UNIVERSIDADE DE SÃO PAULO
FACULDADE DE FILOSOFIA, LETRAS E CIÊNCIAS HUMANAS

JOÃO VITOR CARDOSO

**MEDICAMENTOS ÓRFÃOS NO SUL GLOBAL: BIOSOCIABILIDADE,
REGULAÇÃO E JUDICIALIZAÇÃO DA VIDA**

Dissertação de Mestrado

Versão Corrigida

São Paulo – SP
2019

UNIVERSIDADE DE SÃO PAULO
FACULDADE DE FILOSOFIA, LETRAS E CIÊNCIAS HUMANAS

JOÃO VITOR CARDOSO

**MEDICAMENTOS ÓRFÃOS NO SUL GLOBAL: BIOSOCIABILIDADE,
REGULAÇÃO E JUDICIALIZAÇÃO DA VIDA**

Dissertação de Mestrado apresentada à Banca Avaliadora, da Universidade de São Paulo, como requisito parcial para obtenção do título de Mestre em Humanidades, Direitos e Outras Legitimidades.

Orientador: Prof. Dr. Marcelo Arno Nerling

Coorientadora: Prof.^a Dr.^a Sueli Gandolfi Dallari

Versão Corrigida

São Paulo – SP

2019

Autorizo a reprodução e divulgação total ou parcial deste trabalho, por qualquer meio convencional ou eletrônico, para fins de estudo e pesquisa, desde que citada a fonte.

Catalogação na Publicação
Serviço de Biblioteca e Documentação
Faculdade de Filosofia, Letras e Ciências Humanas da Universidade de São Paulo

C268m Cardoso, João Vitor
Medicamentos órfãos no Sul Global:
biossociabilidade, regulação e judicialização da vida
/ João Vitor Cardoso ; orientador Marcelo Arno
Nerling; co-orientadora Sueli Gandolfi Dallari.
- São Paulo, 2019.
230 f.

Dissertação (Mestrado)- Programa de Pós-Graduação
Humanidades, Direitos e Outras Legitimidades da
Universidade de São Paulo. Área de concentração:
Humanidades, Direitos e Outras Legitimidades.

1. Sociologia do Direito. 2. Doenças Raras. 3.
Regulação de Medicamentos. 4. Judicialização da
Política. 5. Estado Administrativo. I. Nerling,
Marcelo Arno, orient.; Dallari, Sueli Gandolfi,
co-orient. II. Título.

ENTREGA DO EXEMPLAR CORRIGIDO DA DISSERTAÇÃO/TESE**Termo de Ciência e Concordância do orientador****Nome do aluno: João Vitor Cardoso****Data da defesa: 27/09/2019****Nome do Prof. orientador: Marcelo Arno Nerling**

Nos termos da legislação vigente, declaro **ESTAR CIENTE** do conteúdo deste **EXEMPLAR CORRIGIDO** elaborado em atenção às sugestões dos membros da comissão Julgadora na sessão de defesa do trabalho, manifestando-me **plenamente favorável** ao seu encaminhamento e publicação no **Portal Digital de Teses da USP**.

São Paulo, 25/11/2019

5607659

CARDOSO, J. V. **Medicamentos órfãos no Sul Global**: biossociabilidade, regulação e judicialização da vida. Dissertação de Mestrado apresentada à Faculdade de Filosofia, Letras e Ciências Humanas da Universidade de São Paulo, para obtenção do título de Mestre em Humanidades, Direitos e Outras Legitimidades.

Aprovado em: 27 de setembro de 2019.

Banca Examinadora

Prof. Dr. Marcelo Arno Nerling (Orientador) Instituição: Universidade de São Paulo

Julgamento: Aprovado Assinatura _____

Prof. Dr. Fernando Mussa Abujamra Aith Instituição: Universidade de São Paulo

Julgamento: Aprovado Assinatura _____

Prof. Dr. Cláudio Roberto Cordovil Oliveira Instituição: Fundação Oswaldo Cruz

Julgamento: Aprovado Assinatura _____

Prof. Dr. Willis Santiago Guerra Filho Instituição: Pontifícia Universidade Católica de São Paulo (PUC-SP)

Julgamento: Aprovado Assinatura _____

*À minha mãe, Marli Neves Panão,
Ao meu pai, Vitor Eduardo Cardoso,
E a todos os que se encontram em condições raras.*

AGRADECIMENTOS

Ao Professor Marcelo Arno Nerling, orientador generoso, firme e paciente, sem o qual nenhuma destas linhas seria possível; homem de fibra, que burilou, revisou e sofreu com os primeiros e sucessivos rascunhos deste manuscrito. Um saúdo grato! Ao DIVERSITAS (Núcleo de Estudos das Diversidades, Intolerâncias e Conflitos), esse espaço de fervor interminável como potência de legitimidades e de desassossegos.

À Professora Sueli Dallari, digna co-orientadora, mulher admirável, que atçou, instigou e arregimentou nosso espírito científico. Ao Professor Fernando Mussa Abujamra Aith, pela gentileza de haver participado de nossa Comissão Julgadora. À Silmara, do CEPEDISA (Centro de Estudos e Pesquisas de Direito Sanitário), por sempre nos receber de forma bem-humorada e por facilitar diante da burocracia.

Ao Professor Cláudio Cordovil, pela atenção constante e sugestões na banca de qualificação. Amigo imenso, fora do comum e que forneceu orientação essencial.

Ao Professor João Biehl, pela inspiração teórica e pelos comentários que tive a grande felicidade de poder contar. Aos Professores José Eduardo Faria e Celso Campilongo, pelos debates enriquecedores durante os seminários de Sociologia da Constituição

Ao *Institut Droit et Santé*, da *Université Paris Descartes*, espaço que me acolheu com generosidade. Ao CNPq, pela bolsa que possibilitou a realização deste intercâmbio. Ao pesquisador Luïc Rigal, colega generoso neste período.

Ao OCCA (Observatório de Conflitualidade Civil e Acesso à Justiça), importante trincheira que conquistamos em tempos bicudos e que me permitiu testar os argumentos aqui contidos nos diversos encontros que organizamos.

Aos funcionários da indústria farmacêutica que prestaram esclarecimentos preciosos, pela disposição e incentivo a esta pesquisa.

Aos pacientes raros e seus familiares que, apesar da enorme angústia, aceitaram contribuir para com este estudo.

À minha tia Miriam, bolos de laranja e riso alegre. Ao meu irmão Antonio, parceiro eterno nas asperezas da vida. À minha irmã Juliana, pela leveza incondicional.

Ao meu pai, Vitor, por tantas virtudes, que mais que seu filho, eu fiquei seu fã.

À minha mãe Marli, pelo exemplo de luta e tanto que fez para minha realização.

À Isabel, mulher da minha vida e que eu adoro.

“O descumprimento do Ministério da Saúde está trazendo consequências graves para mim e para muitos outros pacientes neste mesmo caso.”

Diego Albuquerque

“Se eu morrer em consequência da falta de medicamentos por atraso, desejo que denuncie ao Ministério Público este descaso com a vida.”

Margareth Mendes

*“Varre-me o corpo um calafrio.
Toda a miséria humana aqui me oprime.”*

Fausto

Resumo

Esta pesquisa aponta de que modo a emergência do mercado transnacional de medicamentos para as doenças raras afetaria os diversos ambientes regulatórios nacionais e as demandas por saúde de indivíduos que sofrem com estas doenças em alguns países centrais e periféricos. O problema do acesso a estes tratamentos é estudado a partir do confronto entre regulação e judicialização como estratégias distintas para enfrentá-lo. Procede-se à descrição e comparação dos ambientes regulatórios de medicamentos órfãos de seis países: Brasil, Chile, Colômbia, Peru, França e Estados Unidos. A existência de incentivos econômicos e um período de exclusividade de mercado parece ser a maior diferença entre sistemas regulatórios centrais e periféricos. Os países centrais adotam regulações que têm um papel econômico crucial, diante da natureza globalizada da indústria de fármacos. Estes produtos, em geral, são fabricados por um único laboratório, e dificilmente são adquiridos pelo consumidor. Adicionalmente, aprofunda-se na realidade brasileira através de um estudo de caso sobre o Soliris®, um dos medicamentos mais caros do mundo, cuja interrupção na compra pública ensejou diversos óbitos no período pós-2016. Coletam-se informações por meio de narrativas jornalísticas, processos judiciais, observação participante e entrevistas qualitativas conduzidas de forma espontânea, identificando-se o orçamento destinado à sua compra, preço unitário, características da sua fabricante, perfil socioeconômico dos demandantes e assim por diante. Os achados apontam que a política nacional de assistência farmacêutica tem falhado em promover o acesso a medicamentos órfãos, falha esta que pessoas pobres ou vulneráveis, que não vivem nas principais metrópoles do país, vêm tentando corrigir em seus litígios individuais, com o auxílio de associações de pacientes. Esta pesquisa presta uma corroboração empírica a respeito da hipótese de que um movimento enérgico de pacientes-ativistas, valendo-se de um discurso que liga o direito a medicamentos a uma questão de equidade e justiça social, estaria forçando os agentes do Estado a encarar outras legitimidades que geralmente têm sido deixadas de lado, gerando novas políticas que moldam ferramentas para a gestão de tecnologias em saúde. A macrolitigância por direitos fundamentais pode forjar, aos poucos, reformas regulatórias em outros poderes.

Palavras-chave: Sociologia do Direito. Doenças Raras. Regulação Farmacêutica. Judicialização da Política. Estado Administrativo. Bioética

Abstract

This research observes how the emergence of transnational orphan drugs market affects the different national regulatory frameworks and the demands for health care of people with rare diseases in some central and peripheral countries. The problem of enabling patient access to orphan drugs is studied from the factors that determine whether regulation or litigation would most likely be preferred to face it. This dissertation describes and compares the orphan drugs regulatory environments of six countries: Brazil, Chile, Colombia, Peru, France and the United States of America. The comparative analysis suggests that the existence of financial incentives and a marketing exclusivity period is the main difference among central and peripheral regulatory systems. Central countries adopt regulations that have a crucial economic role, given the globalized nature of the orphan drugs industry. These products are in general fabricated by a single laboratory, and are not likely to be acquired by the consumer. Additionally, this study furthers into the Brazilian context describing the judicial access to orphan drugs through a case study about Soliris®, one of the most expensive drugs worldwide, considering that the interruption in its public acquisition resulted in several deaths in the post-2016 period. This research collects data by means of journalistic narratives, lawsuits, ethnographic observations and qualitative interviews conducted spontaneously, identifying the public funds mobilized to its acquisition, the unity price, general features of its producer, the socioeconomic profile of the litigants and so forth. These data suggest that the national policy of pharmaceutical assistance has failed to enable patient access to orphan products, whereas poor or vulnerable people, who do not live in the main cities of the country, have been trying to correct it through their individual claims, with the assistance of patient organizations. The results support the hypothesis that developments of regulation came about because energized patient activist movements, adopting a discourse that linked the right to orphan drugs to an issue of equity and social justice, forced agencies to face up a long-ignored problem, reframing policies that legitimate new tools for health technology assessment. In this sense, the macro-litigation of fundamental rights can gradually forge regulatory reform in the other branches.

Keywords: Sociology of Law. Rare Diseases. Pharmaceuticals Regulation. Judicialization of Politics. Administrative State. Bioethics.

Lista de Tabelas

Tabela 1. Categorias e Subcategorias Encontradas na Literatura.....	46
Tabela 2. Definições e Status dos Medicamentos para Doenças Raras por País.....	74
Tabela 3. Registro, incorporação e gasto público em relação aos medicamentos órfãos mais demandados por ordem judicial no Brasil.....	114
Tabela 4. Legislações, regulações e políticas públicas de medicamentos órfãos por país.....	126
Tabela 5. Custo-efetividade do Eculizumabe em comparação com o cuidado convencional, em horizonte temporal de 26 semanas (13 quinzenas).....	149
Tabela 6. Perfil socioeconômico dos demandantes do Soliris falecidos entre 2017-2018.....	168

Introdução.....	14
PARTE I – ASSOCIAÇÕES DE PACIENTES, MERCADOS TERAPÊUTICOS E DIREITO À VIDA.....	21
Capítulo 1. O direito na era do <i>bio</i> constitucionalismo.....	22
1.1. Genealogia das doenças raras.....	24
1.2. Paradoxo do ensaio clínico: maior rigor técnico, inovações em declínio.....	28
1.3. Enfim, adotados: a aparição dos “órfãos” no mercado.....	32
1.4. Um “objeto estranho”: entre direito, ciência e tecnologia.....	34
PARTE II – OS DIVERSOS AMBIENTES REGULATÓRIOS.....	38
Capítulo 2. O Estado Administrativo em Perspectiva Comparada.....	39
2.1. Estados Unidos.....	46
2.2. França (União Europeia).....	52
2.3. América Latina.....	59
2.3.1. Chile.....	59
2.3.2. Colômbia.....	64
2.3.3. Peru.....	68
2.4. O norte da regulação no Sul Global.....	71
2.4.1. Arquiteturas regulatórias em juízo.....	75
2.5. Os três corolários do direito a medicamentos órfãos.....	79
Capítulo 3. Regulação de Medicamentos Órfãos no Brasil.....	82
3.1. O dever de satisfazer necessidades de saúde órfãs no SUS.....	83
3.2. Instituições dispersas e instrumentos heterogêneos.....	88
3.3. Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA.....	91
3.3.1. Procedimento de registro de novos medicamentos.....	91
3.4. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos – CMED.....	97
3.4.1. Procedimento para o controle do preço de medicamentos.....	99

3.5. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC.....	101
3.5.1. Procedimento para a incorporação de medicamentos através das Avaliações de Tecnologias em Saúde.....	105
3.5.2. Por que a indústria não compareceu à Consulta Pública sobre a priorização de PCDTs para doenças raras no SUS?.....	111
3.6. O uso de medicamentos em fase de estudos no Brasil.....	115
3.7. Infrações sanitárias, penais e ilícitos civis: regulação versus judicialização....	118
3.8. Notas para uma “ciência regulatória” a cargo dos pacientes.....	121
Capítulo 4. Considerações sobre a aplicação do modelo comparativo.....	124
PARTE III – O CASO DA JUDICIALIZAÇÃO DA BIOPOLÍTICA.....	131
Capítulo 5. Judicializar a vida.....	132
5.1. Distintos olhares sobre a hipertrofia do poder judiciário.....	133
5.2. O panorama da “sobrecarga” de litigiosidade em saúde no Brasil.....	142
5.3. Coleta de Dados: o (<i>des</i>)abastecimento do Soliris® entre 2017 e 2018.....	147
5.3.1. “Meu direito de viver está sendo tirado, como uma pena de morte”.....	154
5.3.2. Efeitos colaterais do mercado de órfãos na periferia global.....	160
5.4. Discussão: os juristas em defesa da sociedade.....	163
5.4.1. Biopolítica da judicialização da saúde: discursos interpostos.....	170
5.4.2. Ações coletivas e planos de serviços jurídicos em grupo.....	177
5.4.3. A inadequação das soluções extrajudiciais dos litígios de saúde.....	180
5.5. Considerações sobre jogadores repetidos e franco-atiradores.....	184
Capítulo 6. A “abnegação do direito” na prática.....	193
6.1. Considerações sobre admissão e valoração de provas científicas.....	197
6.2. Enunciados do CNJ: um caso de “lentidão do direito”.....	200
6.3. Entre togas brancas e canetas milagrosas: o nascimento do e-NATJus.....	203
CONSIDERAÇÕES FINAIS.....	209
Referências Bibliográficas.....	215

Introdução

Quando do início desta pesquisa de Mestrado, há pouco mais de dois anos, tínhamos uma pálida ideia sobre o tema “doenças raras”, o qual surgia em algumas manchetes, por vezes, associadas à famigerada “judicialização da saúde”. Partilhando o desafio de compreender o impacto de arranjos regulatórios nas pessoas com doenças raras, gradualmente pudemos nos tornar mais interessados nestas, articulando-as a um “discurso crítico sobre as ações do Estado e instituições oficializadas”, como proposto em nossa linha de pesquisa, que pretende atuar de forma crítica nos debates sobre o papel da sociedade civil na construção das políticas públicas (DIVERSITAS, 2019), como julgamos ter feito, para submeter nosso resultado à douta Banca de Avaliação.

A nossa oferta é honesta ao descrever arranjos regulatórios de medicamentos órfãos de vários países, entregando ao nosso generoso leitor uma análise descritiva de algumas medidas, surgidas nas últimas décadas, voltadas a promover o acesso a medicamentos para estas enfermidades – as doenças raras –, que afligem milhões de indivíduos, causam a perda de vidas e implicam ônus físicos, psicológicos e socioeconômicos a pacientes e seus familiares. Entender algumas das ressonâncias de legislações e objetos tecnocientíficos produzidos no hemisfério norte para o caso brasileiro, e também Latino-americano, é um dos objetivos deste trabalho.

Este tema abre caminho por três fronteiras disciplinares: a sociologia do direito, os estudos de ciência e tecnologia e o direito público. Para aqueles acadêmicos interessados no direito público, nossa abordagem lança um olhar sobre o relacionamento entre ciência, tecnologia e Estado de Direito, buscando dimensionar o valor de novas descobertas biotecnológicas no campo jurídico. Além disso, colocamos em perspectiva como a construção deste campo se depara, por vezes, com limitações intrínsecas, que talvez possam conduzir a uma “deformação profissional” (HARLOW & RAWLINGS, 2009), que instiga seus praticantes a estarem inclinados a atentar apenas ao que se discute judicialmente, enquanto o que não se discute nesse âmbito é feito irrelevante. Para acadêmicos do campo de estudos de ciência e tecnologia, nosso objeto situa-se em uma intersecção entre as ciências da vida, as biotecnologias e o direito, interpretando-a através das lentes de autores, e.g., Sheila Jasanoff (2019) e João Biehl (2013). Para sociólogos do direito, este estudo retrata a capacidade do Estado para regular o mercado ao nível nacional na época do “capitalismo desorganizado”, revelando até que ponto o isomorfismo epistemológico entre estatismo jurídico e a ciência moderna é limitado por uma eficácia pragmática (SANTOS, 2001, p. 165).

Como se verá, a categoria “doenças raras”, empregada por indivíduos com doenças incomuns nos Estados Unidos, entre os anos 1970 e 1980, em alguma medida, contribuiu para a promulgação da Lei de Medicamentos Órfãos, em 1983, naquele país (HUYARD, 2009, p. 468). Atualmente, de acordo com as contagens oficiais, há mais de 7 mil doenças raras distintas, mas este número varia conforme as definições empregadas. Alguns autores defendem que, de fato, as doenças, e não os medicamentos, são órfãos porque seus tratamentos são muito caros (LUZZATTO et al., 2018, p. 1).

