLIC HEALTH POLICIES IN BRAZIL AND
PORTUGAL: A COMPARATIVE STUDY*

Víctor Luna Vidal

Mestrando em Direito e Inovação pela Universidade Federal de Juiz de Fora. Bacharel em Direito pela mesma instituição. Advogado. E-mail: victorlunavidal@live.com. Endereço do CV: <http://lattes.cnpq.br/0250039777076997>.

RESUMO

O presente artigo objetiva promover um estudo comparado entre Brasil e Portugal quanto à eficácia do direito fundamental à saúde em matéria de prestação de cuidados com doenças raras pelos sistemas públicos de saúde dos países. Para tanto, analisa o tratamento jurídico conferido pelas políticas públicas em ambos os países, sendo estudadas informações acerca do funcionamento e do alcance das medidas implementadas. Considerando que a judicialização de políticas públicas é um instrumento de canalização das insatisfações da população quanto ao fornecimento de tratamentos de saúde no Brasil, o trabalho busca relacionar as decisões judiciais no âmbito do Supremo Tribunal Federal com os Protocolos Clínicos e Diretrizes Farmacêuticas presentes no âmbito do Sistema Único de Saúde, tendo como marco institucional a implementação da Política Nacional de Doenças Raras de 2014. Em Portugal, a análise dirige-se especialmente à avaliação de informações oficiais e não oficiais acerca dos tratamentos de saúde disponibilizados à população através do Sistema Nacional de Saúde, tendo como marco institucional a Estratégia Integrada para as Doenças Raras 2015-2020. As políticas públicas investigadas indicam a existência de esforços significativos no sentido de concretização das noções de integralidade e universalidade dos sistemas públicos de saúde.

Palavras-chave: Direito Fundamental à Saúde; Doenças Raras; Políticas Públicas.

ABSTRACT

This article aims to promote a comparative study between Brazil and Portugal on the effectiveness of the fundamental right to health in the provision of care for rare diseases by the public health systems of the countries. In order to do so, it analyzes the



legal treatment conferred by public policies in both countries, studying information about the operation and scope of the measures implemented. Considering that the judicialization of public policies is an instrument for channeling public dissatisfaction with the provision of health care in Brazil, the work seeks to relate judicial decisions within the scope of the Federal Supreme Court with the Clinical Protocols and Pharmaceutical Guidelines present in the scope of Unified Health System, having as institutional framework the implementation of the National Policy on Rare Diseases of 2014. In Portugal, the analysis is directed especially at the evaluation of official and unofficial information about the health treatments available to the population through the National System of Health institutional framework of the Integrated Strategy for Rare Diseases 2015-2020. The public policies investigated indicate the existence of significant efforts to achieve the notion of integrality and universality of public health systems.

Key-words: Fundamental Right to Health; Rare Diseases; Public Policy.

1 INTRODUÇÃO

A efetivação do direito à saúde no Brasil e em outros países envolve fatores de ordem jurídica, política, social e econômica. Em sistemas públicos caracterizados pela universalidade e pela integralidade, o desafio no cumprimento dos comandos constitucionais se torna ainda mais significativo no tocante ao tratamento das enfermidades raras. Entre os aspectos mais problemáticos associados à temática, destacam-se o acesso aos medicamentos órfãos pela população e o fornecimento de cuidados especializados para os portadores das doenças.

De modo a analisar os avanços e as dificuldades em matéria de políticas públicas dirigidas ao cuidado com doenças raras no Brasil e em Portugal, o estudo busca investigar os marcos institucionais pertinentes à temática, considerando, inicialmente, os aspectos teórico e normativo do direito à saúde nesses países.

No Brasil, a pesquisa aprofunda a investigação sobre a Política Nacional de Doenças Raras, implementada pela Portaria nº 199 (BRASIL, 2014). De modo a relacionar as discussões entre judicialização da saúde e políticas públicas, são avaliados os pedidos de tratamentos de doenças raras no âmbito do Supremo Tribunal Federal. As enfermidades e tratamentos indicados nas decisões são comparados com os Protocolos Clínicos e Diretrizes Farmacêuticas presentes no âmbito do Sistema Único de Saúde.

Em Portugal, a avaliação das políticas públicas para doenças raras é feita por meio da identificação de informações disponibilizadas em fontes oficiais e não oficiais

acerca dos tratamentos de saúde disponibilizados à população através do Sistema Nacional de Saúde.

2 DOENÇAS RARAS E POLÍTICAS PÚBLICAS

As doenças raras são caracterizadas como enfermidades que apresentam baixa prevalência e alto custo de tratamento. Nesse sentido, a sua definição deve-se mais à existência de políticas públicas e de legislações que estabelecem critérios para o desenvolvimento de produtos farmacêuticos do que pela existência de aspectos médicos próprios. Tais critérios têm como fundamento fatores econômicos considerados na elaboração de legislações de incentivo público à pesquisa de medicamentos órfãos¹. Para a concessão de incentivos, são combinados, geralmente, os critérios da prevalência da doença na população e os altos custos no desenvolvimento de medicamentos.

Dois são os principais marcos regulatórios no mundo: o estadunidense e o europeu.

A primeira iniciativa dirigida ao desenvolvimento de medicamentos para doenças raras surgiu com a promulgação do Orphan Drug Act (U.S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION, 2019). A iniciativa estadunidense foi responsável pela formulação de políticas públicas de fomento à pesquisa e à produção de medicamentos.

Na Europa, a atuação da Comissão Europeia resultou na proposta de regulamentação chancelada pelo Parlamento Europeu em 1999, o que deu origem ao Regulamento nº 141 (UNIÃO EUROPEIA, 1999). O regulamento conferiu novas competências à Agência Europeia do Medicamento, o que resultou na criação de um comitê científico para apreciar os pedidos de designação de medicamentos órfãos. Assim como nos Estados Unidos, a política adotada no âmbito europeu objetivou a criação de novos produtos destinados à ampliação do acesso pelos pacientes a novos tratamentos (SEPODES; MOTA-FILIPPE, 2013, p. 59).

Os marcos regulatórios em tela têm como semelhanças a instituição de benefícios para o fomento na produção de medicamentos, o que contempla, entre outras medidas, a exclusividade de mercado temporário dos produtos, o suporte técnico das instituições oficiais, e a concessão de incentivos econômicos. Os critérios

1 Segundo Sepodes e Mota-Filipe (2013, p. 58), a expressão “medicamentos órfãos” designa “medicamentos potencialmente úteis, não disponíveis no mercado” (SEPODES; MOTA-FILIPPE, 2013, p. 58). O conceito está associado, portanto, à previsão de políticas públicas voltadas ao desenvolvimento de medicamentos que, em virtude de seu limitado potencial de exploração econômica, não despertam o interesse da indústria farmacêutica (HUYARD, 2009).

para a obtenção dos benefícios legais são diversos. Nos Estados Unidos, a política pública dirige-se ao desenvolvimento de medicamentos para doenças que atingem até 200.000 pessoas, ou quando há comprovação de que os custos com o desenvolvimento do fármaco não são recuperáveis (U.S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION, 2019). Na União Europeia, são beneficiadas as pesquisas para o tratamento de doenças que atingem até 1 pessoa por grupo de 2.000 (EURORDIS, 2019).

As políticas de incentivo têm produzido resultados positivos no desenvolvimento de medicamentos. Um estudo de dezembro de 2018 aponta dados essenciais à compreensão da temática. Passados 35 anos da promulgação do Orphan Drug Act, nos Estados Unidos, um total de 503 produtos receberam a designação de medicamentos órfãos². Do total, 217 produtos não são mais protegidos pela designação de medicamentos órfãos nem pelo sistema de patentes comum e, ainda assim, apenas 116 dos medicamentos possuem concorrentes genéricos ou similares, o que corresponde aproximadamente a apenas metade dos produtos que não possuem proteção comercial (IQVIA, 2018, p. 2).

Na Europa, o relatório mais recente disponibilizado pela Agência Europeia do Medicamento – referente ao ano de 2017 – aponta a realização de 1.377 pedidos de designação de medicamentos órfãos no período compreendido entre os anos de 2013 e 2017. Do total, 873 pedidos receberam o auxílio da agência europeia no desenvolvimento de medicamentos órfãos (UNIÃO EUROPEIA, 2018, p. 57).

Embora as políticas públicas apresentem resultados positivos relativamente à produção de medicamentos e ao seu acesso, efeitos negativos são também perceptíveis. Nesse sentido, destaca-se o estímulo à criação de monopólios dos fármacos desenvolvidos, em que os preços atingem cifras elevadas, o que está “em desacordo com a definição inicialmente proposta para ‘medicamento órfão’” (SOUZA *et al*, 2010, p. 3449). Para compensar tais problemas, países como Portugal adotam o custeio integral dos medicamentos pelo sistema público de saúde, o que pressupõe a observância de parâmetros para a incorporação dos tratamentos aos sistemas públicos de saúde.

Os elevados custos derivados da distribuição de medicamentos órfãos pelos sistemas públicos de saúde conduzem à tensão entre as dimensões coletiva e individual na efetivação dos direitos fundamentais sociais, na medida em que o atendimento das necessidades de grupos minoritários da população com tratamentos de elevado custo limita os gastos destinados à atenção básica das pessoas.

2 A designação de medicamento órfão corresponde à obtenção pelo laboratório patrocinador dos incentivos previstos pela legislação. Isso não significa que a pesquisa que recebeu incentivos resultará na aprovação do medicamento e na sua distribuição, haja vista a necessidade de submeter os novos produtos a vários testes para a realização dos controles de segurança e eficácia.