Com a expansão global de mercados biomédicos e sua incursão em sistemas de saúde pública, Biehl e Petryna (2011, p. 380) observam deslocamentos institucionais e novas formações de cidadania na interface Estado-mercado, que remodelam a governança neoliberal. Como descrevem, as empresas farmacêuticas estão se reformulando como empresas voltadas para a saúde global, enquanto parcerias público-privadas e iniciativas filantrópicas podem ser usadas como uma boa jogada para se fixar em mercados de países periféricos (ibid., p. 365). Há boas razões para crer que estas corporações possam usar estas parcerias e iniciativas para influenciar gradualmente arquiteturas regulatórias. Como seria possível calibrar a influência deste mercado nas demandas individuais por saúde bem como nas instituições oficializadas do Sul Global?

Milhões de pessoas em países periféricos e semiperiféricos não podem acessar cuidados em saúde, medicamentos e vacinas disponíveis em países centrais. Ao se falar em doenças órfãs, a realidade parece ser mais complexa: não deve haver dúvidas de que estas sociedades não podem prover a seus integrantes os mesmos cuidados em saúde que sociedades mais ricas provém aos seus. Afinal, “quanta saúde” deveria uma sociedade disponibilizar a seus membros? Seguindo uma tendência internacional, países como Brasil, Chile e Colômbia vêm criando comissões de Avaliação de Tecnologias em Saúde¹, com o fim de institucionalizar um procedimento que determine quais tipos de tratamentos são necessários e apropriados e em quais circunstâncias. Ao cuidar de tratamentos cujo benefício clínico é de difícil constatação e, além disso, possuem custos elevados, não podemos escapar de uma questão de justiça: “o que é um cuidado médico ‘apropriado’ depende do que se considera injusto inviabilizar sob o pretexto de que custa muito caro” (DWORKIN, 2000, p. 309).

¹ As ATS são um campo interdisciplinar da análise de políticas sanitárias, que estuda as implicações médicas, sociais, éticas e econômicas, diretas e indiretas, do desenvolvimento, difusão e uso de tecnologias em saúde, com o objetivo de subsidiar a tomada de decisão sobre estas. (INAHTA, 2018)

Nações que possuem sistemas de saúde universais, financiados por meio de impostos, deveriam discriminar contra o infortúnio genético simplesmente porque gozam do (*bio*)poder para fazê-lo? No Brasil, a política nacional para doenças raras prevê o uso de medicamentos, somente se estes forem recomendados pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC). Conforme exigido em lei, o medicamento candidato a ser incorporado na rede pública deverá passar pela análise desta Comissão acerca de sua eficácia, acurácia, segurança e custo-efetividade. Há dois importantes achados de Yuba e colaboradoras (2018, p. 7) que consubstanciam dúvidas a respeito da eficiência deste arranjo regulatório: a ausência de transparência do que é recomendado pela CONITEC, em termos do tipo e qualidade da evidência científica considerada na análise da incorporação de tecnologias no SUS, e a nítida diferença entre as evidências consideradas conforme a origem das demandas, resultando que demandas internas obtenham maior sucesso que aquelas originadas externamente.

Importa entender que a baixa prevalência das doenças raras, associada ao alto custo dos tratamentos (quando existem), faz com que tanto a noção de integralidade como a de universalidade sejam colocadas em xeque (AITH et al., 2014, p. 18). Desse modo, este grupo de patologias encerra um desafio humanitário que recai numa zona de intersecção entre mercado, ciência e direito. No bojo desta tríade, o problema a ser investigado abarca instituições, agências burocráticas e laboratórios; contingências técnico-científicas e dinâmicas familiares de como vivenciar a dor. Perfaz batalhas judiciais, a legitimidade democrática, tecnologias e as ciências biológicas, que entram em contato e carecem de diálogo. Com vistas a espelhar, no plano ideal, o movimento desta galeria temática, o presente estudo se dedica a compreender a seguinte pergunta fundamental: de que modo a emergência do mercado transnacional de medicamentos órfãos estaria afetando as práticas regulatórias nacionais e o direito à saúde de indivíduos com doenças raras em países da periferia ou da semiperiferia global?

Neste sentido, nossa hipótese é que as diversas arquiteturas regulatórias adotadas pelos Estados nacionais decorrem ou (i) de alianças políticas que representam interesses hegemônicos, sobretudo da indústria farmacêutica, em vista do aumento nos custos para produção de medicamentos inovadores associados a exigências cada vez maiores dos poderes públicos para autorizar sua comercialização; ou (ii) de engajamentos de associações de pacientes, que afetariam os diversos paradigmas em que é concebida a saúde de pessoas com doenças raras como um direito.

Nosso objetivo geral é compreender de que modo a emergência de um mercado transnacional de medicamentos órfãos afetaria ordenamentos nacionais e o direito à saúde de indivíduos com doenças raras de forma distinta em países centrais e periféricos. Disto decorrem três objetivos específicos: (i) comparar arquiteturas regulatórias, entendidas como o ambiente amplo das normas, regulações e políticas públicas que conformam o desenvolvimento e incorporação de medicamentos órfãos nos sistemas securitários; (ii) caracterizar o enfrentamento das doenças raras pela via judicial como terreno fértil para a observação de interações entre elites hegemônicas e movimentos de pacientes organizados; e (iii) trazer à luz pública a importância da atuação de associações de doentes raros para a criação de organizações e procedimentos administrativos mais responsivos no Brasil.

Nosso escopo se limita à compreensão dos impactos da ação regulatória nas demandas por saúde de pessoas com doenças raras. Assim sendo, não conformará nossa análise o problema das patentes bem como da batalha entre medicamentos de referência e genéricos. Basta, para os fins ora perseguidos, compreender que as implicações da economia do conhecimento são muito diferentes conforme se trate de Estados do centro ou da periferia do sistema global, tendo em vista que os países periféricos tendem a ficar cada vez mais limitados a cumprir determinações do capital financeiro e industrial transnacional, determinações, por sua vez, estabelecidas pelas organizações internacionais controladas pelos Estados centrais (SANTOS, 2001, p. 155).

A dissertação será dividida em três partes, que contêm capítulos e seções, seguidas de algumas considerações pontuais. Começamos a Parte I com a exposição do problema das doenças raras como uma questão de saúde pública. A Parte II abordará como a incorporação de medicamentos órfãos nas políticas sanitárias tem sido tratada de maneira diversa pelos diferentes sistemas regulatórios. A Parte III apresenta um estudo de caso sobre a “judicialização da saúde”, fenômeno que rearranja a relação entre corpos, subjetividades políticas, tecnologias biomédicas e as instituições oficializadas. Apresentam-se, ao cabo, considerações finais, estribando uma análise final nos dados coletados pela pesquisa, para fins de confirmar ou rejeitar a hipótese fundamental.

Sobre a Metodologia

O método de abordagem aqui adotado será o *hipotético-dedutivo*, vale dizer, “que se inicia pela percepção de uma lacuna nos conhecimentos, acerca da qual formula hipóteses e, pelo processo de inferência dedutiva, testa a predição da ocorrência de

fenômenos abrangidos pela hipótese” (LAKATOS & MARCONI, 2003, p. 106). Por uma imposição do problema, o momento de descrição do objeto será feito de forma disciplinar (o direito e as ciências sociais), ao passo que o seu momento construtivo, seguindo Boaventura de Sousa Santos (2001, p. 186), será “indisciplinar”. Assim, a filosofia de pesquisa adotada pressupõe que “o conflito de disciplinas não é um freio ao desenvolvimento da ciência e sim um de seus motores” (LATOUR, 2017, p. 121). Portanto, uma abordagem múltipla, de um objeto múltiplo, para um público múltiplo.

Visto que uma análise que parte de múltiplas perspectivas teóricas é melhor conduzida por uma abordagem comparativa (SABATIER, 2007, p. 6), em um primeiro momento esta dissertação se embasa em modelo apresentado por uma pesquisa transnacional, para a comparação analítica de arquiteturas regulatórias de drogas órfãs (GAMMIE et al., 2015). A propósito de Lakatos & Marconi (2003, p. 107), o método comparativo pode ser usado tanto para comparações entre sistemas, quanto entre sociedades de iguais ou de diferentes estágios de desenvolvimento. Ao desbordarmos do modelo de Gammie e cols. (2015), haverá “direito comparado”, no sentido de apresentar os sistemas regulatórios através de uma “comparação funcionalista”, isto é, para fins de compreender a funcionalidade estrutural de certos dispositivos (CARDOSO, 2018). Porém, reconhecemos limites deste método, que omite detalhes institucionais e culturais importantes dos sistemas em comparação, sofrendo de flagrante superficialidade (TUSHNET, 1999, p. 1307; KOMMERS, 1975; MENDES, 2013).

Isto nos conduz a um desafio, mais técnico e metodológico, que é como identificar as “melhores práticas” ao selecionar casos para fins de uma análise comparativa de desenhos institucionais. Ran Hirschl (2014) nos guiará pelas dificuldades inerentes ao estabelecer relações causais entre os resultados positivos de um determinado desenho institucional, visto que estes processos de causalidade (e as relações entre direito e sociedade) são complexos e interdependentes. O tipo de análise e os princípios básicos que serão empregados para este fim de desenho e seleção de casos são: (i) o princípio dos “casos mais similares”; e (ii) o princípio dos “casos mais diferentes” (HIRSCHL, 2014, p. 245). O princípio dos casos similares foi empregado para permitir uma análise comparativa entre Brasil e Colômbia, Peru e Chile, Estados Unidos e França; enquanto, o princípio dos casos mais diferentes foi empregado para permitir uma análise comparativa que propicie uma inferência causal através da comparação controlada entre “países periféricos” (Brasil, Colômbia, Peru e Chile) e “países centrais” (França e Estados Unidos).

Assim, para reduzir a incerteza acerca do material comparado, assegurando que estamos a comparar arquiteturas regulatórias e não níveis de desenvolvimento econômico, ou técnico-científico, inserem-se na amostra arquiteturas de alguns países em nível de desenvolvimento similar ao brasileiro. Em continuação, descrevem-se brevemente os preceitos normativos que caracterizam a política nacional de assistência farmacêutica através da interpretação da legislação que organiza seu ciclo e que define a extensão do dever do Estado com relação ao direito a medicamentos para doenças raras.

Para ganhar profundidade, a parte final presta-se a examinar acontecimentos contemporâneos, através de um estudo de caso descritivo baseado em uma mescla de provas quantitativas e qualitativas. A grande vantagem desta metodologia é que, da mesma forma que os experimentos, estudos de casos são generalizáveis a proposições teóricas. Nesse sentido, o estudo de caso, como o experimento, não representa uma “amostragem”, e seu objetivo é expandir e generalizar teorias (generalização analítica) e não enumerar frequências (generalização estatística) (YIN, 2001, p. 54). Primeiro, estabelecemos um grupo focal atuante em demandas de pacientes com síndrome hemolítico urémico atípica (SHUa) ou hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). Então, revisamos três fontes comuns de evidências para um estudo de caso: fontes documentais (estudos secundários, artigos publicados na imprensa, relatório de atividades da associação de pacientes, transmissões de audiências públicas, etc.), registros em arquivo (processos judiciais disponíveis na internet, listas de nomes e outros itens importantes) e entrevistas qualitativas espontâneas (com informantes-chave e grupo focal). Nesta ordem, os procedimentos utilizados para coletar cada tipo de evidência foram administrados independentemente, a fim de garantir que cada fonte fosse adequadamente utilizada. Em algumas situações houve observação participante².

Desta forma, o estudo de caso não depende exclusivamente dos dados obtidos através de narrativas jornalísticas, processos judiciais, audiências públicas, observação participante, mas também de entrevistas qualitativas conduzidas de forma espontânea. Vale dizer, entrevistas desta natureza permitem que se indague aos respondentes-chave tanto sobre os fatos de uma certa maneira quanto que se peça a opinião deles sobre determinados eventos (ibid., p. 112).

² A técnica da observação participante encontrou dificuldades de ingresso no campo em estudo. Esta era, porém, a forma encontrada para se opor àqueles que se lançam sem muitas precauções a estudos quantitativos na abordagem deste tema, em que vidas e afetos estão em jogo. Ao lançar um olhar direto sobre o fenômeno observado, a primeira precaução foi respeitar as partes envolvidas e evitar uma fórmula utilizada por muitos que concebem a indústria, de largada, como uma máfia. Isto facilitou o convívio com prestadores de serviço e representantes da indústria, membros de associações, pacientes, litigantes, etc.

Um segundo tipo de entrevista conduzido foi o *focal*, em que os respondentes foram entrevistados por um período de tempo entre 20 e 30 minutos. Nesse caso, “as entrevistas ainda são espontâneas e assumem o caráter de uma conversa informal” (ibid., p. 113). Contudo, seguiu-se um conjunto de perguntas que foram aperfeiçoadas ao longo das entrevistas. A definição do grupo focal levou em consideração que não há um parâmetro para a percentagem de raros dentro do grupo “litigantes”, sendo necessária a concentração da amostragem em um único subgrupo. Uma vez definido o conglomerado “pacientes raros”, o próximo passo foi selecionar um subgrupo para realizar o estudo de caso, por amostragem aleatória simples.

No universo de uma associação de pacientes, selecionamos aleatoriamente alguns grupos familiares de indivíduos portadores de HPN e SHUa, que vieram óbito após descumprimento de medida judicial em seu favor pelo Executivo. Em resultado, a seleção considerou as variáveis: (i) ser portador de HPN ou SHUa filiado à associação de doentes; (ii) ter medida liminar determinando fornecimento do Soliris®; e (iii) descumprimento da medida judicial gerando o resultado morte entre 2017-2018. Utilizar este “*cluster*” litigante permitiria ademais um baixo coeficiente de homogeneidade entre outros conglomerados, por exemplo, entre o grupo focal e os portadores de Mucopolissacaridose (MPS) ou Distrofia Muscular de Duchenne, afetados pela interrupção no fornecimento de medicamentos órfãos dentro deste recorte temporal.

Antes de realizar as entrevistas junto ao grupo focal, familiares de pacientes que faleceram, explicamos o propósito do estudo e questionamos a anuência dos entrevistados, que foram retirados randomicamente de uma lista fornecida pela associação de pacientes eleita para o estudo. Com base nesta lista, questionamos o interesse dos familiares em participar das entrevistas, utilizando questões abertas relacionadas a suas percepções, características socioeconômicas e necessidades jurídicas insatisfeitas. As informações coletadas nestas entrevistas foram complementadas com documentos públicos ou sigilosos (“literatura cinza”), observação participante, entrevistas junto a especialistas e ex-funcionários da indústria farmacêutica, que requereram anonimato. Em suma, seguimos de perto uma associação de pacientes que figura em demandas judiciais pela droga órfã mais cara do mundo e cuja interrupção na compra pública ensejou diversos óbitos no período pós-2016. Buscou-se, então, identificar aspectos particulares como o orçamento destinado à sua compra, preço unitário, características da sua fabricante, recursos jurídicos mobilizados, barreiras de acesso à justiça, perfil socioeconômico dos demandantes, etc.

PARTE I – ASSOCIAÇÕES DE PACIENTES, MERCADOS TERAPÊUTICOS E DIREITO À VIDA

“Não há um único método em filosofia, ainda que há realmente métodos, como diferentes terapias.”

Ludwig Wittgenstein

Esta Parte I chama atenção para como diferentes elementos socio sanitários, econômicos e técnico-científicos se imbricam na constituição das doenças raras enquanto objeto de pesquisa. A seção 1.1 aborda o processo através do qual pacientes com aflições raras, que antes eram enxergados como “aberrações da Natureza”, progressivamente tornam-se sujeitos plenos de direitos, que sofrem de genuínas doenças e merecem ser tratados como tal. Retrata a luta protagonizada por associações de pacientes raros, que têm disputado espaços de participação e deliberação no campo sanitário, desenvolvendo novas formas de socialidade e intervenção política, nomeadamente no que toca à defesa do direito à saúde perante o Estado. A seção 1.2 oferece um olhar panorâmico sobre como os ensaios clínicos transformam o mercado terapêutico e resultam no paradoxo: aumento de rigor técnico, inovações em declínio. Em seguida, descreve-se brevemente os inconvenientes para o desenvolvimento de produtos voltados a doenças sem tratamentos como consequência da espiral de concentração do capital farmacêutico por força da fusão entre laboratórios, levando a efeito uma desorganização da agenda de pesquisa científica. A seção 1.3 aborda a promulgação das primeiras normas que criam incentivos fiscais para o desenvolvimento de “medicamentos órfãos”, que recebem este adjetivo devido ao pouco interesse da indústria em fabricar produtos destinados a uma clientela reduzida, e como elas conduzem a um câmbio nas concepções de investigação dos ensaios clínicos. Finalmente, a seção 1.4. faz um breve comentário sobre o referencial teórico adotado, buscando conduzir ao interdisciplinar propriamente dito, através da provocação de contatos entre os rótulos disciplinares dos estudos de ciência e tecnologia em relação ao campo da sociologia do direito ou dos estudos sociojurídicos.

Capítulo 1. O direito na era do *bioconstitucionalismo*

Michel Foucault investigou, em suas inúmeras obras, uma importante transformação ocorrida entre fins do século XVIII e início do século XIX. Como argumenta, talvez tenhamos vivido no período a transição de uma *sociedade de soberania* a uma *sociedade disciplinar*, em que os controles políticos se transferem dos arranjos institucionais para o corpo biológico coletivo, passando a incidir “ao mesmo tempo sobre o corpo e sobre a população, sobre o organismo e sobre os processos biológicos e que vai, portanto, ter efeitos disciplinares e efeitos regulamentadores” (FOUCAULT, 2010, p. 212). Desta forma, “o controle da sociedade sobre os indivíduos não se opera simplesmente pela consciência ou pela ideologia, mas começa no corpo, com o corpo. (...) O corpo é uma realidade bio-política” (FOUCAULT, 1985, p. 80).

Vale lembrar, durante a segunda metade do século XVIII, desenvolve-se um projeto através do qual as autoridades estabelecem um sistema nacional de educação compulsória, obrigam a fala de um idioma oficial, definem quem seria legítimo partícipe de assuntos públicos, isto é, um “projeto de cidadania diretamente ligado às ideias de um estado nacional e das técnicas para a formação deste” (ROSE & NOVAS, 2003, p. 1). Nesta esteira, especialmente após o nascimento da medicina social, surge um poder político capaz de esquadrihar a população, instituindo no espaço urbano um sistema não só de vigilância generalizada, mas de registro centralizado, uma revista exaustiva dos vivos e dos mortos, enquanto “gestão estatal dos nascimentos e sobrevivências” (FOUCAULT, 1988, p. 112). Logo, o direito de soberania de fazer morrer e de deixar viver vai se completar “(...) com outro direito novo, que não vai apagar o primeiro, mas vai penetrá-lo, modificá-lo, e que vai ser um direito, ou melhor, um poder exatamente inverso: poder de ‘fazer’ viver e de ‘deixar’ morrer” (FOUCAULT, 2010, p. 202). Este processo se dá vis-à-vis com “a emergência de uma medicina clínica fortemente centrada no exame, no diagnóstico, na terapia individuais, (...) e de uma consideração das doenças como problema político e econômico” (FOUCAULT, 1985, p. 194). Contudo, a morte impediu que Foucault vivesse para ver as mutações marcantes ocorridas neste âmbito no início deste século, sobretudo com o desenvolvimento da bioengenharia e suas aplicações no campo da biotecnologia (JASANOFF, 2019), enquanto fatores diversos, como a precariedade das intervenções biopolíticas em países do Sul Global, colocam aquela forma de “biopoder” em xeque.

Progressivamente, a responsabilidade de vigiar-se passa a atingir não só a forma corpórea, senão também, a genética: “o indivíduo há muito foi responsabilizado pela saúde e doença do corpo, mas agora ele deve também estar ciente e gerir as implicações do seu próprio genoma” (ROSE & NOVAS, 2003, p. 5). Neste cenário, emerge uma “economia política da esperança” em que o corpo biológico não mais constitui um destino fatal, imutável, mas algo eminentemente manipulável. O desdobramento disto é o que Rose e Novas chamam de “economia moral da esperança”, por força da esperança na inovação, que virá a tratar ou curar, e também uma “economia em sentido clássico”, estimulando investimentos e a geração de “biovalor” (ibid., p. 6).

Ao ensejo, em vista de novos regimes de verdade, tal como a “susceptibilidade do genótipo”, Paul Rabinow (1992, p. 241) desenvolve o conceito de “biossociabilidade”, que reivindica novas formas de representação do biopoder: “se a sociobiologia é cultura construída com base em uma metáfora da natureza, logo, na biossociabilidade a natureza será modelada na cultura entendida como prática”. Rose e Novas (2003, p. 6) apontam a emergência de novos agrupamentos formados ao redor de uma identidade biológica comum, fruto do ativismo daqueles que recusaram o *status* de “pacientes”. Logo, sobretudo em países centrais, estes grupos de ativistas passam a se opor de maneira cada vez mais intensa ao poder da burocracia médica, protagonizando a luta pelo desenvolvimento de novas tecnologias, como no caso recente da “*Cystic Fibrosis Foundation*”, que desempenhou um papel fundamental ao coordenar os ensaios clínicos do então candidato a medicamento órfão, o “Ivacaftor” (LUZZATO, 2015).

Por sua vez, em países de liberalismo tardio, como o Brasil, João Biehl descreveu o nascimento de um sujeito duplo de direitos e de interesses, que atua em um complexo terapêutico Estado-mercado. Neste âmbito, “o direito à vida é invocado por entre a clínica, o tribunal e o mercado” (BIEHL, 2013, p. 421). Tratam-se dos “pacientes-litigantes”, que lutam na justiça para acessar mercados terapêuticos. “Não existe uma população biopolítica predeterminada à qual pertençam esses sujeitos médicos atomizados de direitos” (BIEHL & PETRYNA, 2011, p. 376). Enquanto, “sua convergência demandada pelo ‘bem comum’ politicamente definido é parte daquilo que os ameaça” (STENGERS, 2010, p. 18). Em seus esforços particulares para se tornar tais sujeitos, estes indivíduos precisam contar com “coletividades temporárias”, como associações de pacientes que surgem na intersecção da demanda paciente/família, o *marketing* farmacêutico e o ativismo jurídico (BIEHL & PETRYNA, 2011, p. 377).

Sob este pano de fundo, talvez os doentes raros sejam um exemplo destas minorias “dissidentes”, que ameaçam a ordem pública (STENGERS, 2010, p. 14). Por “minorias” compreenda-se o conceito de Stengers, que o utiliza esvaziando sua conotação adversarial em relação à “maioria” para, em lugar disso, afirmar sua intimidade com “práticas”, sempre divergentes umas das outras, recalcitrantes, e cujos membros estão “acoplados” a algo que nenhum deles pode se apropriar. Enfatizamos:

(...) se, de fato, as minorias aparecem como uma ameaça à ordem pública, elas não se definem por desejar ser esta ameaça, como seria o caso dos grupos clássicos de militantes radicais. Em contrapartida, o que melhor poderia defini-las é que elas são ameaçadas pelas demandas, regras e prioridades da ordem pública. (STENGERS, 2010, p. 15)

Por detrás desta paisagem conceitual, alguns teóricos têm argumentado que coletivos reunidos em torno de certas características genéticas vêm se tornando cada vez mais relevantes de um ponto de vista biopolítico. Em síntese, eles observam não só o desenvolvimento de dispositivos que regulam a vida e sujeitam os corpos, mas também a irrupção de um associativismo que resulta do compartilhamento de características biológicas, em que as novas ciências e tecnologias da vida são *loci* de articulação da agência política, fazendo surgir novos direitos e uma biossociabilidade ativa (RABINOW, 1992; ROSE & NOVAS, 2003; BIEHL, 2013; JASANOFF, 2019).

Com a publicação do sequenciamento do genoma humano pela *Science*, em 2001, Sheila Jasanoff, professora de estudos de ciência e tecnologia da Escola de Governo John F. Kennedy da Universidade de Harvard, retrata que foi gerada uma renovada atenção sobre as informações contidas no código genético, engendrando debates como a discriminação de pessoas ou populações com certos traços biológicos, a proteção de dados, o papel de agências regulatórias, etc. (JASANOFF, 2011a). Nesta junção, surgem questionamentos acerca dos “limites seguros” nos quais a inovação tecnológica poderia prosseguir, sobre conflitos entre ciência e religião, sobre o direito estatal de banir ou restringir a pesquisa científica (ibid., p.9). Resulta que estas inovações escapariam às mãos do direito, alimentando a impressão de que este tem se tornado cada vez mais inadequado para proteger os sistemas sociais. Isto é, a inexistência de normas para regular tais objetos atestaria o “descompasso do direito”, que corre sempre atrás dos desenvolvimentos técnico-científicos³.

³ Como coloca F.Schauer, em seu comentário sobre a privacidade na era digital, a perspectiva comumente difundida pelos juristas é notável no sentido em que toma a zona da privacidade conforme um espaço

Enfim, a autora entende que a debilidade analítica do direito emanaria dos intentos de sua teoria “remediar-se com noções de humano, liberdade, propriedade e natureza que precedem à revolução industrial, sem falar no desenvolvimento contemporâneo das ciências biológicas, informacionais e ambientais” (JASANOFF, 2011a, p. 10). A fim de propor uma matriz analítica mais maleável às implicações constitucionais dos desenvolvimentos tecnocientíficos, Jasanoff amplia “a noção de *constituição* para incluir [nela] uma gama de esferas e processos nos quais os indivíduos desenvolvem relações biopolíticas com as instituições que os regulam” (id.). Em resultado, a autora propõe o conceito de *bioconstitucionalismo* para descrever momentos fundacionais de interações entre as biociências e o direito na era genômica. Neste âmbito, a questão que subjaz, para além de um direito de soberania, de fazer morrer e deixar viver, ou do poder disciplinar, de fazer viver e deixar morrer, em alguma medida, passa por um biopoder que predica por um direito de “intervir na vida”.

1.1. Genealogia das doenças raras

As informações a respeito da história das doenças raras são extremamente limitadas, porém seria lícito dizer que este grupo de patologias foi largamente esquecido pela ciência e pela medicina até o século XX (RIGAL, 2017, p. 31). O interesse científico nelas é recente e se dá por força de uma vontade social forte de tratar seus portadores, que não existiu no período anterior. Nada obstante, “as doenças que a ciência não consegue explicar sempre provocaram repulsa, fascinação, temores, rejeição, adoração. Em todo caso, jamais ensejaram indiferença” (ibid., p. 32).

Durante a Idade Média, ser diagnosticado com uma doença infrequente era motivo de estigma e maiores implicações sociais para o indivíduo. Ao estudar as mais importantes obras médicas antigas dedicadas às doenças raras, Marc Doods (2015) refere o estudo do médico flamengo Rembert Dodoens, de 1581, que descreveu 200 diferentes enfermidades raras conhecidas à época, bem como 942 plantas susceptíveis de tratar essas patologias, além de algumas cirurgias. Ele relata que os casamentos entre primos consanguíneos eram comuns à época na Europa, o que provavelmente tenha resultado numa variedade de enfermidades genéticas. Consigna, ainda, que a primeira descrição de uma doença rara atribuída à hereditariedade (a “*alkaptonuria*”) foi realizada por Archibald Garrod, em 1902, embasando-se no estudo de proteínas.

fixado e elaborado conceitualmente antes do advento da Internet, perdendo-se de vista que ela ameaça não só nossa privacidade, mas o próprio conceito de privacidade em si (SCHAUER, 1998, pp. 561-564).

No entanto, será apenas no final do século XX que alguns familiares de doentes incomuns, como os pais de pessoas com distrofia muscular na França, tensionam o *establishment* biomédico, de maneira a pavimentar as vias do que hoje reconhecemos por “doenças raras”. A publicação seminal de Callon e Rabeharisoa (1999) sobre a “*Association Française pour la Myopathie*” (AFM) sublinha como a emergência desta organização, em 1958, desempenhou um papel importante, por força da persistência de alguns pais para se reconhecer a distrofia muscular como uma doença propriamente dita, e, portanto, algo potencialmente curável/tratável. Esta obra constitui a primeira etapa de uma pesquisa que seguiu por anos reconstruindo a história desta associação, que desde o início seguiu um princípio de se “inclinara à ciência”, mas sem se sujeitar a “ser controlada por cientistas”. Com isso, inventa-se um modelo original em que leigos dialogam com experts, sem perder de vista objetivos científicos comuns.

Finalmente, em artigo publicado em 2006, Vololona Rabeharisoa demonstra como esta associação, com os anos, tornou-se uma “mediadora entre diferentes atores sociais”. Para isso, esta organização necessitou trilhar uma “via de mão dupla”, para tirar esta doença rara, a miopatia, da invisibilidade, através da abertura de espaços para não-pacientes no âmbito da comunidade de pacientes – sob uma lógica inclusiva que universalizou e generalizou a “doença” –, somada ao que a autora chama de ideologia da “ciência para todos” – abrindo espaço para os pacientes integrarem a sociedade – sob a rubrica do compartilhamento de uma humanidade de fundo (RABEHARISOA, 2006).

Neste sentido, Callon e Rabeharisoa (2003, pp. 193-204) sublinharam como certas famílias (e, por vezes, alguns médicos), que insistiram em não admitir que seus parentes, portadores de miopatia, fossem mantidos ontologicamente como “defeitos da Natureza”, lograram fazer com que estes fossem considerados como seres humanos que sofrem de doenças genuínas, merecendo ser tratados, portanto, como tais. Ao contribuir para a produção de conhecimento, estas associações ao mesmo tempo passam a transformar a natureza epistêmica dessas condições e potencializam o *status* social das pessoas afetadas (id.). Portanto, o engajamento de organizações de pacientes alterou a autodescrição destes indivíduos, que eram considerados “anormais”, passando a integrar a sociedade e, progressivamente, a cidadania.

Assim, visto que nem os Estados nacionais, nem a indústria farmacêutica tiveram a capacidade de se lançar nesta difícil batalha contra as doenças raras, foram os pais de crianças acometidas por estas enfermidades que inseriram esta problemática na

agenda pública, até que fossem adotadas algumas normas necessárias. De toda forma, houve uma concomitância entre o desenvolvimento de associações de pacientes favorecidas pelas novas tecnologias da informação e o progresso da genética (RIGAL, 2017, p. 38), que remonta aos anos 1970, década durante a qual foram preparadas as primeiras normas dos Estados Unidos da América (EUA). Neste contexto:

O termo medicamento órfão foi utilizado pela primeira vez no ano de 1968, pelo pediatra Harry Shirkey, em um editorial da revista *Pediatrics* para se referir a uma droga de adulto para uso pediátrico. Trata-se de um medicamento potencialmente útil, não disponível no mercado, em função de sua exploração não ser considerada lucrativa devido à baixa escala da demanda. (AITH et al., 2014, p. 20)

Logo, as enfermidades raras foram “redescobertas” pelo saber científico, de maneira que, com a promulgação da Lei de Medicamentos Órfãos (1983), os EUA foram os pioneiros na criação de políticas de acesso e incentivo ao desenvolvimento de “drogas órfãs”, o que redefine e re-segmenta, não só este grupo de patologias, mas toda uma população de cidadãos doentes. Posteriormente, este modelo de regulação seria seguido por Japão (1993), Canadá (1996), Austrália (1998) e União Europeia (1999).

Em sua acepção contemporânea, Cordovil e colaboradores sublinham que “‘doenças raras’ é expressão ligada a ‘medicamentos órfãos’”. Esta última designação surge como consequência de toda a polêmica envolvendo a publicação, nos Estados Unidos, da Emenda Kefauver-Harris” (OLIVEIRA et al. 2012, p. 4). Importa dizer que o poder do “*Food and Drug Administration*” (FDA) foi reforçado por esta Emenda, que modificaria a “*Federal Food, Drug and Cosmetic Act*”, de 1938. Assim, como veremos em detalhes na seção seguinte, os ensaios clínicos passaram a ter que respeitar regras cada vez mais severas, de forma que a produção de muitos medicamentos deixasse de ser economicamente interessante para os fabricantes. Por força disso, algumas drogas foram chamadas de “órfãs” e passaram a receber um tratamento diverso por parte das autoridades encarregadas da regulação. Ou seja, o conceito “doenças raras” não surge para definir um problema médico, mas um problema de natureza econômica (id.).

Definitivamente, este grupo de patologias veio a ocupar uma agenda de pesquisas de cientistas sociais interessados, sobretudo, no estudo da articulação de “movimentos de organizações de pacientes”, rótulo que chama atenção não só para a figura do paciente, mas para o fenômeno da organização e as dinâmicas de movimentos (SOCIAL SCIENCE & MEDICINE, 2006, p. 530). Destarte, constituem uma “política

da vitalidade”, que enseja desafios às formas convencionais de mediação e gestão de corpos e patologias, identidades, moralidades, subjetividades e agências, na qual:

O paciente emerge não só como campo de aflições, tratamentos e pesquisas, não apenas como campo para interpenetrações por parte de instituições poderosas e interesses em disputa, mas como um campo para análises da socialidade e da moralidade, natureza e cultura, liberdades e deveres, e por uma constelação de inscrições desde os direitos humanos aos direitos do consumidor até direitos individuais da cidadania. (SOCIAL SCIENCE & MEDICINE, 2006, pp. 535-546)

Em suma, a história das doenças raras acompanha o nascimento da era genômica, inaugurando outras legitimidades que operam através daquilo que alguns denominam como “economia moral da esperança”, na qual a ignorância, a renúncia e a falta de esperança no futuro passam a ser “intoleráveis” (ROSE & NOVAS, 2003, p. 6). Vidas, mercados biomédicos e interesses de várias ordens gravitam no arranjo corporal em torno do qual laboratórios costumam remunerar generosamente seus acionistas e poderes públicos buscam legitimar seus procedimentos, com um olhar na perenidade do orçamento público. Para citar Michel Foucault:

(...) o ‘corpo’ – corpo dos indivíduos e das populações – surge como portador de novas variáveis: não mais simplesmente raros ou numerosos, submissos ou renitentes, ricos ou pobres, válidos ou inválidos, vigorosos ou fracos e sim mais ou menos utilizáveis, mais ou menos suscetíveis de investimentos rentáveis, tendo maior ou menor chance de sobrevivência, de morte ou de doença, (...). (FOUCAULT, 1985, p. 198)

E, visto que a farmacologia tende a oferecer às doenças raras, por vezes, o tratamento de sintomas ou cuidados paliativos, e que, portanto, uma assistência medicamentosa jamais permite sua “cura”, mas, no máximo, a sobrevivência por um certo período, o que significa para alguns o “prolongamento da doença”, segundo a lógica econômica, os pacientes raros são reduzidos a um peso inerte. Os traços biológicos desta população se tornam, neste sentido, elementos pertinentes para a gestão econômico-sanitária, carregando em seus corpos uma miríade de interesses opostos.

1.2. Paradoxo do ensaio clínico: maior rigor técnico, inovações em declínio

A indústria farmacêutica criou o costume de remunerar generosamente aos seus acionistas e de ser apresentada ao público como caso exemplar de investimento em pesquisa e desenvolvimento. O que está em jogo quando se fala no valor destas

empresas é a “necessidade de inventar de forma permanente”, conduzindo a que todo seu esforço recaia sobre a invenção e sobre a proteção jurídica desta invenção (PIGNARRE, 2005, p. 23). Ocorre que a invenção de novos medicamentos é cada vez mais custosa: “nos Estados Unidos, desde 1970, o orçamento de pesquisa em medicamentos se duplica a cada cinco anos” (ibid., p. 24). Em suma, os custos aumentam de maneira extraordinária, enquanto os laboratórios sofrem com rendimentos decrescentes e déficits de inovação. Como Philippe Pignarre (2005) retrata em obra primorosa sobre a indústria farmacêutica:

O “terreno” que exploram os investigadores da indústria farmacêutica seria, então, cada vez menos fértil. Por quais razões? A indústria farmacêutica costuma explicar o aumento nos custos dos ensaios clínicos pelas exigências cada vez maiores dos poderes públicos na hora de homologar um novo medicamento. Mas quais são as razões pelas quais os poderes públicos necessitam, para se deixar convencer, mais e mais estudos que incluam mais e mais pacientes? Em primeiro lugar, porque os novos medicamentos podem pôr em grave perigo a vida dos consumidores, tal como ocorreu com a talidomida; o escândalo que esta suscitou motivou o reforço das exigências em todos os países. Mas também – e sobretudo – porque as melhorias aportadas pelos novos medicamentos são cada vez mais imperceptíveis, e, portanto, cada vez mais difíceis de demonstrar. (PIGNARRE, 2005, p. 29)

Com isso, do ponto de vista estatístico, os números para se verificar que o medicamento provoca melhoras passa a ter que reunir dezenas de milhares de pacientes para estudá-los por um lapso de tempo mais prolongado. Este processo acompanha o desenvolvimento da Medicina Baseada em Evidências (MBE), cujos métodos para distinguir terapias eficazes daquelas que não funcionam reflete a influência cada vez maior de modelos estatísticos e econômicos sobre a medicina. A MBE buscava contrapor críticas que a prática médica vinha sofrendo nos anos 1970, pela promoção de um modelo “objetivo” de clínica, “através do uso das melhores abordagens disponíveis, de técnicas de *screening* mais rigorosamente testadas, enfim, das melhores abordagens de diagnósticos, gestões e monitoramentos” (KRUEER & STEIN, 2008, p. 197).