Em termos de organização do Sistema Único de Saúde - SUS, isso significa que por mais que o Estado se organize de modo a implementar as noções de integralidade e universalidade, sempre haverá o desafio de articulação entre as demandas de maior ocorrência na sociedade e as situações raras não enquadradas nos protocolos públicos (AITH *et al*, 2014, p. 35).

3 O DIREITO À SAÚDE NO BRASIL

A inclusão da saúde no rol de direitos fundamentais no país é resultado da confluência dos debates promovidos por diversos setores da sociedade no processo de redemocratização política (DALLARI, 2008, p. 11). Com a Constituição (BRASIL, 1988), concretizou-se um modelo dotado de significado e de regime jurídico próprios. Assim, destaca-se que o tratamento constitucional da saúde abrange alguns aspectos relevantes a serem analisados, quais sejam, o caráter plural do referido direito, a instituição do SUS, a titularidade do direito à saúde e a previsão de princípios e estratégias de efetivação do direito.

O caráter plural do direito à saúde é identificado no artigo 196 da Constituição (BRASIL, 1988), que prevê a garantia de “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”, e no artigo 197, que determina a atuação do Poder Público no sentido de “regulamentação, fiscalização e controle” dos serviços e bens de saúde (BRASIL, 1988). Segundo Dallari (2008, p.11-12), tais aspectos envolvem as condições de vida e de organização social dos indivíduos, bem como a verificação da ausência de doenças. Essa concepção advém do período pós-Segunda Guerra Mundial, em que foi criada, no ano de 1946, a Organização Mundial de Saúde (WHO, 1946).

No tocante à titularidade, a concepção ampla de saúde abrange tanto a proteção a sujeitos considerados individualmente quanto em grupo. Inexiste, assim, “qualquer relação de prevalência abstratamente estabelecida entre a titularidade individual e a coletiva, menos ainda de caráter excludente em relação a qualquer uma delas” (FIGUEIREDO, 2010, p. 224).

A concretização do direito fundamental à saúde viabiliza-se por meio de competências materiais e legislativas atribuídas aos entes federativos, além de princípios dirigidos à conformação do SUS que, segundo o artigo 198 da Constituição (BRASIL, 1988), configura uma modelo regionalizado e hierarquizado, tendo como principais diretrizes a descentralização, a integralidade de cobertura e a participação popular.

As ideias de regionalização e de hierarquia visam à organização do sistema de acordo com o nível de complexidade das prestações de saúde. A distribuição de tarefas tem como fundamento a organização da rede pública, consideradas as capacidades financeira e logística de cada ente federativo, sob a perspectiva de um regime de solidariedade. A integralidade relaciona-se à garantia de que os serviços de saúde disponibilizados à população contemplam a prevenção, a recuperação e os distintos níveis de complexidade, haja vista o escopo de garantia da saúde dos indivíduos em sua totalidade (DALLARI; MAGGIO, 2017, p. 64). A participação popular pressupõe a noção de democratização das instituições e instâncias de deliberação atinentes à saúde, de forma a permitir o controle das ações desenvolvidas pelo Estado diretamente pela população (AITH, 2015, p. 88).

3.1 Políticas públicas de saúde no Brasil e doenças raras

De acordo com Wang e Li (2013, p. 13) a maioria dos países em desenvolvimento não possui legislação específica dirigida ao cuidado dos sistemas de saúde com doenças raras. Segundo o autor, é recorrente o argumento de que isso se deve à desnecessidade do tratamento de um tema de menor importância ante os desafios que as sociedades desses países têm em solucionar questões concernentes à pobreza e ao atendimento básico. Relacionado a esse argumento, está o fato de que esses países não possuem recursos suficientes para a atenção desse grupo populacional específico (WANG LI, 2013, p. 13).

É o caso do Brasil, que apesar das dificuldades enfrentadas no que tange à definição de políticas públicas nessa seara, tem adotado ações no sentido de ampliação das responsabilidades do SUS, o que resulta na incorporação de novos tratamentos à rede pública.

De acordo com o Aith *et al* (2014, p. 23), o Brasil apresenta um processo de desenvolvimento de políticas públicas dirigidas ao fornecimento de medicamentos e de outras prestações de saúde que, somente nos últimos anos, conduziu a ações específicas para o cuidado com doenças raras. Relativamente à distribuição, alguns medicamentos destinados ao tratamento das enfermidades raras eram contemplados pela Política Nacional de Assistência Farmacêutica.

Nesse sentido, a Portaria nº 204 (BRASIL, 2007a), ao regulamentar o financiamento do SUS, tratou da assistência farmacêutica, a qual seria composta por três níveis de atuação. O primeiro nível – o componente básico – tem como função a compra de medicamentos e demais produtos farmacêuticos voltados à atenção básica. O segundo nível – o componente estratégico – trata do financiamento de políticas

estratégicas de saúde, como o cuidado com doenças endêmicas – em geral, doenças que atingem regiões significativas do país ou todo o seu território e enfermidades que relacionadas a agentes imunobiológicos. Por fim, o terceiro nível, referente aos medicamentos de dispensação excepcional, ficou a cargo de regulamentação de portaria específica, o que foi feito pela Portaria nº 2.981 (BRASIL, 2009a).

Segundo Aith *et al* (2014, p. 23), os medicamentos de dispensação excepcional eram distribuídos de acordo com a estratégia de acesso integral conduzida pelo governo, o que deve observar os Protocolos Clínicos e Diretrizes Farmacêuticas definidos pelo Ministério da Saúde. As determinações do Ministério da Saúde até aquele momento, embora permitissem a incorporação de tratamentos de saúde destinados a doenças raras, não apresentaram objetivos específicos quanto aos cuidados com doenças raras.

Ainda em 2009, foi lançada a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica – PNAIGC, que teve nos portadores de doenças raras um dos seus principais grupos contemplados pelo referido programa. A política teve como objetivo promover a articulação dos níveis de gestão do sistema público de saúde, além de destinar maior atenção às doenças genéticas de acordo com as estratégias de: identificação de determinantes das enfermidades; fomento a pesquisas que contemplem os aspectos de eficácia, qualidade e incorporação tecnológica; análise entre custo e eficácia de tratamentos e de gestão; e qualificação da assistência de acordo com o princípio da integralidade e com a Política Nacional de Humanização (AITH *et al*, 2014, p. 24)

As discussões em torno da incorporação de tecnologias e de instrumentos de proteção da saúde conduziram à promulgação da Lei nº 12.401 (BRASIL, 2011b), que alterou a Lei nº 8.080 (BRASIL, 1990) e instituiu a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC. Segundo Aith *et al* (2014, p. 16), a Lei 12.401 (BRASIL, 2011b) visa garantir a transparência e a participação popular no processo de incorporação tecnológica do SUS, sendo idealizada a CONITEC a partir do National Institute for Health and Clinical Excellence, órgão responsável pela avaliação do processo de incorporação de tecnologias no âmbito do sistema público de saúde inglês, mediante a utilização de protocolos assistenciais e a participação de pacientes e de profissionais de saúde.

Tendo o apoio do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde, a CONITEC assessora o Ministério da Saúde na incorporação de tecnologias pelo SUS, e também na constituição e na alteração dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas – PCDT's (BRASIL, 2015a). A CONITEC tem seu funcionamento e a composição de seu plenário previstos no Decreto nº 7.646 (BRASIL, 2011a). Integram o plenário da CONITEC representantes de conselhos profissionais de saúde, de

conselhos de secretarias de Estados e de Municípios, além de membros do Ministério da Saúde (BRASIL, 2011a).

Os avanços no sentido de organização e de ampliação dos serviços de saúde prestados à população mais recentemente tiveram sua atenção concentrada na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, prevista na Portaria nº 199 (BRASIL, 2014). A definição dos objetivos gerais da política está prevista no artigo 4º, que define que as ações estatais visam à redução da mortalidade, da morbimortalidade e das manifestações secundárias, além de promover 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” (BRASIL, 2014).

Os objetivos específicos da política estão previstos no artigo 5º (BRASIL, 2014), sendo assim resumidos: 1) garantia da universalidade, da integralidade e da equidade das ações e serviços de saúde; 2) estabelecimento de diretrizes para o cuidado em todos os níveis do SUS; 3) acesso à atenção integral na Rede de Atenção à Saúde; 4) ampliação do acesso universal na Rede de Atenção à Saúde; 5) garantia de acesso a diagnósticos e a terapias de acordo com a necessidade do paciente; 6) qualificação da atenção aos portadores das doenças.

As diretrizes da política têm como objetivo a efetivação dos princípios da universalidade e da integralidade. Destarte, resta claro o compromisso do Estado com a melhoria nas condições de vida e de saúde da população, o que é feito “sem discriminação de qualquer tipo e de maneira a se utilizar dos melhores conhecimentos científicos comprovados por evidências para atingir os relevantes objetivos elencados na norma” (AITH, 2014, p. 9).

A Portaria nº 199 (BRASIL, 2014) estabelece princípios e diretrizes. Dado o caráter multifacetário do direito à saúde, que envolve não somente a atenção curativa, mas também a garantia de aspectos relacionados à qualidade de vida dos pacientes e de seus familiares, os princípios são pautados: 1) pela atenção humanizada e focada nas necessidades individuais; 2) pelo respeito às diferenças e o combate aos preconceitos; 3) pela garantia de acesso a serviços de qualidades orientados pelo cuidado integral e pela atenção multiprofissional; 4) pela articulação intersetorial e pela participação popular; 5) pela incorporação de tecnologias dirigidas ao cuidado dos pacientes e à prevenção de doenças; 6) pela promoção da acessibilidade de edificações e equipamentos urbanos pelos indivíduos.

Com o escopo de melhorar as condições de vida dos pacientes, as diretrizes do programa público contemplam a formação e a capacitação permanentes dos profissionais de saúde no cuidado com os portadores das enfermidades, a promoção de ações integradas pelos Poderes Públicos, a oferta de serviços voltados à habilitação e à reabilitação das pessoas, além da promoção da inclusão social dos pacientes e de sua autonomia (BRASIL, 2014).

A atenção aos pacientes observa eixos específicos. O artigo 12 (BRASIL, 2014) classifica as doenças em genéticas – compostas pelos subgrupos de 1) anomalias congênitas ou de manifestação tardia, 2) deficiência intelectual e 3) erros inatos do

metabolismo – e não genéticas – que podem ser 1) infecciosas, 2) inflamatórios ou 3) autoimunes.

A estrutura das linhas de cuidado é definida pelo artigo 13 (BRASIL, 2014), que prevê as atenções básica e especializada. A primeira corresponde à porta de entrada prioritária do usuário na rede pública de saúde, tendo como incumbência, entre outras ações, as tarefas de redução dos danos das doenças nos usuários, a avaliação da vulnerabilidade dos pacientes, a implementação de ações de diagnóstico precoce, o encaminhamento oportuno das pessoas suspeitas de possuírem as doenças à confirmação do diagnóstico, o registro de informações referentes às doenças, o cuidado domiciliar dos pacientes e a humanização da atenção.

A linha especializada deve ser utilizada caso haja necessidade de encaminhamento do paciente ao atendimento em uma unidade de média ou alta complexidade. Ela é composta por “pontos de atenção com diferentes densidades tecnológicas para a realização de ações e serviços de urgência, ambulatorial especializado e hospitalar” (BRASIL, 2014). Estão compreendidos no âmbito da atenção especializada o oferecimento de “atenção diagnóstica e terapêutica específica para uma ou mais doenças raras, em caráter multidisciplinar” (BRASIL, 2014) e o “Serviço de Referência em Doenças Raras, que oferece atenção diagnóstica e terapêutica específica, em caráter multidisciplinar” (BRASIL, 2014).

O Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras deve apresentar “condições técnicas, instalações físicas, equipamentos e recursos humanos adequados à prestação da atenção especializada em uma ou mais doenças raras” (BRASIL, 2014), enquanto o Serviço de Referência em Doenças Raras “possui condições técnicas, instalações físicas, equipamentos e recursos humanos adequados à prestação da atenção especializada para pessoas com doenças raras” (BRASIL, 2014).

Em consulta ao portal eletrônico do Ministério da Saúde, existem atualmente 8 (oito) instituições especializadas no atendimento de doenças raras, estando presentes na Capital Federal e nos Municípios de Anápolis – GO, Recife – PE, Curitiba – PR, Rio de Janeiro – RJ, Porto Alegre – RS, Santo André – SP e Salvador – BA (BRASIL, 2019). A existência de um número reduzido de Municípios que possuem condições específicas para o tratamento das doenças e para a prestação de outros cuidados revela um obstáculo significativo à efetivação do direito à saúde no país para os portadores de doenças raras. Observa-se, por exemplo, que os centros de referência estão limitados, majoritariamente, às capitais dos estados, o que tende a dificultar o acesso dos pacientes que vivem no interior do território nacional.

3.2 Medicamentos órfãos, judicialização e a Política Nacional de Doenças Raras

As dificuldades relacionadas ao alcance dos tratamentos de doenças raras pela população têm sido enfrentadas no Brasil por mecanismos de participação popular, como as consultas públicas realizadas pela CONITEC para a incorporação de tratamentos pelo SUS, e pela via judicial. O crescimento dos gastos com medicamentos para doenças raras é identificado no aumento das despesas com o componente

especializado de medicamentos (no qual estão incluídos os medicamentos para doenças raras) no âmbito federal.

Entre os anos de 2008 e 2015, o crescimento real do componente estratégico de assistência farmacêutica foi de 67,8%. Já o componente básico teve aumento um pouco acima de 5% em 2016, enquanto o período 2008-2015 observou decréscimo real dos investimentos no setor (MAGALHÃES; BEGHIN; DAVID, 2018, p. 14). No biênio 2016-2017, as medidas de austeridade implementadas no âmbito federal impactaram em maior proporção o componente especializado, que teve redução de 25,86%, enquanto os componentes básico e estratégico tiveram reduções, respectivamente, de 9,83% e 6,13% (MAGALHÃES; BEGHIN; DAVID, 2018, p. 19). Ainda assim, os gastos com o componente especializado representaram a proporção de 34,7% do total de R\$16.407,65 milhões destinados às aquisições de medicamentos.

Para compreender as alterações efetivadas no âmbitos das políticas públicas e na judicialização de doenças raras, a pesquisa buscou avaliar os pedidos de fornecimento de medicamentos no âmbito do Supremo Tribunal Federal e a incorporação de novos medicamentos pelo SUS.

Até o advento da Portaria nº 199 (BRASIL, 2014), um relatório da CONITEC (BRASIL, 2015a) publicado em maio de 2015 apontou que o SUS contava com protocolos específicos para o atendimento de 35 enfermidades distintas³. Em notícia publicada em 28 de fevereiro de 2019, a CONITEC informou que existem 40 protocolos que tratam de cuidados específicos para pessoas com doenças raras (BRASIL, 2019). Do total apresentado, 14 tiveram a inclusão de novos medicamentos no ano de 2018 (BRASIL, 2019).

Para comparar o avanço da política pública na incorporação de tratamentos com os pedidos realizados no âmbito judicial, procedeu-se à pesquisa da jurisprudência do Supremo Tribunal Federal. Para tanto, no dia 30 de dezembro de 2018, acessou-se o portal eletrônico do Supremo Tribunal Federal, clicando-se no item jurisprudência e, no subitem pesquisa livre. Nesse campo foram digitados os termos de busca “doença e rara”.

A busca realizada apontou os seguintes resultados: 5 acórdãos, nenhuma súmula, nenhuma súmula vinculante, 35 decisões monocráticas, 31 decisões da presidência, nenhuma questão de ordem e nenhuma repercussão geral.

O critério para a seleção dos julgados foi a identificação a existência de pedidos de fornecimento de medicamentos e/ou tratamentos para doenças raras, independentemente da apreciação do mérito ou do resultado da decisão⁴. Como o

3 Deve-se ressaltar que a existência de um Protocolo de Diretriz Clínica não necessariamente inclui medicamentos específicos para o tratamento das doenças. Dado o caráter de ampla abrangência das políticas públicas de saúde desenvolvidas no âmbito do SUS, os protocolos podem incluir procedimentos relacionadas à realização de exames ou de procedimentos cirúrgicos, atendimento por equipe multiprofissional, entre outros.

4 A não realização da apreciação do mérito das decisões pelo presente estudo pode ser explicado por alguns motivos. Considera-se que a mera provocação dos órgãos judiciais já é suficiente para a verificação da existência de controvérsias no tocante ao fornecimento de prestações de saúde. Desse modo, a recorrência das enfermidades

objetivo da pesquisa é analisar a relação entre os pedidos realizados no âmbito jurisprudencial e o desenvolvimento de políticas públicas no SUS, foram excluídas todas as decisões em que não foi possível identificar as enfermidades mencionadas nos julgados.

A tabela a seguir resume a coleta de dados realizada na pesquisa:

Tabela 1: resumo quantitativo dos julgados do Supremo Tribunal Federal quanto aos termos de pesquisa “doença” e “rara”

Tipo de documento pesquisado	Total de documentos retornados	Quantidade de documentos excluídos	Quantidade de documentos utilizados
Acórdão	5	2	3
Decisão monocrática	35	30	5
Decisão da presidência	31	13	18
Total	71	45	26

Fonte: Elaborado pelos autores

A seleção de julgados resultou na elaboração de outra tabela, em que foram apontadas as enfermidades discutidas nas decisões até o advento da Política Nacional de Doenças Raras – 30 de janeiro de 2014 – e também no período posterior, data em que foi encerrada a pesquisa dos julgados (19 de dezembro de 2018). A tabela utilizou apenas as decisões em que foi possível identificar as doenças e os respectivos medicamentos solicitados pelos pacientes.

Tabela 2 – Comparativo entre os medicamentos/tratamentos requeridos no âmbito da jurisprudência do STF e a incorporação (ou não) dos mesmos pelo SUS⁵

suscitadas no debate judicial tem o potencial de atrair a atenção dos agentes formuladores de políticas públicas quanto à priorização da atenção a determinadas enfermidades.

5 Foram consideradas as seguintes decisões para a elaboração da tabela: agravos em recurso extraordinário nº 1126190 (BRASIL, 2018d) e nº 952389 (BRASIL, 2016), agravo regimental na suspensão de liminar nº 558 (BRASIL, 2017a), agravo regimental na suspensão de tutela antecipada nº 761 (BRASIL, 2015b), medida cautelar na suspensão de segurança nº 5192 (BRASIL, 2017b), medida cautelar na suspensão de tutela provisória nº 24 (BRASIL, 2018c), suspensão de liminar nº 319 (BRASIL, 2009b), suspensões de segurança nº 4316 (BRASIL, 2011d), nº 4304 (BRASIL, 2011c), nº 3852 (BRASIL, 2010) e nº 3205 (BRASIL, 2007b), suspensões de tutela antecipada nº 761 (BRASIL, 2014), nº 558 (BRASIL, 2011e), nº 361 (BRASIL, 2009f), nº 175 (BRASIL, 2009c), nº 244 (BRASIL, 2008a), nº 198 (BRASIL, 2009d) e nº 277 (BRASIL, 2008b), suspensão de tutela provisória nº 24 (BRASIL, 2018e).