No plano internacional, as terríveis consequências da talidomida obrigavam os poderes públicos a colocar a indústria farmacêutica sob vigilância. Isto é, em reação ao escândalo desta substância, que provocou defeitos congênitos em milhares de crianças, a Emenda Kefauver-Harris, de 1962, obrigou os fabricantes de drogas a oferecer provas de eficácia e segurança de seus produtos através de “ensaios clínicos”, que logo se espalham em legislações parecidas em todo o mundo. Porém, destaque-se que os ensaios clínicos conformam um controle imediatamente delegado à própria

indústria: “em todos os países, os poderes públicos se contentaram sempre com a mera verificação dos resultados e das metodologias utilizadas por iniciativa dos industriais” (PIGNARRE, 2005, p. 53). Progressivamente, os ensaios clínicos passam a ter que respeitar regras cada vez mais severas. Entre 1970 e 1990, o número de ensaios clínicos em média necessários para demonstrar a vantagem dos medicamentos em teste se duplicou, passando de 30 a 60. No mesmo período, o número de pacientes incluídos em ensaios clínicos se multiplicou por mais de dois, o que explicaria o aumento dos custos (ibid., p. 75). Em resultado, o número de medicamentos em desenvolvimento que poderiam aspirar ao posto de *blockbuster* diminuiu fortemente, como constata Pignarre:

o método dos ensaios clínicos, imposto em princípios da década de 1970 para disciplinar as mais variadas invenções dos químicos antes de converter-se no eixo de funcionamento dos laboratórios farmacêuticos, matou também a galinha dos ovos de ouro quando começou a aplicar-se com todo seu rigor. (PIGNARRE, 2005, p. 75)

Portanto, é no interior do ensaio clínico, reconhecendo-se a importância do conceito foucaultiano de Estado, “como objeto de conhecimento e como instrumento e lugar de formação de conhecimentos específicos” (FOUCAULT, 1985, p. 81), que este novo objeto, o “medicamento moderno”, passa a ser construído de maneira cuidadosa (PIGNARRE, 1999, p. 58). Sem embargo, como demonstra o estudo de P. Pignarre: “Em escala mundial, a introdução no mercado de novos medicamentos (com, ao menos, um princípio ativo novo) vem baixando de forma regular desde 1975: 33 em 1980, 25 em 1985 e 15 em 1990” (PIGNARRE, 2005, p. 38). Cumpre sublinhar que “novos medicamentos” não sinonimizam “novos blockbusters”. Pois, muitas novidades estão destinadas a mercados extremamente reduzidos e que nem sempre será possível ampliar, inclusive através dos melhores métodos de marketing (id.). É neste momento em que se constata a aparição dos órfãos na linha de produção da indústria farmacêutica.

Em suma, assiste-se a um efeito bola de neve no qual, “os custos de investigação e desenvolvimento disparam, enquanto o ritmo com que aparecerem medicamentos inovadores no mercado decresce enérgica e sistematicamente” (ibid., p. 85). A primeira solução para o problema consistiu em efetuar economias de escala por meio da reorganização do campo produtivo através de fusões e aquisições: “tais fusões dão lugar a economias de escala consideráveis, em primeiro lugar graças ao fechamento de plantas industriais” (ibid., p. 86). Pois, as fusões reúnem serviços de investigação e, além disso, “permitem gerar uma relação de forças otimizada com cada Estado

nacional, sem prejuízo de ameaçá-los com retirar-se e não comercializar mais seus medicamentos se as condições de exploração e de preços não são satisfatórias” (id.). Doravante, o poder público “enfrenta a um lobby poderosamente organizado, que não vacila em recorrer à extorsão (para a utilização ou chegada de novidades terapêuticas) e à intimidação” (RIVIÈRE, 2006, p. 43). Em suma, se a metodologia dos ensaios clínicos havia imposto maior rigidez às operações de pesquisa e desenvolvimento, as fusões agravam a situação e sepultam a galinha dos ovos de ouro. Equipes de pesquisa são o que pior se funde nestas operações societárias. Pois, a investigação é um caldeirão de destrezas e habilidades artesanais, inclusive nos setores de ponta, que os gerentes financeiros esquecem ou descartam como pertencente ao passado (PIGNARRE, 2005, p. 38). Com efeito, o impacto das fusões sobre estes setores faz desaparecer habilidades forjadas durante anos de prática. Ao fechar centros de pesquisa, muitos investigadores maiores de 50 anos são dispensados em virtude dos planos societários esperados pelos grandes acionistas: “a partida de quadros de pessoal é a prova de que se está logrando fazer economias de escala” (ibid., p. 87). Esta situação agrava o engavetamento de pesquisas com limitado interesse comercial, tendo em vista que doravante “toda molécula que não resulte satisfatória tem grandes possibilidades de ser descartada sem que se tenha consagrado tempo suficiente” (ibid., p. 90). Portanto, é importante considerar que as fusões, “longe de facilitar ‘sinergias’ nestes domínios chave para a invenção de novos medicamentos, esteriliza ainda mais a criatividade dos pesquisadores” (ibid., p. 91). Em outras palavras, “a indústria – posta a serviço dos negócios, com fabulosas reservas de *cash* – faz reinar sobre o conjunto dos protagonistas uma aterradora polícia do pensamento” (RIVIÈRE, 2006, p. 44). E, não deve restar dúvidas de que a alegação de desinteresse comercial dos laboratórios na pesquisa de medicamentos voltados ao tratamento de certas doenças constitua uma das facetas mais cruéis deste mercado (MÉCHIN, 2007, 62). Neste diapasão, é possível associar as doenças raras às chamadas “doenças tropicais” ou “negligenciadas”:

A questão do reduzido número de doenças raras atendidas é referida por inúmeros autores como um problema comum às doenças negligenciadas, em que são incluídas, juntamente com as doenças raras as doenças tropicais, prevalentes em países periféricos. Nos países periféricos, a baixa capacidade financeira para aquisição de medicamentos desestimula a indústria farmacêutica a desenvolver tratamentos e medicamentos para as doenças tropicais, ao mesmo tempo em que as empresas recebem subsídios financeiros de órgãos de países centrais como OOPD e EMEA para desenvolverem produtos para o tratamento de doenças raras, aumentando as desigualdades de acesso a tratamento em nível global. (AITH et al., 2014, p. 35)

Em síntese, nas mãos do setor privado, “a pesquisa e o desenvolvimento de novos tratamentos dependem do mercado potencial do produto, e não das necessidades de saúde das populações com menos recursos” (VELÁSQUEZ, 2006, p. 18). O problema das “doenças negligenciadas” realça os efeitos de como os países ricos obstaculizam o acesso a medicamentos no Sul Global. Sem embargo, estas talvez possam figurar lado a lado junto ao problema das doenças raras em países periféricos.

1.3. Enfim, adotados: a aparição dos “órfãos” no mercado

Esta seção busca discutir em que medida a luta de pessoas acometidas por doenças raras recai numa zona cinzenta de intersecção entre mercado, ciência e direito, inaugurando tensões que corroboram subjetividades em que o que está em jogo já não é apenas a saúde pública, mas um novo paradigma biopolítico. Afinal, porque os “medicamentos órfãos” acarretam consigo uma nova classe de militantes políticos?

Em uma pesquisa historiográfica abrangente, publicada na revista *Social History of Medicine*, Koichi Mikami (2017) demonstra que a constituição do objeto “medicamentos órfãos” nasce da Casa Branca de Ronald Reagan, pressionada por movimentos de ativistas, situação que a indústria farmacêutica aproveitou para promover a desregulação do setor, em uma atípica aliança entre os militantes da luta contra as doenças raras e os políticos norte-americanos mais conservadores. Dessa forma, o autor defende que a legislação norte-americana se forjou por preocupações alheias a oferecer uma solução para as doenças raras. Assim, considera-a uma “abordagem regulatória pró-mercado”, que operaria não a interesse de pacientes e familiares, mas de transnacionais farmacêuticas.

Tendo em vista que é no Congresso norte-americano onde a “bola começou a rolar”, reportaremos de forma mais detalhada os debates prévio à edição da Lei de Medicamentos Órfãos na Parte II deste estudo, ao descrevermos a arquitetura regulatória dos EUA. Por ora, cumpre registrar que, diante das condições em que se encontrava o mercado de invenções farmacêuticas, os medicamentos órfãos se tornaram uma forma de reativar a linha de produção. No entanto, a partir de 1991, aquela lei passou a receber diversas tentativas de reforma, tendo em vista que alguns medicamentos estavam faturando milhões sob seu regime de incentivos, como o “alglucerase”, que havia gerado 120 milhões de dólares em seus primeiros 10 meses de vendas (MIKAMI, 2017, p. 19). Sem embargo, a defesa desta medida regulatória no

Congresso seria realizada pelos políticos mais conservadores, por vezes, na companhia de representantes da indústria, como o Senador Orrin G. Hatch, para quem a Lei de Medicamentos Órfãos era uma “história de sucesso” e sua reforma seria “o exemplo perfeito da tentativa perdida de consertar uma lei que não está prejudicada” (id.).

Isto posto, há mister de se compreender o papel de incentivos fiscais no desenvolvimento de “medicamentos órfãos”, que recebem este adjetivo devido ao pouco interesse da indústria em fabricar produtos destinados a uma clientela que, em tese, teria reduzido potencial de mercado. Contudo, para além desses interesses mercadológicos, Mikami reconhece que nos últimos 20 anos, as organizações de pacientes têm interagido e influenciado intensamente o debate com pesquisadores e médicos, na busca de melhorar suas condições de vida (ibid., p. 2). De fato, esta arquitetura regulatória provocou também desenvolvimentos técnico-científicos substanciais, gerando benefícios terapêuticos espetaculares para os pacientes (LUZZATTO et al., 2015).

Vale sublinhar que é bastante improvável que níveis de precisão estatística sejam obtidos em estudos de drogas que têm potencial para tratar uma doença rara (OLIVEIRA et al., 2011, p. 151). Considerando-se a escassez de sujeitos de pesquisa, novos critérios de segurança e eficácia vão se moldando, e provocam um câmbio de padrões de análise. Assim, dilemas éticos nascem no interior da pesquisa clínica, quando esta opera com bases para a aprovação do tratamento que passam a buscar não mais desfechos clínicos significativos, mas o efeito da substância sobre um desfecho clínico substituto (os tais “*surrogate endpoints*”). Em contrapartida, exige-se que o candidato a medicamento órfão seja estudado com maior intensidade no período pós-comercialização, para verificar e descrever seu verdadeiro benefício clínico ou seu efeito sobre a mortalidade ou a morbidade irreversível (DALLARI, 2015, p. 259).

Sem embargo, não é algo singelo para o direito que todos os envolvidos neste processo, dos pacientes aos reguladores, estejam dispostos a aceitar maiores riscos ou efeitos colaterais na pesquisa de medicamentos órfãos (ibid., p. 260). O conceito de “risco” se altera quando da regulação de estudos de drogas que têm potencial para tratar uma doença rara, estendendo os direitos dos pacientes *simetricamente* em novas direções. Reivindica-se um “direito a ser pesquisado”, como retratam Biehl & Petryna (2016, p. 186) em primoroso trabalho etnográfico. Advém inovações legislativas como a Lei francesa n.º 92-1279/1992, que autoriza o “uso compassivo” de medicamentos que estão em desenvolvimento (RIGAL, 2017, p. 151). Visa-se permitir que pacientes terminais obtenham drogas em estudo, através do chamado “direito a experimentar”

(ADRIANCE, 2014). A tarefa em mãos consiste, portanto, em encontrar o “equilíbrio ideal entre os riscos e os benefícios assumidos individualmente” (DALLARI, 2015, p. 264). Enfim, é preciso saber o quanto as partes envolvidas estão dispostas a aceitar em termos de riscos ou efeitos colaterais para o registro e utilização destas substâncias.

1.4. Um “objeto estranho”: entre direito, ciência e tecnologia

Na presente seção, busca-se encerrar a apresentação do objeto, com uma breve pincelada sobre o campo de estudos que subjaz a esta pesquisa, que veio se estabelecer como “estudos de ciência e tecnologia” (“*Science and Technologie Studies*”), cujo passado remonta à denominada “sociologia da ciência”, que, a seu turno, começa a emergir nos anos 1940, em parte como uma consequência dos debates ao redor da “liberdade científica” após a Segunda Guerra Mundial (TASCHWER, 1996, p. 217).

Ao confrontar as opressões stalinista e do nazismo alemão sobre o campo científico entre os anos 1940 e 1950, Robert K. Merton (1972), em sua abordagem funcional-estruturalista, argumentou fortemente pela salvaguarda da autonomia da ciência, tendo em vista que esta deve ser, em uma democracia, ao menos em alguma medida isolada do resto da sociedade por conta de seu “*ethos* particular”, suas estruturas e normas específicas (MERTON, 1972, p. 68). Outro importante trabalho seria aquele realizado pelo físico convertido a sociólogo, Thomas S. Kuhn. Para este autor, quando um saber se organiza como ciência, o que caracteriza sua história são processos cumulativos, seguidos de rupturas que abrem um novo processo de acúmulo. Logo, a história da ciência apresentaria um certo padrão, que poderá ser explicado por referência à estrutura institucional da ciência, é dizer, à forma como os cientistas embasam suas pesquisas em objetos consensuais, isto é, em *paradigmas*. Segundo ele, o *paradigma* é o modos operandi da ciência, que filtra e torna as percepções de mundo inteligíveis, como conjunto lógico de práticas que são operacionalizáveis (KUHN, 1972, p. 80).

Mas serão os desenvolvimentos recentes nos estudos de ciência e tecnologia que conduzirão nosso olhar acerca dos medicamentos órfãos. Os estudos de ciência e tecnologia, também traduzidos por estudos de Ciência, Tecnologia e Sociedade (abreviado, “CTS”), ou apenas “estudos científicos”, abarcam um campo transdisciplinar de estudos sobre os efeitos culturais, políticos e éticos do conhecimento científico e da inovação tecnológica, dando ênfase à interpretação sobre as utilidades, apropriações e impactos de objetos técnico-científicos na vida cotidiana das pessoas. De

maneira tateante buscaremos pôr em diálogo este campo teórico com os estudos sociojurídicos. Nada garante que haverá *afinidade* entre tais abordagens; até mesmo porque hoje é difícil falar em “estudos de ciência e tecnologia” como uma entidade monolítica. Não há uma abordagem homogênea neste campo; pelo contrário, há uma gama de escolas divergentes, tais como, o programa forte de CTS, os estudos de laboratório ou etnografia da atividade científica e a teoria do ator-rede.

No atual momento de “transição paradigmática”, como defende o intelectual português, Boaventura de Sousa Santos, a interligação mútua entre o que chama de “cientificismo jurídico” e “estatismo jurídico” revela até que ponto o isomorfismo epistemológico do direito com a ciência moderna é limitado por sua eficácia pragmática: “o saber jurídico tornou-se científico para maximizar a operacionalidade do direito enquanto instrumento não científico de controlo social” (SANTOS, 2001, p. 165). Destarte, a cultura jurídica do Estado Moderno sofre de um desajuste endêmico, visto que, ao reclamar para si capacidade operacional, o positivismo jurídico depende de um conhecimento científico da sociedade, a ser desenvolvido pelas ciências sociais (id.).

Outrossim, o “direito, que reduziu a complexidade da vida jurídica à secura da dogmática, redescobre o mundo filosófico e sociológico em busca da prudência perdida” (SANTOS, 1995, p. 64). Mas quando busca reencontrar esta “prudência perdida”, nem a sociedade, tampouco as ciências sociais, serão as mesmas. Disputado como objeto, “o mundo social é uma ilusão”, vez que “essa invenção de um contexto social enucleado inviabilizou a compreensão do mundo moderno como um todo” (LATOUR, 2017, p.131). Assim, talvez a maior contribuição à sociologia da ciência tenha sido a de Bruno Latour, ao torná-la menos antropocêntrica e trazer os não-humanos ao centro do debate sociológico, postular que estes são dotados de agência, permitindo-se, com efeito, entender melhor o humano. Para citar o filósofo francês:

Podemos agora avaliar o grave equívoco cometido por quem afirma que os estudos científicos oferecem “uma explicação social da ciência”. Sim, eles oferecem uma explicação, mas da *origem artefactual de um conceito inútil de sociedade**, obtida pela enucleação de disciplinas científicas a partir de sua existência coletiva. (LATOUR, 2017, p.132)

Devido à constante restrição do significado “social” (contrato social, função social, direito social), a tendência do cientificismo jurídico é limitar o social aos humanos e às sociedades modernas, “esquecendo que a esfera do social é bem mais ampla que isso” (LATOUR, 2012, p. 24). Em troca, explica Bruno Latour (ibid., p. 21)

“não existe nenhuma dimensão social, nenhum ‘contexto social’, nenhuma esfera distinta da realidade a que se possa atribuir o rótulo ‘social’ ou ‘sociedade’”. Portanto, no campo dos estudos de ciência e tecnologia, não há sentido em acrescentar “fatores sociais” a outras especialidades científicas, bem assim, “a relevância política obtida por meio de uma ‘ciência da sociedade’ não é necessariamente desejável” (ibid., p. 22).

Com isso, a perspectiva sociológica tradicionalmente recepcionada no campo jurídico, sob o pretexto de agregar “mais humanidade” ao direito, leva em conta os fenômenos reconduzindo-os à análise da relação direta dos humanos-entre-eles, dando-se ao luxo de ignorar os objetos que fabricamos em coletivos muito mais complexos, e que têm a capacidade de se tornar parcialmente autônomos em relação aos que os utilizam, assim como em relação aos que os fabricam (PIGNARRE, 1999, p. 38). Este é precisamente o caso dos medicamentos órfãos.