Doença	Tratamento requerido	Quantidade de pedidos até 30 de janeiro de 2014	Quantidade de pedidos entre 31 de janeiro de 2014 e 30 de dezembro de 2018	Total	Existia protocolo do SUS quando da realização dos pedidos no âmbito do STF?	Existia protocolo do SUS quando da promulgação da Portaria 199/2014?	O tratamento requerido foi incorporado pelo SUS até 30 de dezembro de 2018?
Hemoglobinúria paroxística noturna	Medicamento Soliris (eculizumad)	2	3	5	Não	Não	Sim ⁶
Atrofia Muscular Espinhal Tipo 1	Medicamento Spinraza (Nusinersen)	-	3	3	Não	Não	Não
Mucopolissacaridose tipo VI	Medicamento naglazyme (galsulfase)	3	-	3	Não	Não	Sim ⁷
Doença de Pompe	Medicamento alfaglicosidas e (Myosyme)	1	1	2	Não	Não	Não
Doença de Niemann-Pick tipo C	Medicamento Zavescka (miglustat)	1	-	1	Não	Não	Sim
Esclerose múltipla	REBIF 44 mg (betainterfero na 1ª recombinante)	1	-	1	Sim	Sim	Sim

6 Até a data de realização da consulta à relação de Protocolos de Diretrizes Clínicas fornecida pela CONITEC, não havia sido publicado protocolo específico para a hemoglobinúria paroxística noturna. No entanto, em notícia publicada em 24 de dezembro de 2018 (BRASIL, 2018b), a CONITEC informa que foi aprovado protocolo que será posteriormente publicado.

7 Até a data de realização da consulta à relação de Protocolos de Diretrizes Clínicas fornecida pela CONITEC, não havia sido publicado protocolo específico para a mucopolissacaridose tipo VI. No entanto, em notícia publicada em 28 de dezembro de 2018 (BRASIL, 2018a), a CONITEC informa que foi aprovado protocolo que será posteriormente publicado.

Hiperinsulinismo congênito	Diazóxido	1	-	1	Não	Não	Não
Leucemia mieloide crônica	Medicamento Tassigna (Nilotinibe)	1	-	1	Não	Não	Sim
Mucopolissacaridose tipo II	Medicamento Elapraxe (Idursulfase)	1	-	1	Não	Não	Sim
Síndrome colestática crônica	Medicamento Ursacol 300mg	-	1	1	Não	Não	Sim

Fonte: Elaborado pelos autores

As informações coletadas apresentam alguns aspectos relevantes para a compreensão da temática. Verifica-se que a maioria dos tratamentos requeridos no âmbito da jurisprudência do Supremo Tribunal Federal até o advento da Portaria nº 199 (BRASIL, 2014) não estavam incluídos nas políticas públicas do SUS. Excepcionalmente, o pedido de fornecimento de medicamento Rebif 44 mg para o tratamento de esclerose múltipla trata do cumprimento de prestação à época incluída no âmbito das políticas públicas de saúde, conforme indicado na suspensão de tutela antecipada nº 277 (BRASIL, 2008b).

No caso dos pedidos de tratamento para a fenilcetonúria, não foi possível identificar os tratamentos requeridos nas decisões, o que justificou a não inclusão da enfermidade na tabela.⁸ Também não foram incluídos na tabela, em razão dos pedidos não contemplarem medicamentos, os casos de doença de xarope de bordo na urina e de *status* marmóreo, presentes, respectivamente, na suspensão de tutela antecipada nº 36 (BRASIL, 2005) e no recurso extraordinário nº 248304 (BRASIL, 2001c).

Analisada a tabela, verifica-se que foram apreciados pedidos de tratamentos de saúde para 10 enfermidades raras distintas, sendo a primeira decisão publicada em 13 de fevereiro de 1997 – a medida cautelar na petição nº 1246 (BRASIL, 1997) - e a última em 15 de agosto de 2018 – a suspensão de tutela antecipada nº 24 (BRASIL, 2018e). Antes da publicação da Portaria 199 (BRASIL, 2014), os pedidos mais recorrentes foram para o tratamento de mucopolissacaridose tipo VI. No tocante à mucopolissacaridose tipo VI, tem-se a aprovação recente de protocolo específico para

⁸ Ressalte-se que o primeiro protocolo específico para a doença identificado por esta pesquisa foi publicado em período de tempo relativamente distante do momento em que foram apreciados os pedidos pelo STF. Enquanto os recursos extraordinários nº 198265 (BRASIL, 2001b), nº 198263 (BRASIL, 2001a) e nº 195192 (BRASIL, 2000) foram apreciados no início dos anos 2000, a Portaria nº 1.307 (BRASIL, 2013) foi instituída em 2013. Atualmente, há previsão de tratamento específico para fenilcetonúria no âmbito do SUS, conforme a Portaria nº 1.307 (BRASIL, 2013).

o tratamento da enfermidade, sendo incorporado o medicamento Naglazyme (princípio ativo: galsulfase) ao SUS (BRASIL, 2018a).

Comparados os períodos de criação da política pública e o momento em que foi realizada esta pesquisa, nota-se um significativo aumento no número de protocolos destinados às doenças raras. Até a publicação da Portaria nº 199 (BRASIL, 2014), enquanto o total de doenças identificadas com os respectivos medicamentos solicitados nas decisões foi 8, o número de protocolos correspondentes existentes até a instituição da programa foi 2. Considerado todo o período avaliado na pesquisa, enquanto as espécies de doenças identificadas nas decisões foram 10, o número total de protocolos publicados ou aprovados para as mesmas subiu para 7 até a data final da pesquisa – 30 de dezembro de 2019.

4 O DIREITO À SAÚDE EM PORTUGAL

Novais (2013, p. 333) leciona que o legislador constituinte português adotou duas principais linhas de tratamento dos direitos fundamentais sociais. Primeiramente, deve-se destacar que os direitos fundamentais, neles incluídos o direito à saúde, foram extensivamente sistematizados em seu texto. Em segundo lugar, o regime português conferiu posição privilegiada aos direitos de liberdade. Trata-se, segundo Novais (2013, p. 334), de uma aceitação “tácita” da condição privilegiada destes na ordem constitucionais. Registre-se que tal aceitação é controversa, na medida em que, assim como no Brasil, embora estejam os direitos sociais consagrados a par do rol de direitos de liberdade, a sua positivação suscita a inexistência de distinções efetivas quanto ao seu regime de proteção (NOVAIS, 2013, p. 344).

Assim como no Brasil, existem discussões quanto à efetividade dos direitos de natureza social ante a sua dependência de conformação legislativa e de sujeição à existência de disponibilidade financeira para a sua concretização em Portugal (NOVAIS, 2013, p. 334-335). Por corresponderem a direitos que invocam a realização de prestações materiais pelo Estado, eles vinculam-se à noção de justiça material, visto que são destinados especialmente àqueles que não têm recursos próprios para o alcance de bens e serviços essenciais. Trata-se da busca pela efetivação de um mínimo existencial (NOVAIS, 2013, p. 40-42).

No tocante à saúde, considerando o papel de reestruturação democrática concretizado com a Constituição da República Portuguesa (PORTUGAL, 1976), o artigo 64 de seu texto consagrou-a como direito fundamental, consubstanciada sua proteção por meio da organização do Serviço Nacional de Saúde – SNS (BRAVO, 2010, p. 206).

As políticas de saúde desenvolvidas em Portugal podem ser classificadas em dois principais períodos. O primeiro, compreendido entre os anos de 1970 e 1985, tem como referencial a implantação e o desenvolvimento do Sistema Nacional de Saúde, sendo a Constituição (PORTUGAL, 1976) responsável por estabelecer a proteção da saúde como uma tarefa a cargo do Estado a ser prestada de forma universal e gratuita (BRAVO, 2010, p. 206-207). O surgimento do SNS advém das reformas sanitária e assistencial empreendidas a partir do Decreto-Lei nº 413 (PORTUGAL, 1971), também conhecido como “reforma de Gonçalves Ferreira”. No âmbito dessa reforma, foi criado o Ministério da Saúde e Assistência, que tem como princípios a universalidade do direito à saúde garantida por meio da ação estatal (GOMES, 2014, p. 19).

O segundo momento, que tem início após 1985, tem como fundamento a incorporação do sistema privado de saúde ao setor público (BRAVO, 2010, p. 207). No período, são realizadas alterações normativas e institucionais no âmbito do SNS, como a atribuição de responsabilidade compartilhada pelos cidadãos e pelo Estado no cuidado com a saúde – anteriormente a responsabilidade incumbia predominantemente ao Estado –, a criação do seguro-saúde, a previsão de taxas moderadoras a serem cobradas pelo SNS e a possibilidade de prestação dos serviços para o setor público através da participação de convênios e de cooperativas médicas privadas (BRAVO, 2010, p. 207).

No contexto de alterações do plano normativo em matéria de saúde, a Segunda Revisão Constitucional, realizada no ano de 1989, alterou a redação da alínea “a” do n.º 2 do artigo 64 (PORTUGAL, 1976), com a previsão de que o direito à saúde é universal e geral, porém “tendencialmente gratuito”. Assentou-se, naquele momento, a possibilidade de cobrança pelos serviços públicos de saúde, sendo confirmada pela Lei nº 48 (PORTUGAL, 1990).