Seguindo desta forma construtivista, é preciso estudar o problema dos medicamentos órfãos como um “objeto fronteiro” (HUYARD, 2009, p. 464), no contexto mais amplo do referente “medicamento moderno”. Conforme detalha Philippe Pignarre (1999, p. 102), este “objeto estranho” desempenhou um papel formidável nos últimos cinquenta anos, acarretando o surgimento do “direito à saúde”, por haver permitido pela primeira vez que as ideias de saúde e de cura se tornassem reivindicações coletivas, o que induz a uma mudança do estatuto ontológico da doença e da saúde. Nesta senda, os pacientes aprendem a falar em termos de direitos humanos, enquanto os cientistas aprendem a falar em termos de negócios e os empresários, não só em termos de resultados científicos, mas também de direitos humanos.

Enfim, os medicamentos fabricam o social, cujas coordenadas podemos encontrar estudando a maneira pela qual eles *dobram* conjuntamente o biológico e o social no modo de constituição de suas peças e engrenagens, em primeiro lugar, no estudo do contra-placebo. (PIGNARRE, 1999, p. 146)

É preciso, igualmente, estudar a judicialização de nosso objeto “fronteiro” e “estranho”, a partir também do campo de estudos sociais de ciência e tecnologia, para não dizer, de uma perspectiva latouriana. Com este objetivo, urge considerar que o medicamento participa da fabricação do social, enquanto por “social” se deve entender, seguindo Pignarre (1999, p. 84), o dispositivo geral que cria atores e dispositivos de relações entre eles, os quais deverão incluir, nesse caso, a compreensão que os atores humanos desenvolverão acerca da doença e de seus modos de tratamento. Como realça:

Trata-se, portanto, de uma concepção construtivista do social: quando falamos de socialização (...), falamos também da maneira pela qual os objetos, os não-humanos, contribuem para definir o social, e não da maneira pela qual o refletiriam passivamente. (PIGNARRE, 1999, p. 85)

Somente inspirado por este novo campo de estudos, em que, como observa Pignarre (1999, p. 142), “não há de um lado um lado a ciência e de outro o social: ambos são inventados simultaneamente”, o direito saberá se tal ou qual decisão sobre um “objeto fronteiro” como este se fundamenta em “boas razões” (SUNSTEIN, 1994). Tratam-se de problemas decorrentes da formação profissional, mas também de diferenciação e do fechamento operativo do sistema jurídico, do sistema político, e o que sugere, ainda, insistir-se na diferenciação funcional e em colocar em campo também as potencialidades do sistema científico (LUHMANN, 1995, p. 30). Neste sentido, esta dissertação talvez possa colmatar um vazio nos estudos sociojurídicos que cuidam da relação entre direito e estudos de ciência e tecnologia, enfocando em agências de ATS, tendo em vista que as posições dos gestores do sistema de saúde podem ser transformadas por oscilações políticas e socioeconômicas. Ademais, no caso brasileiro, a CONITEC é extremamente jovem, razão pela qual se deduz a falta de conhecimento acumulado em ATS, associada à escassez de especialistas sobre o tema no país e à falta de diálogo entre pesquisadores e gestores públicos (YUBA et al., 2018, p. 8).

Finalmente, com as seguidas revoluções tecnológicas, que penetram nas fundações políticas e sociais de nossas culturas, um novo momento constitucional parece emergir, gerando a correspondente reformulação do dogma de que a tarefa do estado de direito é tutelar a vida da população (JASANOFF, 2019). Vale lembrar, Hart (1980, p. 241) define o “conteúdo mínimo do direito natural” como aquele que assegura a sobrevivência da sociedade que o direito busca regular.

Hoje adicionam-se a este conteúdo transformações transversais ao direito e à biotecnologia, que estariam alterando como as sociedades humanas pensam em termos do que significa viver e “ser humano”, e quais direitos e valores se acoplam a esta humanidade e a esta vida (JASANOFF, 2011, p. 4). Uma questão fundamental passa a ser como o direito reagirá quando novos constructos biológicos cruzarem fronteiras conceituais que aquele tinha como naturais e estáveis. Enquanto estas linhas divisórias perdem nitidez, gera-se uma correspondente instabilidade no enfoque jurídico destas outras formas de vida, direitos e legitimidades. Nada obstante, as instâncias judiciais são convocadas a atuar cada vez mais na definição destas identidades e sujeitos emergentes.

PARTE II – OS DIVERSOS AMBIENTES REGULATÓRIOS

“Se eu morrer em consequência da falta de medicamentos por atraso, desejo que denuncie ao Ministério Público este descaso com a vida.”

Margareth Mendes

Esta Parte II compara diferentes arquiteturas regulatórias, buscando isolá-las de variáveis como o desenvolvimento econômico e técnico-científico, para conduzir o olhar por questões mais complexas de como a biomedicina, interesses estatais e sociais são trazidos à baila da regulação no contexto do desenvolvimento e acesso a medicamentos órfãos nos sistemas sanitários do Sul Global. Inicia-se com a descrição e comparação dos ambientes regulatórios dos seguintes países: Chile, Colômbia e Peru (periféricos); Estados Unidos e França (centrais). Em seguida, descrevemos o princípio da integralidade em relação às pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde (SUS) e como se dá nesse âmbito a incorporação de produtos farmacêuticos. Relatamos, ainda que de maneira breve, como nasce a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC), buscando identificar a sua natureza institucional. E, partindo de uma descrição sucinta do ciclo da assistência farmacêutica, analisa-se como a arquitetura regulatória no Brasil funciona, por vezes, de maneira contraproducente, para não dizer, perversa. Isto ajudaria a entender a ausência dos fabricantes à Consulta Pública da CONITEC sobre a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas para doenças raras (Portaria SCTIE-MS N.º 19/2015). Busca-se contestar se, com efeito da profusão de uma pluralidade de órgãos que regulam um mesmo objeto, o acesso a medicamentos por doentes raros no Brasil, embora reconhecido idealmente como um direito de cidadania (FRANCO & MERHY, 2013, p. 311), colide com a regulação de medicamentos em vigor, erigindo barreiras para o acesso a tratamentos para este grupo de doentes. Em outras palavras, investigaremos a seguir até que ponto o Estado Regulador poderia funcionar como um rival ou aliado do avanço tecnológico quando se trata do direito à saúde de pacientes raros.

Capítulo 2. O Estado Administrativo em Perspectiva Comparada

A partir do New Deal (1933), passou-se a idealizar ao Estado como uma máquina administrativa dirigida por agências tecnocráticas que regulariam problemas sociais complexos no interesse público (ACKERMAN & HASSLER, 1981, p. 1). Nesse contexto, o legislador deveria passar a se limitar a editar cláusulas gerais para a gestão dos problemas que surgem na sociedade, delegando a tomada de decisões a instituições que, por seu desenho, não necessitam prestar contas aos eleitores ou seus representantes; é dizer, a instituições não-majoritárias (MAJONE, 1996, p. 3). Como explicam Ackerman & Hassler (1981, p. 6), a afirmação da expertise técnica garantiria que as agências estivessem isoladas do controle político, dificultando que um impulso nacional momentâneo pudesse afetar políticas de longo prazo, além de proteger ditas agências de sua captura por interesses especiais. Em resultado, a missão central do direito público passa a se limitar à criação de estruturas e procedimentos capazes de canalizar os diversos saberes relevantes para a tomada de decisões administrativas.

À medida que o ‘mito da tecnocracia’ se populariza como a crença de que a vida moderna é por demasiado complexa para ser gerida por pessoas comuns, a globalização dos mercados e a interdependência gerada pela questão ambiental enfatizam a necessidade de regulações supranacionais, de forma que estas agências se convertem em organizações cosmopolitas, tomando em conta os compromissos de largo prazo necessários para lidar com os problemas regulatórios que transcendem aos estados nacionais (MAJONE, 1996, p. 11). Com efeito, o que se convencionou chamar de Estado administrativo, ou Estado regulador, passa a ser um tema incontornável ao estudo da institucionalidade contemporânea, que têm a ver com a atuação de um Estado que deixa de ser estritamente a de mera proteção da liberdade (ou da livre iniciativa), e também menos intervencionista, passando a um Estado em que a dimensão da Administração (empresarial) torna-se menor, com o consequente crescimento da participação do setor privado na gestão de serviços públicos, donde a necessidade de uma maior flexibilização da Administração para exercer funções de controle normativo e regulador. Como sintetiza Tercio Sampaio:

Ou seja, nem o estado mínimo, protetor das liberdades (estado de direito liberal), nem o estado promotor de benefícios sociais e econômicos (estado social), mas o estado regulador que contribui para o aprimoramento das eficiências do mercado (estado regulador). (FERRAZ JR., 2000, p. 143)

Ao Estado administrativo imediatamente se associa a figura da “agência reguladora”: uma importação direta do direito administrativo dos Estados Unidos, que prolifera não só no Brasil, mas que se espalhou, por força da globalização, por diversos países da Europa e da América Latina. O argumento em favor de agências deriva em larga medida da crença na necessidade de uma atividade administrativa embasada em expertise apolítica e tecnicamente sofisticada (SUNSTEIN, 1990, p. 426).

O vocábulo “agência”, no direito norte-americano, significa falar em qualquer autoridade governamental, excluindo-se apenas o legislativo e o judiciário. Portanto, há que distinguir entre “*executive agencies*”, cujos quadros dirigentes são de livre disposição do Presidente da República, e as “*independent regulatory agencies*”, cujos dirigentes têm mandato e estabilidade (FERRAZ JR., 2000, p. 144). Para Cass Sunstein (1990, pp. 426-428), ambos os tipos de agência são responsivas às oscilações do ambiente político, especialmente no poder executivo. Disto se segue que as *agências regulatórias* norte-americanas se sujeitam em alguma medida ao controle presidencial, e, neste sentido, “de fato, elas não são em nada independentes” (ibid., p. 439).

Adrian Vermeule (2018), buscou demonstrar que ao longo do tempo, o próprio direito foi concedendo cada vez maior discricionariedade ao Estado administrativo. Com efeito, o centro de gravidade da política constitucional se desloca dos tribunais e juristas, cada vez mais, às agências executivas e reguladoras, ensejando uma nova divisão de poderes. Para ele, nos atuais níveis de complexidade, altos custos de informação e incertezas, que circunscrevem o espaço fronteiro da formulação de políticas pelas agências—considere-se a proteção da saúde, o cambio climático e a biotecnologia—, os formuladores das políticas, no seio das agências, podem reclamar maior legitimação democrática e maior competência técnica que os juristas, de forma que o valor marginal proporcionado pelos juristas passa a ser questionável (VERMEULE, 2018, p. 22). Os tribunais relegam a regulação da sociedade a outros ramos do governo – ao Estado administrativo –, em uma tendência rumo à deferência judicial, que seria “um traço marcante do Direito no Estado administrativo, observável ao longo do tempo em muitos sistemas jurídicos” (ibid., p. 26). Grosso modo, o Estado administrativo ameaça o império do Direito, com o rebaixamento dos tribunais e juízes a um estatuto inferior, à condição de funcionários marginais situados em províncias periféricas e encarregados de patrulhar os limites mais externos da autoridade pública. Pois, “já não são nem os atores centrais, nem os guardiões dos princípios” (ibid., p. 15).

Nos Estados Unidos, as agências têm ampla discricionariedade para empregar análises de custo-benefício, salvo que a Lei as proíbam expressamente, o que empodera os tecnocratas a expensas dos juristas (VERMEULE, 2018, 267). Neste sentido, a jurisprudência da Suprema Corte, em especial, no caso *United States v. Mead Corp.*, ao promover ou limitar vários tipos de profissionais no seio das agências, determinou o alcance relativo e o poder dos juristas no Estado administrativo. Isto é o que Vermeule (2018) chamará de “abnegação do direito”. Daí que a questão fundamental passa a ser em que medida o Estado administrativo foi causado pela erosão da democracia constitucional ou por seu natural desenvolvimento. Vermeule (2018, p. 26) contesta que foi o próprio sistema clássico da divisão de poderes, funcionando por intermédio das instituições, o que primeiro provocou o Estado administrativo. Com efeito, para ele, “se o Estado administrativo fosse de alguma maneira abolido amanhã, o Congresso começaria com toda probabilidade a trabalhar para recriá-lo em um ciclo de recorrência eterna”(VERMEULE, 2018, p. 66). Desta forma, o autor argumenta que:

A magnitude do Estado administrativo, com seus milhões de empregados, centenas de agências e um sem-número de resoluções, portarias, decisões, políticas e programas públicos, apequena os recursos e as capacidades de controle do sistema legal. O anterior império do Direito passa a ser, cada vez mais, um posto avançado nas margens do império administrativo. (VERMEULE, 2018, pp. 282-283)

Corroborando este argumento, muitos autores descreveram como as intervenções regulatórias implicaram transformações substanciais nos EUA. Cass Sunstein (2014) retrata em detalhes sua atuação enquanto ocupou a cabeça do Escritório de Informação e Assuntos Regulatórios da Casa Branca (OIRA), que apelidou como “Cabine de Mando do Estado Regulador”. Neste âmbito, o autor argumenta sobre o uso rigoroso da análise de custos e benefícios, fazendo um esforço para garantir que a ação governamental se embase em fatos, não em intuições, anedotas, dogmas ou nas opiniões dos poderosos grupos de pressão, ou seja, que se embase no que caracterizou como uma “regulação analítica” (SUNSTEIN, 2014, p. 171). Para dar resposta a esta pergunta, ele coloca que “a ciência e os experts científicos (tanto os que estão dentro do governo federal como os alheios a este) resultam indispensáveis” (ibid., p. 17).

No contexto europeu, há também crescentes vozes observando uma transformação verdadeiramente importante do ponto de vista da ciência do Direito Administrativo, não somente na Alemanha, mas também em Portugal e na Espanha. Como sintetiza Luciano Parejo (2012, p. 389), a explicação desta mutação se encontra

na substancial identidade dos fatores determinantes das transformações que vêm experimentando o Estado e seu ordenamento, o que tem direta repercussão sobre a gestão pública e o direito no que tange a sua atuação. Dentre estes fatores, destacam-se a rápida evolução da atual sociedade altamente dependente da ciência e da tecnologia e geradora de riscos de dimensões e consequências até há pouco desconhecidas, os contínuos novos desafios que tal evolução implica, a mundialização da economia (e seus efeitos, em particular na chamada globalização do Direito Administrativo), a “contaminação econômica” das ordens constitucionais e o processo de internacionalização com um caráter mais geral (id.). Oferecendo um contraponto à tese de A. Vermeule (2018), sob forte influência da doutrina alemã, L. Parejo (2012) argumenta em favor da persistência do caráter imprescindível do Direito (em particular, sua função de prevenção de riscos), por mais que sua capacidade de controle e, sobretudo, de configuração social se encontre significativamente diminuída (ibid., p. 395). Com isso, faz-se necessária (i) a reorientação do direito público, mediante uma maior flexibilidade e capacidade de aprendizagem para que as inovações de todo tipo sejam produzidas, mas em consonância ao interesse da generalidade dos cidadãos (o que requer que a ciência jurídica pesquise a inovação); (ii) uma ampliação tanto das formas de controle social e de atividade (administrativa essencialmente) e das estratégias de regulação, como dos critérios jurídicos (ampliação no sentido de fins “brandos”, tais como os de efetividade, eficiência, aceitação social ou viabilidade); e (iii) um enfoque no conjunto de normas, ainda que pertencentes a diferentes ramos e níveis de hierarquia, para seu complemento recíproco, inclusive com caráter subsidiário ou supletivo em caso de insuficiência ou deficiência da primariamente aplicável, dada a importância progressiva de estruturas regulatórias complexas (ibid., pp. 395-396). Pois, em suma, este momento de crise e transformação do Estado traz consigo preocupações novas:

(...) tais como a necessidade de problematização do “crescimento do Estado e das funções por ele desempenhadas, procurando reequacionar o papel do Estado e redimensionar a extensão do seu aparelho”; o realçar da importância da sociedade civil, decorrente de uma “tendência de ‘retorno ao pequeno’ (‘small is beautiful’)”, que se manifesta na “acentuação generalizada dos valores individuais, bem como dos valores relativos à família ou de tipo nacionalista (quando se trata de cosmovisões de direita), ou a revalorização da participação em sindicatos, associações políticas e cívicas ou outros organismos intermédios (quando se trata de cosmovisões de esquerda); “a defesa da participação dos indivíduos no processo de tomada de decisões, quer política, quer administrativa”; a acentuação da “importância dos direitos do indivíduo, como meio de defesa deste contra todas as formas de poder”. (PEREIRA DA SILVA, 2016, pp. 124-125)

Para enfrentar tais desafios, no âmbito da ciência do Direito Administrativo, um grupo de juristas europeus mais recentes, como o português Vasco Pereira da Silva (2016), desloca o centro de sua atenção do “ato administrativo” para a “organização administrativa”, enquanto mecanismo institucionalizado para a produção de decisões: “relativamente à Administração Pública, a opção por formas de actuação concertadas, assim como a crise da noção autoritária de acto administrativo, vão a par da necessária adaptação das estruturas e dos modelos de organização administrativos” (ibid., p. 301). Daí ser no procedimento administrativo, e em uma Administração Pública organizada em função dele, que deveria residir o fulcro atual do Direito Administrativo, em que aquela é certamente “uma pluralidade de centros de regulação” (ibid., p. 129), “uma espécie de ‘condomínio’, onde particulares e autoridades administrativas se tornam ‘cúmplices’ da realização das tarefas administrativas” (ibid., p. 304). Isto implica passar a entender o procedimento administrativo como uma “estrutura de ligação entre vários sujeitos”, públicos e privados, que colaboram na realização de uma determinada função, “concebendo-se o particular como um participante ativo da realização da função administrativa” (ibid., p. 306).

A proliferação das agências reguladoras, ao menos em sistemas que, por um lado, respeitam a propriedade privada e a liberdade contratual e, por outro, impõem controles regulatórios sobre as consequências danosas de mercados desregulados, encontra uma de suas explicações na alta complexidade da atividade administrativa, impossível de ser dominada por saberes genéricos e formais. Daí a ideia de especialização em áreas de atuação demarcadas, nas quais o conhecimento técnico exige formação especial (FERRAZ JR., 2000, p. 145).

Como explica Sueli Dallari (2003, p. 57), digna co-orientadora desta dissertação, o direito contemporâneo apresenta como característica “processos complexos de formação das normas: informação, audiências e consultas públicas, além da complexidade científica dos temas a serem legislados ou julgados”. Ao ensejo, “é a esse tipo de Estado que assenta bem o rótulo de regulador, pois ele deve definir as regras do jogo e harmonizar os comportamentos dos agentes econômicos e sociais” (ibid.). Com efeito, conclui: “aceitando que a saúde pública não pode ser adequadamente protegida pela mediação do mercado – conforme a experiência histórica demonstrou – deve-se identificar o direito sanitário com o direito regulatório” (id.).

Por sua vez, a sociologia da regulação e desenvolvimento de fármacos hoje representa uma agenda de pesquisas empíricas que enfoca no impacto e na importância

das arquiteturas regulatórias para as ciências farmacêuticas (ABRAHAM, 2008; ABRAHAM & LAWTON, 2003). No sentido preconizado por este campo de estudos, por “arquiteturas regulatórias” entenda-se o ambiente amplo das normas estatais, regulações e políticas públicas que conformam o uso e a incorporação de fármacos. Com este conceito, buscar-se-á desatar questões mais complexas de como a ciência, a medicina, interesses privados, estatais e sociais são trazidos à baila da regulação no contexto do desenvolvimento e incorporação de medicamentos órfãos.

O estudioso do campo de estudos científicos e ex-diretor da indústria farmacêutica, Philippe Pignarre (1999, p. 102), defende que é a ausência de um mercado autorregulado o que cria o “direito à saúde”. Em outras palavras, se o medicamento fosse considerado uma simples mercadoria, a saúde jamais seria outra coisa senão uma extensão do mercado, em cujo âmbito os tratamentos ficariam ao alcance apenas dos que dispõem de suficiente poder aquisitivo (VELÁSQUEZ, 2006, p. 22).

Muitos países têm adotado arquiteturas regulatórias voltadas para as enfermidades raras nas últimas décadas. A definição de “doenças raras” não é universal e depende das legislações e medidas regulatórias aplicadas por cada Estado nacional ou região, como no caso da União Europeia (UE). Como vimos na Parte I deste estudo, as drogas órfãs são uma classe especial de medicamentos, usados para diagnóstico, prevenção ou tratamento de doenças raras. Estas, por sua vez, são uma série de enfermidades que afetam um número restrito de pessoas e que apresentam baixa prevalência em uma determinada população. Há mais de 7 mil doenças raras distintas, de acordo com as contagens oficiais, mas este número varia conforme as definições empregadas (LUZZATTO et al., 2018, p. 1). Um critério comumente aceito para que uma droga seja reputada órfã é aquele segundo o qual esta é utilizada para tratar uma enfermidade que afete uma população de aproximadamente 650 a 1.000 indivíduos a cada milhão de pessoas (THAMER et al., 1998, p. 266).

O objetivo deste capítulo consiste na comparação controlada da regulação de medicamentos órfãos, para fins de compreender quais modelos abrem ou fecham caminhos para sua judicialização. Os princípios básicos para seleção de casos foram: (i) o princípio dos “casos mais similares”; e (ii) o princípio dos “casos mais diferentes” (HIRSCHL, 2014, p. 245). O princípio dos casos similares foi empregado para permitir uma análise comparativa entre Brasil e Colômbia, Peru e Chile, Estados Unidos e França; enquanto, o princípio dos casos mais diferentes foi empregado para permitir uma análise comparativa que propicie uma inferência causal através da comparação

controlada entre “países periféricos” (Brasil, Colômbia, Peru e Chile) e “países centrais” (França e Estados Unidos). Destarte, na próxima seção serão descritos e comparados os ambientes regulatórios dos seguintes países: Chile, Colômbia e Peru (periféricos); Estados Unidos e França (centrais). Esta discussão preparará o terreno para questionar-se, no Capítulo 3, se os preceitos normativos que orientam a política de drogas órfãs no Brasil seguem as mesmas tendências que os sistemas regulatórios mais maduros. Enfim, as medidas previstas na Lei Federal nº 12.401/2011 espelham as melhores práticas internacionais? Como dados sobre eficácia, risco e custo-efetividade são interpretados para fins de formulação das políticas de dispensação de medicamentos órfãos?

O método utilizado para tal abordagem comparativa foi a aplicação de modelos, adaptados a partir de uma revisão da literatura. Em primeiro lugar, consolidou-se uma série bibliográfica por meio de critérios de elegibilidade, para a busca tanto eletrônica, em bases de dados como *Public Library of Science*, *ScienceDirect* e *Orphanet Journal of Rare Diseases*, quanto presencial, em bibliotecas como a do *Institut Droit et Santé*, da *Universidade Paris Descartes* e da *Universidad Católica de Chile*, combinando palavras-chave como (“acesso” ou “avaliação” ou “registro”) e (“medicamentos” ou “drogas” ou “fármacos”) e (“órfãs” ou “órfãos” ou “alto custo”) e (“regulação” ou “política” ou “Lei”). A literatura selecionada foi revista a fim de identificar e descrever os modelos regulatórios adotados nos países eleitos.

Sob este pano de fundo, comparam-se critérios qualitativos com a finalidade de verificar similitudes e divergências entre ambientes regulatórios de drogas órfãs em sociedades de iguais ou de diferentes estágios de desenvolvimento. Vale dizer, uma recente pesquisa desenvolveu um modelo para a revisão sistemática de políticas de drogas órfãs (GAMMIE et al., 2015), de acordo com categorias e subcategorias, encontradas no ambiente regulatório de cada país (Tabela 1). Inspirando-se nesta metodologia, os capítulos 2 e 3 mapearão as diferentes estratégias regulatórias através de recursos ilustrativos. Para reduzir a incerteza em torno do material comparado, assegurando-se que comparamos arquiteturas regulatórias e, não, níveis de desenvolvimento econômico ou técnico-científico, inserem-se na amostra arquiteturas regulatórias de outros países em nível de desenvolvimento similar ao brasileiro. Por sua vez, no Capítulo 3, os elementos contidos neste *framework* orientarão no acúmulo de evidências, de molde que se forem constatadas mais diferenças que similitudes entre o ambiente regulatório brasileiro e os de sistemas mais maduros, a seguinte hipótese nula será rechaçada: a arquitetura regulatória vigente no Brasil é similar àquelas de sistemas

mais maduros. Confirmar-se-á, nesse caso, a hipótese alternativa: a arquitetura regulatória vigente no Brasil difere daquelas existentes em sistemas mais maduros.

Tabela 1. Categorias e Subcategorias Encontradas na Literatura

Categorias	Subcategorias
Política Nacional de Drogas Órfãs	Legislações; Planos Nacionais de Doenças Raras; Regulações Transnacionais; Designação de Droga Órfã
Introdução de Drogas Órfãs no Mercado	Procedimentos Acelerados ; Coleta de Evidências Pós-Estudo
Incentivos	Incentivos financeiros; Incentivos não-financeiros
Exclusividade de Mercado	Monopólio
Precificação	Livre vs. Pré-Fixada
Cobertura ou Reembolso	Avaliação de Tecnologias em Saúde; Sistemas de Co-pagamento; Vigilância pós-comercialização; Fornecimento pós-estudo; Acordos de Partilha de Risco

Fonte: Modificado de Gammie et al. (2015)

2.1. Estados Unidos

Com a promulgação da Lei de Medicamentos Órfãos em 1983, os Estados Unidos da América (EUA) foram os pioneiros na criação de políticas de incentivo ao desenvolvimento de drogas órfãs. Em sua definição norte-americana, um medicamento “órfão” está destinado a tratar uma enfermidade que afete menos de 200.000 pessoas nos EUA, formando um mercado pequeno de usuários potenciais, ou então, que afete mais de 200.000 pessoas, mas as vendas provavelmente realizadas naquele país dificilmente permitirão recuperar o investimento em pesquisa e desenvolvimento. Dentre as arquiteturas regulatórias de países centrais ora estudadas, os EUA é o único a adotar estratégias majoritariamente orientadas ao livre-mercado para a regulação econômica dos medicamentos órfãos (THAMER et al., 1998, p. 226). As repercussões desta abordagem pró-mercado no país vem consubstanciando alegações de sobrepreço dos produtos “órfãos”. A designação de uma droga “órfã” nos EUA é emitida pela agência que regula alimentos e fármacos (em inglês, “*Food and Drug Administration*” – FDA). Ao obter a designação “órfã”, obriga-se o promotor a submeter um relatório sobre o progresso de desenvolvimento em um período de até 14 meses, obrigação esta que doravante passa a ser anual. Com base na análise destes informes, o FDA pode retirar o status de órfão do medicamento ou fazer exigências ao seu fabricante.

Em um estudo historiográfico primoroso, Mikami (2017) demonstra de diversas maneiras que o fulcro da Lei de Medicamentos Órfãos não estava em enfrentar as doenças raras ou salvar a vida dos afetados. O autor reúne evidências de que se, por um lado, nos anos 1960 as drogas para doenças raras eram realmente “órfãs” devido à

sua não-lucratividade, por outro, os incentivos recebidos para seu desenvolvimento derivados da referida Lei e de suas modificações posteriores resultaram em que se tornassem lucrativas ainda em princípios dos anos 1990 (MIKAMI, 2017, p. 2). A noção de algumas drogas serem “órfãs” surge nos EUA como consequência de toda a polêmica envolvendo a Emenda Kefauver-Harris (ibid., p. 3), promulgada em 1962, reforçando o poder do FDA, ao enfatizar a obrigação dos fabricantes de oferecer provas de eficácia e segurança de seus produtos. Logo, os ensaios clínicos passaram a ter que respeitar regras cada vez mais severas, de forma que a produção de muitos medicamentos deixasse de ser economicamente interessante para os fabricantes. Foi então, em 1963, em uma conferência ocorrida em Chicago, que Harry C. Shirkey, membro da Comissão de Segurança de Medicamentos, utilizou pela primeira vez a palavra “órfã” relacionada a medicamentos. Neste sentido, a ideia de “orfandade” foi invocada a princípio para enunciar alguns efeitos imprevistos da Emenda Kefauver-Harris, em particular, o abandono de drogas não-lucrativas sob a ótica da indústria farmacêutica (ibid., pp. 4-5). Durante os anos 1970, vale ressaltar, enquanto a estratégia do governo norte-americano era representar o problema das drogas órfãs como uma falha de mercado, atribuível à peculiar clientela reduzida destes produtos, a indústria farmacêutica encontrou neste debate uma oportunidade para chamar atenção para suas próprias demandas. Logo, o desejo dos industriais passa a ser claramente reverter os efeitos daquela Emenda, como disse Peter Barton Hutt (Apud. id.), representante da indústria farmacêutica, em 1982:

Em nossa visão não há uma barreira legal para o desenvolvimento de medicamentos órfãos. Ao invés disso, o problema parece estar em como a lei é aplicada durante o período da investigação de uma nova droga e durante o processo de sua revisão. (...) É uma implementação desnecessariamente rígida da lei o que cria os problemas, não apenas para novos medicamentos órfãos, mas para todos os novos medicamentos. (MIKAMI, 2017, pp. 11-12)

Enquanto os industriais forçavam uma reforma legal que tornasse os pedidos de registro de novas substâncias menos onerosos, entra em cena uma aliança entre pacientes com doenças raras e pesquisadores do campo biomédico. Com efeito, em uma conferência em setembro de 1982, surge o plano de estabelecer uma coalização pelas doenças raras, que seria posteriormente formalizada como Organização Nacional de Desordens Raras (“NORD” em sua sigla em inglês) para monitorar os debates no congresso e mobilizar a opinião pública. Neste instante, os fabricantes de medicamentos

genéricos, que haviam se engajado nas negociações sobre o rigor das regulações do FDA, demandavam um registro mais expedito para novos produtos, com apenas uma prova de bioequivalência em lugar de um ensaio clínico abrangente para versões genéricas de drogas que tivessem sido previamente aprovadas pelo FDA e sobre as quais não incidisse uma patente. Portanto, antes da promulgação da legislação, havia um caldo cultural que teria promovido a acomodação dos interesses das diversas partes envolvidas. Com efeito, tendo assegurado o apoio tanto de consumidores, como de fornecedores, a proposta legislativa foi aprovada no congresso e finalmente foi sancionada pelo presidente Ronald Reagan em janeiro de 1983 (ibid., p. 13).

Em suma, ao reconhecer formalmente que as doenças raras requeriam algum tipo de status especial para estimular o desenvolvimento de medicamentos para tratá-las, os EUA projetou a Lei de Medicamentos Órfãos em reação a uma coalização de grupos de *advocacy*, reguladores e cientistas, que diziam representar os indivíduos com doenças raras e seus familiares; coalização esta que operou lobbys para a promulgação da referida lei (THAMER et al., 1998, p. 169). Vale dizer, durante os dez anos que precederam à sua vigência, apenas 10 produtos órfãos haviam sido desenvolvidos pela indústria farmacêutica nos EUA (ibid., p. 270). Contudo, desde que esta foi promulgada em 1983, o desenvolvimento de medicamentos órfãos aumentou vertiginosamente:

A Lei foi elaborada para facilitar o desenvolvimento de medicamentos para doenças raras e outras condições de saúde e os incentivos propiciados pela Lei resultaram na aprovação de 575 medicamentos e produtos biológicos para doenças raras entre 1983 e 2017 pela *Food and Drug Administration*. (...) De fato, as doenças, e não os medicamentos, são órfãs porque todos estes medicamentos são muito caros (...). (LUZZATO et al., 2018, p. 1)

No final da década de 1980, começam a surgir dúvidas a respeito de se os incentivos concedidos pela Lei de Medicamentos Órfãos não estariam encorajando, além da criação de produtos que caso contrário não seriam viáveis, um uso abusivo daqueles incentivos, de modo que algumas empresas estariam gerando receitas exorbitantes através de medicamentos designados órfãos. Assim, o congresso norte-americano decidiu reavaliar sua abordagem mercadológica acerca do problema dos medicamentos para doenças raras (MIKAMI, 2017, p. 17). Ao cabo, uma série de sugestões foram levantadas. Contudo, sob a égide do governo de George H. W. Bush, um dos principais defensores do livre-mercado, ainda que tenham surgido propostas

legislativas, como o estabelecimento de um teto de 200 milhões de dólares para a venda de medicamentos órfãos, nenhuma medida seria adotada (id.).

Nos EUA, o desenvolvimento de medicamentos órfãos segue em boa parte assegurado por incentivos fiscais, isenções de taxas e vantagens para sua aprovação. Estas subvenções também podem ser obtidas quando as indicações potenciais do medicamento concernem a uma enfermidade rara, independentemente de outros usos. Este foi o caso, e.g., do Taxol® da Bristol-Myers Squibb, indicado para o tratamento de uma doença rara, o sarcoma de Kaposi, e também de enfermidades frequentes, como o câncer de mama (PIGNARRE, 2005, p. 25). Kesselheim e colaboradores (2012) apontam a existência de drogas órfãs “*topsellers*” e demonstram que elas estariam se convertendo nas novas galinhas dos ovos de ouro dos laboratórios farmacêuticos, sobretudo quando se beneficiam de sua indicação para o tratamento de doenças comuns. Os autores apontam que este seria o caso de drogas como o Lidoderm®, o Provigil® e o Sensipar®, sugerindo que quando identificados produtos que sejam amplamente utilizados para outras indicações, seria razoável abreviar o período de 7 anos de exclusividade de mercado de que as drogas órfãs gozam nos EUA (ibid., p. 6).

Vale dizer, a exclusividade de mercado é um período de tempo no qual um produto farmacêutico, que é similar ou idêntico e se destina à mesma indicação terapêutica que uma droga órfã já registrada, não pode ser registrado e autorizado pela autoridade regulatória competente. Porém, é possível a quebra da exclusividade de mercado em algumas situações, como no caso em que o segundo pedido de registro de medicamento órfão comprova superioridade clínica em relação ao já existente⁴. Isto também pode ocorrer caso o segundo produtor demonstre que o primeiro não é capaz de fornecer em quantidade suficiente o medicamento órfão (FRANCO, 2013, p. 167).

Em síntese, desde 1983 houve um sem-número de intentos para reformar a Lei de Medicamentos Órfãos. Como apontam Thamer e colaboradores (1998, p. 270), a maior parte destas tentativas teve por preocupação o desenvolvimento de drogas “*blockbusters*” em seu âmbito. As definições de “*blockbusters*” variam entre drogas geradoras de um lucro anual que pode ir de 50 a 100 milhões de dólares (id.). Durante os anos que se seguiram à adoção da referida Lei, este foi o caso de diversos produtos designados órfãos, como o Ceredase® da Genzyme (THAMER et al., 1998; MIKAMI, 2017), o Gleevec® da Novartis, o Epogen® e o Neupogen® da Amgen, o Humatrope®

⁴ De se referir que a Lei de Medicamentos Órfãos de Taiwan permite a quebra do direito de exclusividade de mercado se o preço da primeira droga órfã registrada for exorbitante. (FRANCO, 2013, p. 167).

da Lilly, ou o AZT® da Glaxo (PIGNARRE, 2005, p. 25). Resta cristalino que o mercado deu-se conta de que até mesmo “órfãos verdadeiros” podem ser altamente lucrativos, dado que preços muito altos podem ser cobrados dos consumidores.

Desta forma, enquanto se tornou evidente que algumas empresas obtiveram grandes fortunas com os medicamentos órfãos, as deliberações do congresso nos anos 1990 mantiveram a abordagem pró-mercado intacta. Em resultado, os “órfãos de um bilhão de dólares” se multiplicaram e se tornaram crescentemente aceitos de forma ampla. Medicamentos órfãos já não eram “drogas de valor comercial limitado”, mas oportunidades de negócios atrativos, enquanto os pacientes com doenças raras já não eram “vítimas” de doenças órfãs, mas consumidores de um mercado potencialmente lucrativo. (MIKAMI, 2017, p. 19)

Dentre os pontos fortes da arquitetura regulatória dos EUA, importante referir que esta impõe ao governo a obrigação de assegurar fundos, distribuídos pelo FDA através de editais públicos, para promover a pesquisa de medicamentos órfãos. Anualmente, entre 12 e 15 financiamentos são outorgados a universidades e empresas. Este programa de fomento à pesquisa é altamente competitivo e, de acordo com informações oficiais, já facilitou o registro de mais de 45 medicamentos órfãos no país. Os candidatos que logram obtê-lo são seguidos de perto pelo FDA, que fornece ainda treinamento especializado para os investigadores (FRANCO, 2013, p. 167).