De acordo com a Base XXXIII da Lei nº 48 (PORTUGAL, 1990), o custeio dos serviços de saúde não é exclusivo do Estado, podendo haver a cobrança dos usuários dos serviços nas hipóteses previstas em suas alíneas. Ademais, a Base XXXIV institui as taxas moderadoras. Por meio delas, são criadas outras fontes de receita⁹ para o sistema de saúde que têm como objetivo “completar as medidas reguladoras do uso dos serviços de saúde” (PORTUGAL, 1990). A isenção das taxas moderadoras para grupos economicamente desfavorecidos demanda a realização de regulação específica para tanto, conforme indica a Base XXXIV, “2”, da Lei nº 48 (PORTUGAL, 1990).

⁹ Deve-se ressaltar que a função das taxas moderadoras é preponderantemente de racionalização dos serviços de saúde, visto que o percentual, em média, do valor arrecadado com as referidas taxas geralmente não ultrapassa 2% do total da receita do Serviço Nacional de Saúde (PORTUGAL, 2013, p. 14). Nos anos de 2011, 2012 e 2013, a proporção referente ao total das receitas do sistema público de saúde português correspondeu aos percentuais de, respectivamente, 0,74%, 0,95% e 1,69% (PORTUGAL, 2013, p. 96).

Comparados os sistemas de saúde português e brasileiro, é possível identificar semelhanças e diferenças entre eles.

Ambos os sistemas consagram a saúde como direito fundamental social, sendo estruturados em políticas públicas dirigidas à satisfação das necessidades sociais. Asensi (2013, p. 807) ressalta, contudo, que o tratamento conferido constitucionalmente ao referido direito no Brasil reforça a exigibilidade do referido direito em maior medida do que em Portugal, sendo comum a sua judicialização.

Ambos têm como fundamento a formulação de sistemas de saúde públicos em momentos históricos semelhantes (início do período de redemocratização). As semelhanças desses modelos podem ser destacadas pelas ideias de universalidade, participação social, prestação de serviços que abarcam desde a baixa até a alta complexidade, e regionalização. O caráter público e universal dos sistemas não é idêntico para ambos os países. Conforme assinala Asensi (2013, p. 807), o caráter público e universal da saúde no Brasil é acompanhado de precarização na realização dos serviços de baixa e média complexidade. Em Portugal, o caráter público do sistema de saúde não significa que haja a gratuidade dos serviços fornecidos, existindo a cobrança de taxas moderadoras.

Ademais, a participação social no desenho das políticas públicas de saúde é essencial em ambos os países. Destarte, o Brasil tem como veículos de participação popular os Conselhos e Conferências de Saúde, espaços em que o debate público é institucionalizado. Por seu turno, a participação popular em Portugal ocorre majoritariamente por meio de instrumentos informais. Registre-se que as tentativas de implantação de sistemas de participação oficiais tiveram baixa adesão dos cidadãos portugueses, sendo mais frequente o recurso à realização de manifestações populares e de queixas individuais para a reivindicação dos direitos sociais (ASENSI, 2013, p. 807).

Ambos os sistemas apresentam estruturas regionalizadas dos serviços. No Brasil, tal modelo é viabilizado pela descentralização político-administrativa, sendo conferidas aos entes federativos tarefas específicas, como o atendimento básico para Municípios, os serviços de média e alta complexidade para os Estados e a organização do sistema pela União. A descentralização vincula-se à formação dos canais de participação popular em cada instância decisória. A regionalização do sistema português assume contornos próprios, na medida em que observa apenas a divisão administrativa controlada pelo governo português de acordo com um modelo de gerencial de racionalização dos recursos. Não há, portanto, a vinculação entre a descentralização e a criação de instâncias participativas (ASENSI, 2013, p. 808).

4.1 O direito à saúde em Portugal e as doenças raras

No âmbito das políticas públicas dirigidas às doenças raras em Portugal, foi instituída a Estratégia Integrada para as Doenças Raras 2015-2020. O plano, criado pelo Despacho n.º 2129-B (PORTUGAL, 2015), tem como premissa a “cooperação interministerial, intersectorial e interinstitucional” para o desenvolvimento e a melhoria dos seguintes aspectos nas políticas públicas relativas às doenças raras: “1. A coordenação dos cuidados; 2. O acesso ao diagnóstico precoce; 3. O acesso ao tratamento; 4. A informação clínica e epidemiológica; 5. A investigação; 6. A inclusão social e a cidadania” (PORTUGAL, 2015).

As medidas tomadas no âmbito da política sanitária indicam alguns aspectos relevantes. Em relatório elaborado pela Direção-Geral de Saúde de Portugal referente à situação do país no ano de 2016, foi divulgada uma pesquisa que analisou a capacidade de atendimento e de especialização dos grandes centros de saúde no tocante ao fornecimento de cuidados para portadores de doenças raras. De acordo com a pesquisa, dos 7 grandes centros de saúde investigados, apesar de todos prestarem, em maior ou maior medida, recursos para o tratamento do grupo específico, apenas 1 deles é especializado no atendimento de portadores de doenças raras¹⁰ (PORTUGAL, 2016, p. 4). Embora esse centro de saúde forneça cuidados específicos, a pesquisa ressalta que se trata de instituição de natureza privada, o que condiciona o seu acesso à capacidade econômica (PORTUGAL, 2016, p. 4).

No tocante à coordenação dos cuidados, o relatório de 2016 apontou a necessidade de estabelecimento 3 diretrizes clínicas quanto ao diagnóstico e à referenciação das seguintes enfermidades e grupos etários: 1) paramiloidose em adolescentes e adultos; 2) doenças hereditárias do metabolismo em crianças e adultos; 3) cancros em crianças. Conforme observado pelo relatório do ano seguinte, tais metas foram cumpridas, sendo estabelecidas normas clínicas a serem observadas pelos centros de saúde no diagnóstico e no tratamento das doenças supracitadas (PORTUGAL, 2017, p. 4).

O relatório de 2017 ainda apontou algumas outras metas relativas à coordenação de cuidados. Nesse sentido, foram realizadas iniciativas de modo a ampliar a divulgação do Cartão da Pessoa com Doença Rara perante a população. Criado de modo a proporcionar maior atenção aos portadores de doenças raras, o Cartão da Pessoa com Doença Rara deve ser requisitado pelo médico assistente

¹⁰ Deve-se ressaltar que a avaliação dos centros de saúde engloba a avaliação de cuidados quanto às atividades de fisioterapia, terapia da fala, terapia ocupacional, hipoterapia, terapia assistida por animais, hidroterapia, musicoterapia, ensino especializado, entre outros cuidados específicos.

hospitalar, no âmbito da unidade de saúde, para cada paciente. A utilização do cartão tem como objetivos: 1) disponibilizar informações quanto ao estado de saúde de cada paciente nos atendimentos de urgência e/ou emergência; 2) permitir o registro de informações clínicas importantes dos pacientes, o que inclui formato acessível e acompanhamento dos diferentes níveis de cuidados de saúde; c) agilizar o processo de encaminhamento do paciente o centro de saúde mais adequado às suas necessidades (PORTUGAL, 2017, p. 4). A atual configuração do modelo português possibilita que todos os hospitais públicos e privados possam requisitar o cartão (PORTUGAL, 2017, p. 5).

No tocante ao diagnóstico precoce, o relatório de 2016 aponta o aprimoramento de testes genéticos dirigidos ao diagnóstico de doenças hereditárias, especialmente aplicados a recém-nascidos, além da formulação de uma norma clínica dirigida ao tratamento e a realização de testes genéticos (PORTUGAL, 2016, p. 5). As medidas verificadas no relatório de 2017 tiveram como principal meta alcançada a formulação de uma norma de “Prescrição, Execução Laboratorial e Tratamento da Informação de Testes Genéticos relacionados com a Saúde em Idade Pediátrica e no Adulto” (PORTUGAL, 2017, p. 6).

Relativamente ao acesso da população aos tratamentos de saúde, o relatório de 2016 identificou iniciativas dirigidas à organização dos centros de saúde e ao seu reconhecimento como unidades habilitadas ao cuidado de portadores de doenças raras. As ações tiveram o escopo de aumentar o acesso aos serviços de saúde e de melhorar a sua qualidade (PORTUGAL, 2016, p. 5). O relatório de 2017 demonstrou a realização de atividades direcionadas à atualização das informações disponíveis na versão portuguesa do portal eletrônico Orphanet¹¹, o que resultou na catalogação dos avanços científicos empreendidos naquele país e no mundo todo e na facilitação do seu acesso aos pacientes e profissionais de saúde portugueses. Além disso, no mesmo ano foram reconhecidos 10 novos centros para o cuidado com as doenças raras. Foram também aprovados 14 medicamentos órfãos no âmbito do Sistema Nacional de Saúde (PORTUGAL, 2017, p. 7).

No tocante às informações clínicas e epidemiológicas, o relatório de 2016 apontou que o governo português buscou incentivar a utilização do sistema de informações Orphanet, tratando-o como meio de informações de referência em matéria de doenças raras. Nesse sentido, procedeu-se à reunião de informações das

11 Segundo as informações disponibilizadas na página eletrônica da instituição, a Orphanet é uma instituição criada na França, em 1997, que tem como objetivo reunir informações sobre doenças raras – com enfoque no diagnóstico, nos cuidados e no tratamento das enfermidades. Trata-se de uma iniciativa resultante de um conjunto de ações de diversos países europeus que, a partir de 2000, passou a contar com suporte da Comissão Europeia, órgão executivo da União Europeia (ORPHANET, 2019).

diversas pesquisas realizadas no país e a sua divulgação no referido portal. Foram também realizados esforços no sentido de ampliação do acesso ao Cartão da Pessoa com Doenças Raras (PORTUGAL, 2016, p. 7).