Além de incentivos fiscais e financeiros, o FDA possui procedimentos expeditos para viabilizar mais rapidamente a autorização de introdução no mercado dos medicamentos órfãos. Estes incluem: designação de “via-expressa” (“*fast-track*”), designação de terapia inovadora (“*breakthrough therapy*”), revisão prioritária (“*priority review*”) e designação de aprovação célere (“*accelerated approval*”). As vantagens da designação de “via-expressa” incluem oportunidades de maior interação junto à equipe revisora do FDA e uma revisão periódica da documentação antes da submissão do pedido de registro (DENNIS, 2017, p. 145). Por sua vez, a designação de “terapia inovadora” demanda evidência clínica preliminar de que o efeito de um tratamento representa um ganho substancial em detrimento daquele já existente para uma condição grave, e implica benefícios similares aos do “*fast-track*” desde os estudos clínicos de Fase 1 (ibid., p. 146). A “revisão prioritária” é aplicável a medicamentos que buscam tratar condições graves e que são superiores em segurança ou eficácia se comparados com a droga preexistente já autorizada para a mesma indicação, e permite que um procedimento de autorização seja decidido pelo FDA em até 6 meses (id.).

Por sua vez, o procedimento para uma “aprovação célere” se aplica a candidatos a medicamentos para doenças de longo curso que requerem um período de tempo dilatado para medir adequadamente o benefício clínico do tratamento. Destarte, o candidato a medicamento será aprovado com base em um “desfecho clínico substituto” (em inglês, “*surrogate endpoint*”). O desfecho clínico substituto é “um biomarcador que objetiva um substituto para um desfecho clínico”; enquanto, por desfecho clínico entenda-se “a característica ou uma variável que reflete como um paciente se sente, funciona ou sobrevive” (BIOMARKERS DEFINITIONS WORKING GROUP, 2001, p. 91). Desfechos substitutos são variáveis laboratoriais ou fisiológicas que são utilizadas em ensaios clínicos que não são estatisticamente significativos para avaliar desfechos clínicos (id.). A autorização para introdução no mercado sob “desfechos clínicos substitutos” fica sujeita ao compromisso de que o promotor estude a droga posteriormente, para fins de verificar e descrever seu benefício clínico, nos casos em que haja incerteza em relação ao desfecho substituto do benefício clínico. Nesse caso, estudos pós-comercialização comumente devem estar em curso. Como informa o FDA:

Esta medida é parte do compromisso do FDA com a aceleração da disponibilidade de medicamentos para doenças graves o quanto antes se possa concluir que os benefícios dos medicamentos excedem os seus riscos, enquanto preservam-se os critérios apropriados para medir sua segurança e eficácia, especialmente quando estes pacientes possuem necessidades de saúde insatisfeitas, como é o caso muitas vezes dos pacientes com doenças raras. (ESTADOS UNIDOS DA AMÉRICA, 2014, p. 13)

Recentemente, os EUA adotou alguns programas com base em leis de “direito a experimentar” e diretrizes para o “uso compassivo” e, com base nestes, passou a permitir que pacientes que sofram com doenças graves ou que ameacem a vida possam acessar drogas em fase de desenvolvimento (ADRIANCE, 2014).

Enfim, contam-se nos dedos os casos de medidas regulatórias que tenham transformado tão radicalmente uma política industrial como a Lei de Medicamentos Órfãos. No entanto, preocupa o acesso aos produtos que resultam desta regulação (MIKAMI, 2017). Na contramão de outros sistemas regulatórios centrais, o gasto com medicamentos órfãos nos EUA é em parte custeado “*out-of-pocket*” pelos pacientes, passando a ser coberto pelo seguro de saúde quando seu valor superar US\$4.350,00 (GAMMIE et al, 2015). Por vezes, o medicamento não está coberto pela seguradora contratada, limitando o acesso aos tratamentos. Ademais, como observa Claire Dennis:

Nos Estados Unidos, as drogas órfãs têm um custo anual que varia entre US\$50.000,00 e US\$500.000,00 por paciente. Estes valores na Europa são, em média, de 20 a 40% inferiores. Há quem entenda que esta diferença de preços resulta da incapacidade dos seguradores norte-americanos (incluindo o governo) de negociar ou fixar preços. (DENNIS, 2017, p. 150)

Neste sentido, embora comumente a literatura reconheça a grande importância desta legislação, muitos autores pontuam que sua principal debilidade reside no fato de que o acesso a estas tecnologias é limitado por força do sobrepreço praticado pela indústria. Para Thamer e colaboradores (1998, p. 285), a distorção está em considerar o fato de que uma doença que afete 200 mil pessoas ou menos é o suficiente para se provar que um medicamento não será lucrativo, ignorando-se outros fatores determinantes do mercado farmacêutico, como o custo de produção, a frequência do consumo, a duração dos tratamentos bem como o chamado uso *off-label*.

2.2. França (União Europeia)

Em 1992, a França deu os primeiros passos a fim de reconhecer a importância de medicamentos destinados a pacientes com doenças raras, ao promulgar a Lei n.º 92-1279, que autorizou o uso de medicamentos que não possuíam “autorização de colocação no mercado” (em francês, “*autorisation de mise sur le marché*” – AMM), caso este se destinasse ao tratamento de uma condição para a qual não houvesse nenhum medicamento alternativo. Esta prática ficou conhecida como “uso compassivo” (THAMER et al., 1998, p. 274). Para Annie Lorence (2014), em matéria de promoção do acesso a produtos farmacêuticos, o sistema francês é reputado como um “*gold standard*”, visto que o medicamento que ainda carece de uma AMM pode ser colocado à disposição dos pacientes através de uma “autorização temporária de utilização” (em francês, “*autorisation temporaire d’utilisation*” – ATU).

De acordo com a Lei n.º 92-1279, de 8 de dezembro de 1992, há dois tipos de ATU: a ATU de coorte (ATUc) e a ATU nominal (ATUn). A ATUn é outorgada a partir da solicitação e sob responsabilidade de um profissional médico para um paciente específico, que não pôde ser incluído em um ensaio clínico, no qual há dados de eficácia/segurança que permitam presumir que um medicamento possui uma relação de benefício/risco favorável. Por sua vez, a ATUc é outorgada a partir da solicitação de um laboratório para um grupo de pacientes com base em dados de eficácia/segurança que permitam presumir fortemente uma relação de benefício/risco favorável. Ademais, no caso da ATUc, o laboratório se compromete a fazer tudo o que estiver a seu alcance

para obter a AMM da substância. Conforme registros oficiais, 25% das ATU vigentes concernem a medicamentos órfãos (LORENCE, 2014, p. 15). Cumpre destacar que a Agência Nacional de Segurança do Medicamento e Produtos Sanitários (em francês, “*Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé*” – ANSM) tem o poder de revogar esta autorização se a droga não cumprir os objetivos terapêuticos que prometeu entregar.

É interessante observar que a França adota um sistema de controle de preços, segundo o qual o valor de cada produto farmacêutico é fixado através de um ato administrativo (PIGNARRE, 1999, p. 88). Para novos produtos, os preços inicialmente fixados se baseiam na projeção de vendas realizadas no primeiro ano de vigência da AMM. Se as vendas efetivamente realizadas excederem àquelas inicialmente projetadas, o preço sofrerá um deságio no ano seguinte (THAMER et al., 1998, p. 281). O Plano Nacional Francês para as Doenças Raras estabeleceu um sistema de autorização de introdução no mercado no qual um comitê negocia o preço do medicamento órfão junto à indústria farmacêutica, levando em conta o ganho de valor clínico agregado pelo medicamento, com preços embasados naquelas drogas que sirvam aos mesmos propósitos terapêuticos em outros países Europeus (DENNIS, 2017, p. 175).

Além disso, a Lei francesa n.º 92-1279/1992 modificou a lista de drogas reembolsáveis pelo governo francês para permitir o acesso dos pacientes com doenças raras aos medicamentos que ainda carecessem de uma AMM. Ou seja, esta lei passou a reembolsar o uso de medicamentos ainda em fase de desenvolvimento clínico (ibid., p. 280). Neste contexto, Loïc Rigal (2017, p. 152) observa que uma inflação dos preços dos medicamentos órfãos não pôde ser controlada, porque as ATU escapam do sistema francês de fixação de preços. Destarte, para este jurista:

A evolução deste sistema na França, junto ao desejo de conciliar o reembolso de produtos cujas provas científicas são por vezes frágeis, para que se possa controlar o aumento das despesas [dele] resultantes e os riscos sanitários envolvidos, deve ser observada com cautela. (RIGAL, 2017, 153)

Desde 1999, a União Europeia (UE) possui uma legislação semelhante à Lei de Medicamentos Órfãos norte-americana, o Regulamento n.º 141/2000 do Parlamento Europeu, que reconhece a luta contra as doenças raras como um problema de saúde pública e cujo objetivo é garantir qualidade idêntica de tratamento a todos os pacientes, promovendo o acesso aos tratamentos para este grupo de patologias. A “*Association Française por la Myopathie*” (AFM), e posteriormente a “*European Organisation on*

Rare Diseases” (EURODIS), da qual a AFM foi uma de suas fundadoras, desempenharam um papel estratégico na história desta legislação. Inspirados nos ativistas norte-americanos, estes movimentos de pacientes adotaram o discurso que ligava os medicamentos órfãos às doenças raras, conduzindo a UE a promover uma política regulatória similar à dos EUA (RABEHARISOA et al., 2014).

Neste sentido, ao longo da história, há uma “evolução paralela” nos níveis nacional francês e europeu. Cumpre recordar, de forma breve, que o Ministério da Saúde Francês desempenhou um papel decisivo junto à Agência Europeia de Medicamentos (EMA) para que esta legislação fosse adotada. Em 1994, a Comissão Europeia (CE), corpo legislativo da UE, definiu legalmente as enfermidades órfãs como “doenças raras (...) sobre as quais nenhum país pode por si só arcar com os recursos necessários (...) para conduzir pesquisas básica e clínica devido ao número reduzido de casos que ocorrem em nível nacional” (THAMER et al., 1998, p. 272). No mesmo ano, um relatório do Ministério da Saúde Francês fez um apelo para que a UE adotasse um modelo regulatório similar àquele existente nos EUA e no Japão. Este relatório sugeriu, entre outras coisas, incentivos fiscais para empresas que desenvolvessem drogas órfãs e um período de exclusividade de mercado de dez anos para os seus produtos (id.). Em 1995, um grupo de acadêmicos e empresários chamou atenção para a necessidade de uma política integrada da UE sobre doenças raras, sugerindo que a definição do termo “droga órfã” deveria levar em conta a expectativa de baixa lucratividade relacionada ao medicamento e que a droga se destinasse ao tratamento de uma doença que afetasse de 0,25 a 1% da população da EU como um todo. Além disso, o grupo recomendou a criação do Comitê Europeu de Medicamentos Órfãos (ibid., p.273).

Na UE, o registro de novos medicamentos pode se dar através de duas rotas principais: um procedimento centralizado ou um procedimento nacional. O procedimento de autorização nacional é residual; enquanto, o procedimento centralizado é regido pela EMA e passou a ser impositivo para medicamentos órfãos, entre outras drogas. Uma nova droga autorizada para colocação no mercado pela EMA, através do procedimento centralizado, pode ser comercializada em todos os Estados-Membros da UE além de Islândia, Noruega e Liechtenstein (DENNIS, 2017, p. 143).

Os critérios de designação de “órfão” estão previstos de forma clara no art. 3º, do Regulamento n.º 141/2000 do Parlamento Europeu, de 16 de Dezembro de 1999. Como sintetiza Luïc Rigal (2017, p. 123), eles conformam duas condições cumulativas implicadas, por um lado, na doença rara ou na síndrome considerada, e, por outro, no

estado das soluções técnico-científicas para seu enfrentamento, prevendo critérios de prevalência e de gravidade da síndrome, de retorno sobre o investimento e de necessidades de saúde insatisfeitas. Esta designação dá direito a uma exclusividade de mercado ao promotor do medicamento de até dez anos na UE, que pode ser reduzida a seis anos ao final do quinto ano, caso algum Estado-Membro informar à EMA que o critério para a designação órfã já não persiste (FRANCO, 2013, p. 167).

Adicionalmente, a CE adotou o Regulamento n.º 847/2000, estabelecendo as modalidades para a aplicação dos critérios para a designação órfã definindo os conceitos de “medicamento similar” e de “superioridade clínica”. Com isso, é possível a quebra deste período de exclusividade por um “medicamento similar”, se o promotor comprovar não haver similitude em relação à droga já autorizada para uma mesma indicação, ou então, se demonstrar “superioridade clínica” em relação a esta.

A designação de um medicamento como órfão junto à EMA possibilita também que o desenvolvimento deste conte com aconselhamento científico da Agência, dentre outros subsídios, além de incentivos fiscais importantes. Diferentemente do FDA, a EMA não possui um programa de financiamento à pesquisa. Contudo, alguns incentivos podem promover a pesquisa e o desenvolvimento de drogas órfãs. Os candidatos devem postular a fundos da UE para a pesquisa e desenvolvimento de tecnologias órfãs. Em nível nacional, não só a França, mas também Alemanha, Holanda, Hungria, Espanha e Portugal possuem algumas linhas de financiamento para pesquisas sobre doenças raras (FRANCO, 2013, p. 168). Para Loïc Rigal (2017), as políticas de pesquisa e desenvolvimento de medicamentos órfãos devem desempenhar um papel central na efetivação da legislação especial dos medicamentos órfãos da UE. Neste sentido, a coordenação dos esforços de todas as instituições envolvidas é indispensável.

Este autor argumenta que, ao adotar um sistema que promove uma intervenção mínima dos poderes públicos, a arquitetura regulatória europeia perde a possibilidade real de planejamento e de coordenação entre os níveis nacional e europeu, de molde que a implementação dos objetivos da legislação depende exclusivamente do comportamento da indústria. Com efeito, para ele, torna-se impossível otimizar esforços coletivos, evitando a dispersão de recursos limitados: “Se o direito dos medicamentos órfãos possui uma legislação especial e técnica, suas instituições são particularmente numerosas e dispersas” (RIGAL, 2017, p. 161). Assim, o problema desta arquitetura regulatória residiria no fato de que a coordenação e a cooperação institucional seguem muito tímidas, causando “duplos” institucionais que desperdiçam recursos:

A multiplicidade de competências e autoridades tem por consequência uma dispersão de recursos e estratégias que frustram a priorização de projetos consonantes ao bem comum. Esta dispersão retarda a proteção do direito de acesso a cuidados destes pacientes. Isso é visível nos instrumentos propostos pelas políticas de P & D que identificam as necessidades, mas não são suficientes para mobilizar as instituições e enfrentá-las. (ibid., pp. 197-8)

Medicamentos para doenças raras designados como órfãos se caracterizam por um alto limiar de custo-efetividade incremental (ICERs) e normalmente não são custo-efetivos. Isto é uma consequência de dificuldades para se produzir “evidências robustas” por força de pequenas populações de pacientes, da heterogeneidade destas condições e de preços exorbitantes (NICOD & KANAVOS, 2016, p. 219).

Na França, onde a cobertura farmacêutica está desvinculada de ICERs e não há nenhum limiar para reembolsos (ibid., p. 222), medicamentos órfãos são presumidos como “inovadores” e, com isso, submetem-se a uma avaliação de tecnologia em saúde mais célere (“fast-track”). Cumpre destacar, o órgão encarregado de realizar as avaliações de tecnologia em saúde na França analisa não só a necessidade de tratamentos alternativos, mas também os benefícios diretos e indiretos relacionados ao medicamento órfão (ibid., p. 227). Em outras palavras:

Na França, onde não há análise de ICER ou limiar, métodos informais são usados para incorporar valores sociais e políticos nas avaliações [de incorporação de tecnologias órfãs]. Isto é explícito na avaliação do interesse da saúde pública (*intérêt de santé publique*) dos medicamentos como parte da avaliação de sua cobertura (...). (NICOD & KANAVOS, 2016, p. 230)

Tendo-se em conta as dificuldades para se produzir evidências robustas de medicamentos órfãos antes de sua “autorização de introdução no mercado” (AIM), o Parlamento Europeu, através do Regulamento n.º 1235/2010, promoveu uma reforma regulatória que culminou na introdução dos Estudos de Segurança Pós-autorização (“*Post Authorization Safety Studies* – PASS”) e dos Estudos de Eficácia Pós-autorização (“*Post Authorization Efficacy Studies* – PAES”), que tornaram possível a exigência de ensaios clínicos suplementares após a AIM. Vale dizer, o PAES nada mais é que um estudo que se destina a complementar os dados disponíveis no momento da autorização com informações adicionais sobre a eficácia de um medicamento, caso surjam dúvidas que não puderam ser esclarecidas antes da concessão da AIM. Este tipo de estudo pode

ser utilizado para conferir maior celeridade no desenvolvimento e no registro de produtos que demonstrarem evidências convincentes de eficácia.

Por sua vez, o PASS pode ser realizado por um titular de autorização de introdução no mercado (TAIM) de forma voluntária ou por imposição da autoridade competente. Por conseguinte, atribuiu-se competência tanto à EMA como à CE para impor ao TAIM a obrigação de realizar estudos pós-autorização sobre segurança e eficácia de drogas órfãs. Assim, é possível impor tal obrigação no momento da concessão da autorização de introdução no mercado ou numa fase posterior. Em síntese, no âmbito da UE as evidências de segurança e eficácia dos medicamentos órfãos podem ser complementadas a posteriori, em fase pós-comercialização, no que se convencionou chamar de “Fase 4” dos ensaios clínicos. Com a reforma de 2010, o Comitê de Avaliação do Risco de Farmacovigilância (“*Pharmacovigilance Risk Assessment Committee*” – PRAC) passou a ser competente no que respeita à identificação, avaliação, minimização e comunicação dos riscos, bem como à concepção de estudos de segurança pós-autorização. Finalmente, foi atribuída competência à CE para aprovar medidas complementares para definir as situações em que podem ser necessários os PAES. Conforme o art. 10º A, do Regulamento n.º 1235/2010:

1. Após a concessão de uma autorização de introdução no mercado, a Agência pode impor ao titular da mesma a obrigação de:
 - a) Realizar um estudo de segurança após autorização se existirem dúvidas quanto aos riscos de um medicamento autorizado. Caso as mesmas dúvidas digam respeito a mais do que um medicamento, a Agência, em colaboração com o Comitê de Avaliação do Risco de Farmacovigilância, encoraja os titulares das autorizações de introdução no mercado em causa a realizarem um estudo conjunto de segurança após autorização;
 - b) Realizar um estudo de eficácia após autorização, caso os conhecimentos sobre a doença ou a metodologia clínica indiquem que as avaliações anteriores da eficácia possam ter de ser revistas de modo significativo. A obrigação de realizar esse estudo de eficácia após autorização baseia-se nos atos delegados aprovados nos termos do artigo 10.º-B, tendo em conta as orientações científicas referidas no artigo 108º-A da Diretiva 2001/83/CE. A imposição dessa obrigação deve ser devidamente justificada e notificada por escrito, e deve incluir os objetivos e o prazo para a realização e apresentação dos estudos.