No âmbito da pesquisa, o relatório de 2016 demonstrou o levantamento de dados quanto aos projetos científicos realizados em Portugal nos 5 anos anteriores, o que resultou na identificação de um total de 23 projetos em curso no período (PORTUGAL, 2016, p. 7-9). Outro levantamento foi realizado nos mesmos moldes no ano seguinte (PORTUGAL, 2017, p. 9). O relatório de 2017 revela a promoção de uma reunião científica internacional voltada ao debate de tendências na pesquisa de doença raras. Nesse sentido, foram traçados parâmetros para 1) o mapeamento e o diagnóstico das enfermidades; 2) o desenvolvimento de modelos, e instrumentos terapêuticos; e 3) a definição de recursos para o auxílio de pacientes e familiares (PORTUGAL, 2017, p. 8-9).

Por fim, no que concerne às estratégias de inclusão social e cidadania, o relatório de 2016 aponta o objetivo de estimular a participação das associações de pacientes no diálogo e na atenção às suas necessidades. Foi também organizada uma espécie de questionário quanto à satisfação dos serviços no cuidado dos pacientes com essas doenças, o que envolve não só a saúde, mas também a educação e o setor social. A previsão de aplicação dessa iniciativa estava prevista para 2017 (PORTUGAL, 2016, p. 10). Contudo, o relatório de 2017 revelou que tal política não foi executada no momento inicialmente previsto (PORTUGAL, 2017, p. 6), sendo prevista sua efetivação em 2018 (PORTUGAL, 2017, p. 5).

4.2 O acesso a medicamentos órfãos no âmbito do Sistema Nacional de Saúde

Conforme observado, o SNS não é totalmente gratuito. Relativamente ao acesso a medicamentos, é previsto o regime de coparticipação, em que Estado e particulares custeiam cada qual parte dos medicamentos. De modo a dispor quanto ao regime de coparticipação, o Decreto-Lei n.º 118 (PORTUGAL, 1992) estabelece os grupos de medicamentos e os percentuais de custeio a cargo do Estado de acordo com as doenças às quais são dirigidos os medicamentos. Tal regime abarca desde o custeio integral por parte do Estado, o que é aplicado a medicamentos considerados de elevada essencialidade, como aqueles referentes a doenças crônicas, que atingem substancialmente a qualidade de vida das pessoas, até proporções menores de custeio dos medicamentos. A coparticipação também é definida de acordo com determinados

grupos populacionais, beneficiando a população de baixa renda com o aumento da proporção do custeio estatal dos medicamentos¹².

A coparticipação envolve outros critérios na racionalização do acesso a medicamentos, conforme prevê o artigo 6º do Decreto-Lei nº 118 (PORTUGAL, 1992). Assim, são abrangidos desde medicamentos novos para os quais não há nenhum outro tratamento prévio oferecido pela rede pública de saúde, até medicamentos que apresentam a mesma composição química e a mesma eficácia mas que têm preço inferior aqueles àqueles já integrantes das políticas públicas do SNS.

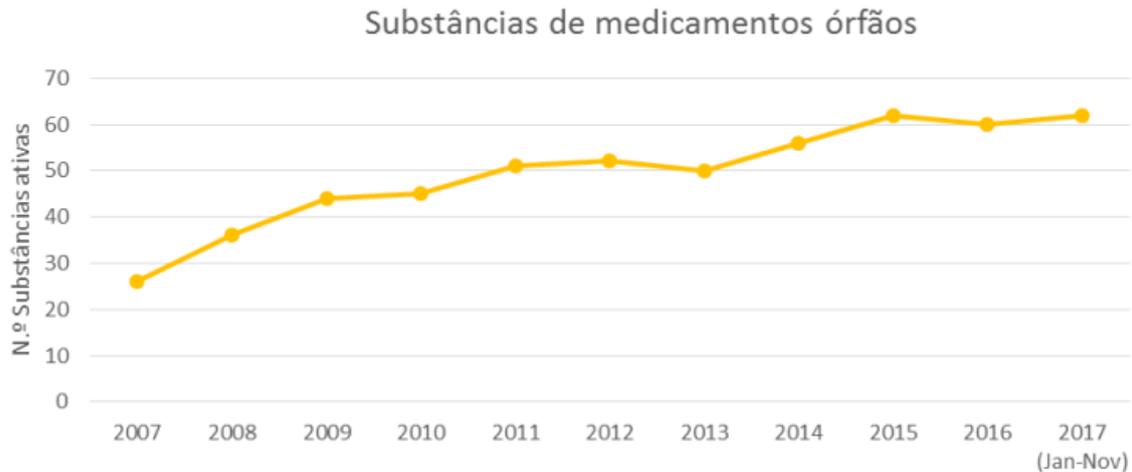
No tocante aos medicamentos órfãos, as ações empreendidas no âmbito do SNS têm resultado no crescimento da oferta de tratamentos farmacêuticos destinados às doenças raras. Até o ano de 2017, um levantamento oficial realizado pela Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde – INFARMED, I. P., agência portuguesa de vigilância de medicamentos e de produtos de saúde, apontou a existência de 62 fármacos disponíveis para tratamento de doenças raras no país (PORTUGAL, 2018). As informações disponibilizadas pela INFARMED, I. P., ainda indicam o investimento público total em 89,2 milhões de euros para o período compreendido entre janeiro e novembro de 2017, o que representa a proporção de 8% do peso com gastos com medicamentos nos hospitais do SNS, taxa que tem sido mantida relativamente estável ao longo do tempo (PORTUGAL, 2018).

A manutenção da proporção dos gastos com medicamentos órfãos em Portugal pode ser explicada por alguns fatores. Como o marco regulatório europeu destinado ao desenvolvimento de medicamentos órfãos prevê um prazo de validade de 10 anos para o exercício dos direitos de comercialização dos produtos com exclusividade pelo laboratório patrocinador, é esperado que, com o fim desse prazo, haja a diminuição dos custos na aquisição desses produtos, ante a possibilidade de estabelecimento de concorrência no mercado farmacêutico, o que permite, por exemplo, a substituição dos medicamentos utilizados por genéricos (SOUSA, 2016, p. 47). Outro razão é que, apesar do aumento substancial do número de medicamentos designados órfãos, esse número não é acompanhado pela sua aprovação no âmbito dos órgãos oficiais de saúde (SOUSA, 2016, p. 47). A evolução do número de substâncias disponíveis no âmbito do Sistema Nacional de Saúde pode ser melhor explicitada na imagem a seguir:

Figura 1 – Evolução de substâncias relacionadas a medicamentos órfãos em Portugal

Fonte: Portugal (2018)

12 Nesse sentido, ver o artigo 3º do Decreto-Lei nº 118 (PORTUGAL, 1992), que abrange “pensionistas que auferiram pensões de montante não superior ao salário mínimo”.



CONSIDERAÇÕES FINAIS

O artigo teve como objetivo promover um estudo comparado das políticas públicas implementadas pelo Brasil e por Portugal na efetivação do direito à saúde em matéria de doenças raras. Para tanto, foram analisados alguns aspectos peculiares à temática das doenças raras.

Em sequência, o estudo conduzido investigou alguns dos principais marcos normativos em matéria de políticas de públicas de saúde no Brasil, sendo discutidas algumas das implicações derivadas do seu tratamento constitucional.

De modo a traçar um panorama das políticas públicas em matéria de doenças raras, o trabalho teceu considerações críticas acerca do seu principal marco regulatório, a Portaria nº 199 (BRASIL, 2014).

Como a discussão vincula-se à judicialização da oferta de medicamentos órfãos, buscou-se relacionar os pedidos de fornecimento de tratamentos para doenças raras no âmbito do Supremo Tribunal Federal com a formulação de Protocolos Clínicos e Diretrizes Farmacêuticas no âmbito do Sistema Único de Saúde.

Em Portugal, a avaliação das políticas públicas para doenças raras foi feita por meio da análise de informações disponibilizadas em fontes oficiais e não oficiais acerca dos tratamentos de saúde disponibilizados à população através do Sistema Nacional de Saúde e da implantação da Estratégia Integrada para as Doenças Raras 2015-2020. No tocante ao acesso a medicamentos para doenças raras, ressaltou-se o regime de coparticipação do SNS. Apesar do aumento no número de medicamentos ofertados pela rede pública de saúde, foram apontadas algumas razões que justificam a tendência de estabilização dos gastos públicos com relação a tal matéria.

A investigação das políticas públicas de saúde em Brasil e Portugal permitiu observar que, resguardadas as peculiaridades de cada país, esforços têm sido dirigidos

à efetivação do direito fundamental à saúde em matéria de doenças raras, o que suscita o escopo de densificação dos princípios da universalidade e da integralidade.

REFERÊNCIAS:

AITH, Fernando Mussa Abujamra. Direito à saúde e democracia sanitária: experiências brasileiras. *Revista de Direito Sanitário*, [s.l.], v. 15, n. 3, p.85-90, 14 abr. 2015. Universidade de Sao Paulo Sistema Integrado de Bibliotecas - SIBiUSP. <http://dx.doi.org/10.11606/issn.2316-9044.v15i3p85-90>. Disponível em: <http://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/97328>. Acesso em: 31 jan. 2019.

AITH, Fernando Mussa Abujamra *et al.* Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. *Revista de Direito Sanitário*, São Paulo, v. 15, n. 1, p.10-39, mar./jun. 2014. Disponível em: <http://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/82804>. Acesso em: 22 jan. 2019.

ALEXY, Robert. *Teoria dos direitos fundamentais*. Tradução de Virgílio Afonso da Silva. 2. ed. São Paulo: Malheiros, 2011.

ASENSI, Felipe Dutra. Saúde, Poder Judiciário e sociedade: uma análise de Brasil e Portugal. *Physis*, Rio de Janeiro, v. 3, n. 23, p.801-820, ago. 2013. Disponível em: http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0103-73312013000300008&script=sci_abstract&tlng=pt. Acesso em: 09 fev. 2019.

BRASIL. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. *DOENÇAS RARAS: Governo, Especialistas e Pacientes juntos por um Sistema de Saúde Público inclusivo*. 2019. Disponível em: <http://conitec.gov.br/doencas-raras-governo-especialistas-e-pacientes-juntos-por-um-sistema-de-saude-publico-inclusivo>. Acesso em: 02 abr. 2019.

BRASIL. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS. *Ministério da Saúde incorpora medicamentos para mucopolissacaridose ao SUS*. 2018. Disponível em: <http://conitec.gov.br/ultimas-noticias-3/ministerio-da-saude-incorpora-medicamentos-para-mucopolissacaridose-ao-sus>. Acesso em: 12 fev. 2019.

BRASIL. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS. *SUS passa a ofertar eculizumabe*. 2018. Disponível em: <http://conitec.gov.br/ultimas-noticias-3/sus-passa-a-ofertar-eculizumabe>. Acesso em: 12 fev. 2019.

BRASIL. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS. *Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras*.

Brasília: Ministério da Saúde, 2015. Disponível em:
http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatrio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf. Acesso em: 11 fev. 2019.

BRASIL. Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Brasília. Disponível em:
http://www.planalto.gov.br/CCIVIL_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm. Acesso em: 11 fev. 2019.

BRASIL. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Brasília. Disponível em:
http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Lei/L12401.htm. Acesso em: 11 fev. 2019.

BRASIL. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Brasília. Disponível em:
http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html. Acesso em: 04 fev. 2019.

BRASIL. Portaria nº 204, de 29 de janeiro de 2007. Brasília. Disponível em:
http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2007/prt0204_29_01_2007_comp.html. Acesso em: 04 fev. 2019.

BRASIL. Portaria nº 1.307, de 22 de novembro de 2013. Brasília. Disponível em:
<http://portalarquivos.saude.gov.br/images/pdf/2014/abril/02/pcdt-fenilcetonuria-livro-2013.pdf>. Acesso em: 02 abr. 2019.

BRASIL. Portaria nº 2.981, de 26 de novembro de 2009. Brasília. Disponível em:
<http://www1.saude.rs.gov.br/dados/1332344988133Portaria%20GM%20MS%20n.%202981%20de%2026-11-2009.pdf>. Acesso em: 14 abr. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Agravo Regimental na Suspensão de Liminar nº 558. Relator: Cármen Lúcia. Brasil, DF, 08 de agosto de 2017. *Dje*. Brasília, 25 ago. 2017. Disponível em:
<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28SL+558%29&base=baseAcordaos&url=http://tinyurl.com/ycawwafz>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Agravo Regimental na Suspensão de Tutela Antecipada nº 761. Relator: Ministro Ricardo Lewandowski. Brasília, DF, 07 de maio de 2015. *Dje*. Brasília, 29 maio 2015. Disponível em:
<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28STA+761%29&base=baseAcordaos&url=http://tinyurl.com/y26b9bqw14>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Medida Cautelar na Petição nº 1246. Relator: Ministro Sepúlveda Pertence. Brasília, DF, 31 de setembro de 1997. *Dj*. Brasília, 13

fev. 1997. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28PET+1246%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/yxpn dkoo>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Medida Cautelar na Suspensão de Segurança nº 5192. Relator: Ministra Cármen Lúcia. Brasília, DF, 07 de agosto de 2017. *Dje*. Brasília, 16 ago. 2017. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28SS+5192%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/y7734x qz>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Medida Cautelar na Suspensão de Tutela Provisória nº 24. Relator: Ministra Cármen Lúcia. Brasília, DF, 25 de abril de 2018.

Dje. Brasília, 03 maio 2018. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STP+24%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/y38hmb bp>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário Com Agravo nº 952389. Relator: Ministro Dias Toffoli. Brasília, DF, 24 de agosto de 2016. *Dje*. Brasília, 09 set. 2016. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28952389%29%29+NAO+S%2EPRES%2E&base=baseMonocraticas&url=http://tinyurl.com/y6qbz89j>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário com Agravo nº 1126190. Relator: Ministro Celso de Mello. Brasília, DF, 04 de maio de 2018. *Dje*. Brasília, 17 maio 2018. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%281126190%29%29+NAO+S%2EPRES%2E&base=baseMonocraticas&url=http://tinyurl.com/y4ycs6sz>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário nº 195192. Relator: Ministro Marco Aurélio. Brasília, DF, 22 de fevereiro de 2000. *Dj*. Brasília, 31 mar. 2000. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28195192%29&pagina=3&base=baseAcordaos&url=http://tinyurl.com/j3b5nux>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário nº 198263. Relator: Ministro Sydney Sanches. Brasília, DF, 12 de fevereiro de 2001. *Dj*. Brasília, 30 mar. 2001. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28198263%29%29+NAO+S%2EPRES%2E&base=baseMonocraticas&url=http://tinyurl.com/y a2w7lpx>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário nº 198265. Relator: Ministro Celso de Mello. Brasília, DF, 19 de setembro de 2001. *Dj*. Brasília, 21 nov. 2001. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28198265%29%29+NAO+S%2EPRES%2E&base=baseMonocraticas&url=http://tinyurl.com/y 6ma3mzg>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário nº 248304. Relator: Ministro Celso de Mello. Brasília, DF, 19 de setembro de 2001. *Dj*. Brasília, 13 dez. 2001. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28248304%29%29+NAO+S%2EPRES%2E&base=baseMonocraticas&url=http://tinyurl.com/y 8lsy74s>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Liminar nº 319. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Brasília, DF, 28 de outubro de 2009. *Dje*. Brasília, 05 nov. 2009. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28SL+319%29%29+E+S%2EPRES%2E&pagina=3&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/ybrzfxq>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Segurança nº 3205. Relator: Ministra Ellen Gracie. Brasília, DF, 31 de maio de 2007. *Dj*. Brasília, 08 jun. 2007. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28SS+3205%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/yy3kmc34>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Segurança nº 3852. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Brasília, DF, 07 de abril de 2010. *Dje*. Brasília, 15 abr. 2010. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28SS+3852%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/yxqpdr9>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Segurança nº 4304. Relator: Ministro Cezar Peluso. Brasília, DF, 19 de abril de 2011. *Dje*. Brasília, 02 maio 2011. Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28SS+4>

304%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/y64tfrpn. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Segurança nº 4316. Relator: Ministro Cezar Peluso. Brasília, DF, 07 de junho de 2011. *Dje*. Brasília, 13 jun. 2011.

Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28SS+316%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/yxjxcvy2>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 24. Relator: Ministra Cármen Lúcia. Brasília, DF, 14 de agosto de 2018. *Dje*. Brasília, 15 ago. 2018.

Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STP+24%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/y38hmbbp>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 36. Relator: Ministro Nelson Jobim. Brasília, DF, 21 de setembro de 2005. *Dj*. Brasília, 27 set. 2005.

Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA+36%29%29+E+S%2EPRES%2E&pagina=12&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/ya3q3ujw>. Acesso em: 15 fev. 2019

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 175. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Brasília, DF, 18 de setembro de 2009. *Dje*. Brasília, 28 set. 2009.

Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA+175%29%29+E+S%2EPRES%2E&pagina=4&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/jm464rl>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 198. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Brasília, DF, 22 de dezembro de 2008. *Dje*. Brasília, 03 fev. 2009.

Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA+198%29%29+E+S%2EPRES%2E&pagina=4&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/yx9xf9h3k>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 244. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Brasília, DF, 11 de novembro de 2008. *Dje*. Brasília, 18 nov. 2008.

Disponível em:

<http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA>

+244%29%29+E+S%2EPRES%2E&pagina=2&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/y7ah3n8b. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 277. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Brasília, DF, 01 de dezembro de 2008. *Dje*. Brasília, 09 dez. 2008. Disponível em: <http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA+277%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/yy2egd3>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 361. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Brasília, DF, 20 de novembro de 2009. *Dje*. Brasília, 27 nov. 2009. Disponível em: <http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA+361%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/yyhyn3nt>. Acesso em: 15 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 558. Relator: Ministro Cezar Peluso. Brasília, DF, 02 de setembro de 2011. *Dje*. Brasília, 14 set. 2011. Disponível em: <http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA+558%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/y3e5337u>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal. Suspensão de Tutela Antecipada nº 761. Relator: Ministro Ricardo Lewandowski. Brasília, DF, 26 de novembro de 2014. *Dje*. Brasília, 01. Disponível em: <http://www.stf.jus.br/portal/jurisprudencia/listarJurisprudencia.asp?s1=%28%28STA+761%29%29+E+S%2EPRES%2E&base=basePresidencia&url=http://tinyurl.com/y26b9bqw>. Acesso em: 14 fev. 2019.

BRAVO, Maria Inês Souza. A saúde no Brasil e em Portugal na atualidade: o desafio de concretizar direitos. *Serviço Social & Sociedade*, [s.l.], n. 102, p.205-221, jun. 2010. FapUNIFESP (SciELO). <http://dx.doi.org/10.1590/s0101-66282010000200002>. Disponível em: <http://www.scielo.br/pdf/sssoc/n102/a02n102.pdf>. Acesso em: 08 fev. 2019.

DALLARI, Sueli Gandolfi. A construção do direito à saúde no Brasil. *Revista de Direito Sanitário*, São Paulo, v. 9, n. 3, p.9-34, 1 nov. 2008. Universidade de São Paulo Sistema Integrado de Bibliotecas – SIBiUSP. <http://dx.doi.org/10.11606/issn.2316-9044.v9i3p9-34>. Disponível em: <http://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/13128>. Acesso em: 17 dez. 2018.

DALLARI, Sueli Gandolfi; MAGGIO, Marcelo Paulo. A efetivação jurídico-política do direito à saúde no Supremo Tribunal Federal: a referência paradigmática da SL 47 -AGR/PE. *Revista de Direito Sanitário*, v. 17, n. 3, p. 58-76, 9 mar. 2017. Disponível em: <http://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/127776>. Acesso em 12 abr. 2019.

EURORDIS. *Acerca das Doenças Raras*. Disponível em: <https://www.eurordis.org/pt-pt/doencas-raras>. Acesso em: 02 abr. 2019.

[FIGUEIREDO, Mariana Filchtiner](#). Algumas notas sobre a eficácia e a efetividade do direito fundamental à saúde no contexto constitucional brasileiro. *Boletim do Instituto de Saúde*, v. 12, p. 220-226, 2010.

GOMES, Priscilla dos Santos. Acesso à saúde contemporâneo no Brasil e em Portugal como um direito social. *Voices dos Vales*, [s.l.], n. 6, p.1-25, out. 2014. Disponível em: <http://site.ufvjm.edu.br/revistamultidisciplinar/files/2014/10/Acesso-%C3%A0-sa%C3%BAde-contempor%C3%A2neo-no-Brasil-e-em-Portugal-como-um-direito-social.pdf>. Acesso em: 09 fev. 2019.

HUYARD, Caroline. How did uncommon disorders become 'rare diseases'? History of a boundary object. *Sociology of Health & Illness*, [s.l.], v. 31, n. 4, p.463-477, maio 2009. Wiley. <http://dx.doi.org/10.1111/j.1467-9566.2008.01143.x>. Disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/19397760>. Acesso em: 27 mar. 2019

MAGALHÃES, Matheus; BEGHIN, Nathalie; DAVID, Grazielle. *BRASIL: RECURSOS FEDERAIS DESTINADOS À ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA EM TEMPOS DE AUSTERIDADE: AVALIAÇÃO DAS EXECUÇÕES FINANCEIRAS DE 2015 A 2017*. Brasília: Inesc, 2018. Disponível em: https://www.inesc.org.br/wp-content/uploads/2019/03/inesc_medicamentos_portugues_v02_DB.pdf?x25436. Acesso em: 01 abr. 2019.

NOVAIS, Jorge Reis. *Direitos sociais: teoria jurídica dos direitos sociais enquanto direitos fundamentais*. Coimbra: Wolters Kluwer / Coimbra, 2010.

ORPHANET. *Sobre a Orphanet*. Disponível em: https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutOrphanet.php?lng=PT. Acesso em: 31 jan. 2019

PORTUGAL. Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde. *Investimento de 90 milhões de Euros em 2017: Mais de 60 medicamentos utilizados no tratamento de doenças raras*. 2018. Disponível em: http://www.infarmed.pt/web/infarmed/infarmed?p_p_id=101&p_p_lifecycle=0&p_p_state=maximized&p_p_mode=view&_101_struts_action=%2Fasset_publisher%2Fview_content&_101_returnToFullPageURL=%2Fweb%2Finfarmed%2Finfarmed&_101_assetEntryId=2493250&_101_type=document&inheritRedirect=false&redirect=http%3A%2F%2Fwww.infarmed.pt%2Fweb%2Finfarmed%2Finfarmed%3Fp_p_id%3D3%26

p_p_lifecycle%3D0%26p_p_state%3Dmaximized%26p_p_mode%3Dview%26_3_redirect%3D%252Fweb%252Finfarmed%252Finfarmed%26_3_keywords%3Ddoen%25C3%25A7as%2Braras%26_3_groupId%3D15786%26_3_struts_action%3D%252Fsearch%252Fsearch. Acesso em: 26 mar. 2019.

PORTUGAL. Constituição da República Portuguesa, de 02 de abril de 1976. [S.l.], Disponível em:
<https://www.parlamento.pt/Legislacao/Paginas/ConstituicaoRepublicaPortuguesa.aspx#art64>. Acesso em: 08 fev. 2019.

PORTUGAL. Decreto-lei nº 118, de 25 de junho de 1992. Lisboa, Disponível em:
<https://dre.pt/web/guest/pesquisa-avancada/-/asearch/302737/details/normal?types=SERIEI&numero=118%2F92&tipo=%22Decreto-Lei%22>. Acesso em: 10 fev. 2019.

PORTUGAL. Decreto-lei nº 413, de 27 de setembro de 1971. Lisboa, Disponível em:
<https://dre.pt/pesquisa/-/search/632738/details/maximized>. Acesso em: 02 abr. 2019.

PORTUGAL. Despacho nº 2129-B, de 2015. Lisboa, 27 fev. 2015. Disponível em:
https://fedra.pt/wp-content/uploads/2017/09/Despacho2129B_2015-Estrategia-Integrada-para-as-doenc%CC%A7as-raras.pdf. Acesso em: 09 fev. 2019.

PORTUGAL. Despacho Normativo nº 97, de 22 de abril de 1983. Lisboa. Disponível em: <https://dre.pt/pesquisa/-/search/311838/details/maximized?perPage=50&sort=whenSearchable&q=Lei+n.%C2%BA%2010%2F97&sortOrder=DESC%2Fen%2Fen%2Fen%2Fen>. Acesso em: 02 abr. 2019.

PORTUGAL. Lei nº 48, de 24 de agosto de 1990. Lisboa, Disponível em:
https://dre.pt/pesquisa/-/search/574127/details/normal?p_p_auth=zt2dAYbd. Acesso em: 02 abr. 2019.

PORTUGAL. Lei nº 56, de 15 de setembro de 1979. Lisboa, Disponível em:
https://dre.pt/pesquisa/-/search/369864/details/normal?p_p_auth=JqNc3epD. Acesso em: 02 abr. 2019.

PORTUGAL. Direção-Geral de Saúde. *Relatório Intercalar sobre a Implementação da Estratégia Integrada para as Doenças Raras*: ano 2016 Lisboa: DGS, 2016. Disponível em:
<http://www.orpha.net/national/data/PT-PT/www/uploads/Relat%C3%B3rio-2016.pdf>. Acesso em: 10 fev. 2019.

PORTUGAL. Direção-Geral de Saúde. *Relatório Intercalar sobre a Implementação da Estratégia Integrada para as Doenças Raras*: ano 2017. Lisboa: DGS, 2017. Disponível em:

<https://www.dgs.pt/documentos-e-publicacoes/relatorio-intercalar-sobre-a-implementacao-da-estrategia-integrada-para-as-doencas-raras-20152020-ano-2017-pdf.aspx>. Acesso em: 10 fev. 2019.

SOUSA, Inês Filipa Rocha Simões de. *Impacto orçamental de medicamentos órfãos em Portugal*. 2016. 72 f. Dissertação (Mestrado) - Curso de Economia, Universidade de Coimbra, Coimbra, 2016. Disponível em: <https://estudogeral.uc.pt/bitstream/10316/33193/1/Tese%20Final%20pdf.pdf>. Acesso em: 26 mar. 2019.

SOUZA, Mônica Vinhas de *et al.* Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas. *Ciência & Saúde Coletiva*, [s.l.], v. 15, n. 3, p.3443-3454, nov. 2010. FapUNIFESP (SciELO). <http://dx.doi.org/10.1590/s1413-81232010000900019>. Disponível em: http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1413-81232010000900019. Acesso em: 14 fev. 2019.

UNIÃO EUROPEIA. Agência Europeia do Medicamento. *Annual Report 2017*. Londres: EMA, 2018. Disponível em: https://www.ema.europa.eu/en/documents/annual-report/2017-annual-report-european-medicines-agency_en.pdf. Acesso em: 11 maio 2019.

UNIÃO EUROPEIA. Regulamento (CE) nº 141, de 16 de dezembro de 1999. Disponível em: <https://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=CONSLEG:2000R0141:20090807:PT:PDF>. Acesso em 11 mai. 2019.

U.S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION (Estados Unidos da América). *Orphan Drug Act - Relevant Excerpts*. Disponível em: <https://www.fda.gov/forindustry/developingproductsforrareconditions/howtoapplyfororphanproductdesignation/ucm364750.htm>. Acesso em: 02 abr. 2019.

WANG, Chenguang; LI, Dingguo. Esforços Legislativos para o Cuidado de Doenças Raras na China - Análise dos Fundamentos Jurídicos e Chamada para um Quadro Regulatório. *Revista de Direito Sanitário*, São Paulo, v. 1, n. 14, p.11-33, mar./jun. 2013. Disponível em: <https://www.revistas.usp.br/rdisan/article/download/56621/59638/>. Acesso em: 14 fev. 2019.

WORLD HEALTH ORGANIZATION. Constitution of The World Health Organization, de 22 de julho de 1946. New York City, Disponível em: <http://apps.who.int/gb/bd/PDF/bd47/EN/constitution-en.pdf>. Acesso em: 02 abr. 2019.

Recebido em: 09/06/2019

Aceito em: 16/07/2019

Como citar este artigo?

LUNA, Víctor Vidal. Doenças raras e políticas públicas de saúde no Brasil e em Portugal: um estudo comparado. **(Re)pensando Direito**, Santo Ângelo/RS. v. 09. n. 17. jan./jun. 2019, p. 190-220. Disponível em: <http://local.cnecsan.edu.br/revista/index.php/direito/index>.