No bojo desta reforma, passaram a ser cada vez mais comuns as AIM com base nos chamados “desfechos clínicos substitutos” (ver seção 2.1.). Por conseguinte, hoje desfechos substitutos são amplamente aceitos como desfechos significativos. Por vezes, um desfecho clínico substituto pode ser utilizado por razões éticas, por ser mais

conveniente ou menos invasivo. Neste caso, o PAES costuma ser utilizado para confirmar as evidências sobre as quais a AIM se embasou.

Como visto, há inúmeros procedimentos especiais para a introdução de medicamentos órfãos no mercado europeu. Estes incluem o uso compassivo, a aprovação condicional (“*conditional approval*”) e os caminhos adaptativos (“*adaptive pathways*”). Vale dizer, a EMA consubstancia estes “caminhos adaptativos” em três princípios: desenvolvimento iterativo, coleta de evidências da “vida real” (“*real-life evidence gathering*”) e envolvimento inicial no desenvolvimento do tratamento.

O desenvolvimento iterativo significa uma “autorização em estágios iniciais com uma população de pacientes restrita para então expandí-la a populações de pacientes mais amplas” ou “a confirmação de uma relação benefício/risco de um produto, procedendo de uma aprovação de uso condicional embasada em dados iniciais (utilizando desfechos clínicos substitutos) reputados previsíveis em resultados clínicos importantes” (EFPIA, 2013, pp. 8-9). A “coleta de evidências da vida real” é utilizada para complementar dados de ensaios clínicos, o que é particularmente útil na área de doenças órfãs. O uso compassivo, como já visto nesta seção, permite que um paciente use um medicamento que ainda está em fase de desenvolvimento clínico. Nesse caso, a EMA seguiu as diretrizes da Lei francesa n.º 92-1279/1992, em que o uso compassivo pode ser feito sob condições estritas, nas quais produtos em desenvolvimento podem ser acessados por grupos de pacientes em condições para as quais não há nenhum tratamento satisfatório autorizado e que não puderam fazer parte de um ensaio clínico.

Finalmente, as agências de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) da UE podem se valer de todos estes expedientes para referendar seus relatórios sobre reembolso e fixação de preços de medicamentos órfãos. Nestas situações, as agências deveriam combinar estudos complementares de PAES e PASS sempre que possível, exigindo-se que o medicamento órfão seja estudado com maior intensidade no período pós-mercado, para verificar e descrever seu verdadeiro benefício clínico ou seu efeito sobre a mortalidade ou a morbidade irreversível (DALLARI, 2015, p. 259). Neste sentido, é cada vez mais comum que governos de Estados-Membros da UE solicitem individualmente à indústria farmacêutica a divulgação de informações sobre os custos incorridos durante o desenvolvimento de medicamentos que possam justificar seus preços. Contudo, sem a previsão de obrigações legais para fornecer tais informações, estes pedidos têm sido amplamente ignorados (LUZZATTO et al., 2018, p. 2).

2.3. América Latina

Milhões de pessoas em países periféricos e semiperiféricos não podem acessar cuidados em saúde, medicamentos e vacinas disponíveis em países centrais. Ao se falar em doenças raras, a realidade destes países parece ser mais complexa: as barreiras para o acesso a cuidados em saúde não apenas tocam ao valor cobrado pela indústria farmacêutica por medicamentos órfãos, mas também o acesso a equipamentos de saúde, que contem com pessoal treinado (enfermeiras, médicos e farmacêuticos) e um nível educacional que permita que a população compreenda certas regras sanitárias.

De toda forma, o problema do alto custo dos medicamentos órfãos é de extrema urgência para os países periféricos e semiperiféricos. Ao revisar a arquitetura da regulação de medicamentos em 35 países, um grupo de pesquisadores apontou que estados como China e Índia não possuem legislações a respeito desta clientela, recomendando que medidas regulatórias mais audaciosas fossem adotadas (GAMMIE et al., 2015). Entre seus achados não constariam ainda quaisquer atos normativos, regulações ou políticas dignos de nota em países latino-americanos ou africanos (ibid., p. 4). Daí a necessidade em se aprofundar neste tema a partir de um olhar desde o Sul.

2.3.1. Chile

No Chile, os sistemas provisionais de saúde vigentes têm um caráter estritamente contratualista, em que todos os assalariados cotizam um mínimo de sete por cento (7%) de seus ingressos mensais ao regime público do Fundo Nacional de Saúde (“*Fondo Nacional de Salud*” – FONASA), ou então, a instituições seguradoras privadas (“*Instituciones de Salud Previsional*” – ISAPRES). Em sintonia com o modelo norte-americano, ainda que opte por um plano privado, o paciente geralmente tem de arcar “*out-of-pocket*” com algum percentual durante o tratamento. Isto gera restrições de acesso a medicamentos órfãos (JARA et al., 2012, p. 10). Os mecanismos de reembolso de medicamentos no Chile são relativamente frágeis, ainda que comparados ao resto da América Latina. Há estimativas do ano de 2012 de que 6,3% do orçamento das famílias chilenas se destina ao gasto do próprio bolso com saúde, dos quais os medicamentos representam 29% (CHILE, 2015), sendo a situação ainda mais crítica entre setores empobrecidos da população, em que a compra de medicamentos vem apresentando aumentos proporcionais relacionados a este item (BENÍTEZ et al., 2018, p. 6).

O sistema de cobertura chileno conta com dois marcos importantes sob os quais se introduziram processos formais de tomada de decisão nas políticas de saúde. O primeiro é o plano de benefícios de Garantias Explícitas em Saúde (em espanhol, “*Garantias Explicitas en Salud*” – GES) implementado em 2005. Este corresponde a uma lista de serviços de saúde integrais garantidos a um conjunto de doenças determinadas principalmente por sua alta prevalência, o que por definição exclui as doenças raras (BERNAIN, 2017, p. 12). Em 2017, a cobertura destes serviços estava garantida para um total de 80 enfermidades (ESPINOZA & VARGAS, 2017, p. 33).

Um segundo plano de benefícios está garantido através de um fundo que criou o sistema de proteção financeira para diagnósticos e tratamentos de alto custo, que presta homenagem ao jornalista Luis Ricarte Soto Gallegos. Trata-se da famigerada “Lei Ricarte Soto” (Lei n.º 20.850/2015), criada em resposta a uma forte demanda cidadã conduzida por associações de pacientes, cujo nome formal é “Lei que cria um sistema de proteção financeira para diagnósticos e tratamentos de alto custo e presta homenagem póstuma ao Senhor Luis Ricarte Soto Gallegos”. Sem embargo, todavia falta clareza sobre o alcance do fundo criado por esta Lei, que em um primeiro momento foi tratado como um fundo para “enfermidades pouco frequentes” e, em um segundo, para tratamentos, diagnósticos e alimentos de alto custo, dentre os quais havia alguns incluídos nas GES. Um acontecimento determinante na história de sua promulgação foi a reunião de diversas associações, através da convocatória para a Marcha dos Enfermos (em espanhol, “*Marcha de los Enfermos*”), liderada por Ricarte Soto, em 2013. Ainda que alguns pacientes já vinham se organizando, esta instância foi crucial por força da unificação que gerou nos grupos que buscavam um objetivo comum (MANRÍQUEZ, 2018). Neste contexto, a Lei n.º 20.850/2015 outorga pela primeira vez na história do Chile um espaço formal de participação às associações de pacientes na tomada de decisão sobre a incorporação de diagnósticos à cobertura sanitária.

Sem embargo, como bem observa Gina Bernain (2017, p. 13), a Lei não se ajusta aos critérios e soluções atingidos em nível internacional, já que as definições desta estão arraigadas no custo e em matérias financeiras. Vale dizer, a Lei Ricarte Soto define o “alto custo” como prestações diagnósticas que em seu conjunto demonstram-se “úteis para a confirmação e posterior controle e tratamento da patologia, quando ditas prestações diagnósticas impedem o acesso ao tratamento ou impactam catastroficamente no gasto do beneficiário”. O conceito de alto custo dos tratamentos é definido pela Lei como “medicamentos, alimentos ou elementos de uso médico associados a

enfermidades ou condições de saúde”, que “por seu custo impedem o acesso a estes, ou em se acessando, impactam catastroficamente no gasto dos beneficiários”.

Portanto, a Lei Ricarte Soto não adota uma definição de “doenças raras” conforme um critério de prevalência, não havendo nenhuma legislação vigente no país que as reconheça ou as regule (NOVOA & CABELLO, 2015, p. 528). Isto é, na contramão do que demonstra a literatura internacional, o elemento central da arquitetura regulatória deixa de ser a “prevalência” da condição de saúde em si, mas o gasto catastrófico ou gasto empobrecedor relacionado a um tratamento. Tratando-se de uma população de 17 milhões de habitantes, e considerando a frequência de 6-8% determinada pela UE, calcula-se mais de 1.000.000 de doentes raros chilenos (CORTÉS, 2015, p. 426). Por seu turno, está previsto que em 2019 sejam incorporadas nove doenças à Lei Ricarte Soto, o que beneficiará em torno de 4 mil pessoas, que se somarão às quase 10 mil que já são beneficiados pela medida. Cumpre destacar, o primeiro decreto que regulamenta esta lei contemplou a incorporação de 11 doenças no ano de 2015, o segundo incorporou outras 3 no ano de 2016 e um terceiro alcançou um total de 18 enfermidades no ano de 2018 (MANRÍQUEZ, 2018, p. 13).

Os antecedentes institucionais desta Lei recaem na Resolução N.º 880 de 2006, do Ministério da Saúde, que criou a Comissão Técnica Assessora sobre Enfermidades Raras ou Pouco Frequentes e Catastróficas, tendo em conta a necessidade de formular políticas de priorização de acesso a terapias, de educação e de regular a atividade dos prescritores em sua relação com os pacientes e com a indústria farmacêutica. Por conseguinte, a chamada “Cobertura Adicional para Enfermidades Catastróficas” (CAEC), no caso das ISAPRES, não outorga cobertura às exclusões do contrato dentro da qual se encontra, aquelas não tarifadas pelo FONASA, e se dá a penosa situação em que a maior parte das doenças raras não contam com código FONASA (BERNAIN, 2017, p. 12). Neste sentido, Francisca Manríquez (2018, p. 22) retrata em pesquisa empírica primorosa que, com frequência os pacientes raros chilenos ainda se deparam com a inexistência do registro de suas doenças, reportando que muitas enfermidades de “alto custo” não possuem código FONASA, nem protocolos clínicos e, portanto, não podem acessar prestações assistenciais. Além disso, a autora menciona:

(...) a falta de especialistas ou de equipes multidisciplinares para diagnosticar corretamente a doença e realizar um tratamento, em lugar de derivar ou repetir provas não conclusivas que aumentam a incerteza e a frustração. São vários os casos em que os pacientes expressam sua impotência pelas esperas,

pelos procedimentos invasivos e invalidantes e a ausência de uma equipe capaz de tratar a enfermidade em sua totalidade, causando um cansaço que se transforma em reações psicológicas que afetam a todo o grupo familiar; (MANRÍQUEZ, 2018, p. 21)

Há quem entenda que a incorporação de tecnologias órfãs cobertas pelo fundo da Lei Ricarte Soto seja pouco transparente, ocorrendo em departamentos do Ministério da Saúde (ESPINOZA & VARGAS, 2017, p. 34). Por outro lado, cumpre referir que a Lei produz alguns avanços significativos, ao prever tanto um processo formal de avaliação de tecnologias em saúde (ATS), como a criação de uma organização a cargo desta tarefa, denominada Comissão de Recomendação Priorizada. Esta Comissão é conformada por 12 membros de reconhecida idoneidade nos campos da medicina, saúde pública, economia, bioética, direito sanitário e experts em fármacos, que serão designados pelo Ministro da Saúde, após convocatória pública. Nesta Comissão, a sociedade civil participa através de dois representantes de associações de pacientes, eleitos por estas. Além disso, a Lei 20.850/2015, em seu art. 7º, determina os critérios para ATS em seu âmbito de cobertura, incluindo “a avaliação das condições de pagamento através de acordo de partilha de risco”, associados a “repercussões éticas, jurídicas e sociais” para “o alcance do prazo de revisão da avaliação”.

Ademais, a Lei Ricarte Soto cria um sistema de Provisões Pós-Ensaio. Sem embargo, a implementação deste sistema enfrenta a resistência de lobbys que têm vindo a argumentar que isto gerará “desincentivos à pesquisa médica” (LÓPEZ et al., 2017). Em um documento ambíguo, a Academia Chilena de Medicina do Instituto sobre Ensaios Clínicos do Chile reconhece que o sistema é um desdobramento do princípio de reciprocidade, mas defende que “não é adequado que seja uma medida universal para todos os indivíduos que participem de ensaios clínicos, ainda que os resultados sejam favoráveis” (ibid., p. 384). Com isso: “Se o paciente considera que foi beneficiado pelo ensaio clínico poderia exigir continuar no protocolo de estudos, sob a cobertura de um seguro, até o momento que ele [mesmo] decida” (id.). Dentro desta ideia, a continuidade do tratamento deveria ser realizada às custas do patrocinador ou do titular do registro transitório, até que se obtenha o registro definitivo pelo Instituto de Saúde Pública (ISP) e o tratamento seja incorporado às chamadas “Guias Clínicas” (ibid., p. 383). Faz-se a ressalva de casos em que os pacientes careçam de alternativas terapêuticas eficazes, ou, com efeito da suspensão do fármaco em estudo, sejam colocados em risco vital (id.).

Ainda, quanto ao processo de introdução de novos medicamentos órfãos no mercado pelo ISP, órgão competente para aprovar e registrar ensaios clínicos no Chile, estudos apontam que, em 2014, foram registradas 26 novas moléculas no país, sendo os medicamentos de tipo oncológico prevalentes (35%), enquanto somente 2 corresponderam a drogas órfãs (BALMACEDA & ESPINOZA, 2015, p. 843-844). Por outro lado, 6 medicamentos foram classificados como de “alto custo”. O custo de cobertura para estes 6 medicamentos se estimou em \$29.808.908.956 pesos chilenos (US\$47,3 milhões aprox.). Isto representou um aumento no registro de terapias oncológicas e uma diminuição de moléculas para doenças órfãs, se comparado com os anos anteriores. O custo esperado para financiar os medicamentos de alto custo aprovados em 2014 correspondeu a um 0,49% do orçamento geral da saúde (id.). Este valor é extremamente baixo, se comparado a um país europeu de baixa renda, como Portugal, e. g., onde o gasto do Estado com drogas órfãs varia entre a 5% e 7% do gasto total destinado a medicamentos (GONÇALVES, 2009, p. 100; NASCIMENTO, 2014).

Seguindo a tendência de países como Brasil, Colômbia e Uruguai, em dezembro de 2012, o Chile criou a Comissão Nacional de Avaliação de Tecnologias Sanitárias (em espanhol, “*Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias*”), com o fim de propor um modelo de implementação e institucionalização das avaliações de tecnologias em saúde no país (CASTILLO-RIQUELME & ESPINOZA, 2014, p. 4-5). Contudo, os desafios ainda estão pendentes devido a vazios de formação técnica, levando a concluir que é imprescindível formar e capacitar profissionais da saúde em avaliações de tecnologias em saúde (ibid.).

Os achados de Francisca Manríquez (2018) põem em discussão os novos desafios implicados em envolver os pacientes no processo de tomada de decisão. Para a autora, ao promover a institucionalização das associações de pacientes, outorgando-lhes um papel ativo nas decisões sobre incorporar novas coberturas, a Lei Ricarte Soto gerou conflitos de interesses entre os diversos grupos. Deste modo, a “participação cidadã” quebrou a dinâmica inicial em que havia um grupo unificado, dando origem a uma série de conflitos vinculados à luta pela priorização de certas doenças neste âmbito (ibid., p. 28). Assim, a implementação da Lei Ricarte Soto tem se desdobrado em uma batalha regulamentar entre suas diversas clientelas, em que as associações ficam incumbidas de investigar evidências científicas para respaldar seus argumentos em favor de que suas enfermidades “ingressem na lei” e assim obtenham cobertura (ibid., 22).

Esta realidade tem feito com que os afetados pelas enfermidades não incluídas na Lei Ricarte Soto tenham que resolver seus problemas de saúde nos tribunais, argumentando a igualdade de direitos à proteção da saúde (BERNAIN, 2017, p. 13), visto que a Constituição Política do Chile de 1980, em seu art. 9º, estabelece que “o Estado protege o livre e igualitário acesso às ações de promoção, proteção e recuperação da saúde e de reabilitação do indivíduo”. As Cortes de Apelações em geral acolhem tais demandas apresentadas tanto contra o Ministério da Saúde (ou o FONASA) como contra as ISAPRES, fundamentando suas decisões na proteção do direito à vida, a qual não poderia ser vulnerada por razões econômicas⁵. Nesta junção, de se destacar a atuação da Corte de Apelações de Concepción, que apresenta jurisprudência firme no sentido de determinar o fornecimento de medicamentos órfãos caso não haja alternativa terapêutica, como em um julgado de 2019, que determinou a aquisição do Spinraza® para uma menor com atrofia muscular espinhal (AME).

Por sua vez, a Suprema Corte do Chile tem revertido estas decisões, caso o medicamento não esteja contemplado nas Guias Clínicas do Ministério da Saúde⁶, e não tenha demonstrado sua efetividade para “curar” a doença (JARA et al., 2012, p. 14). Cumpre notar, estes critérios denotam um positivismo inocente, cujo exemplo paroxístico seria certa idealização da noção de “cura”, como se este não fosse um conceito problemático, noção esta em geral acompanhada de considerações triunfantes acerca do progresso biotecnológico. Isto revela a dificuldade dos operadores do direito em compreender as especificidades das doenças raras como objeto de ponderação. Neste sentido, o judiciário chileno ainda não logrou um processo através do qual interagir com as ciências da vida para a construção de novos direitos, funcionando como constrangimento à melhora da vida humana na era genômica (JASANOFF, 2011, p. 13).

2.3.2. Colômbia

O tema das doenças raras tem suscitado grande interesse da opinião pública e da atividade política e legislativa na Colômbia. Conforme Malambo-García e colaboradores (2016, p. 860), os esforços concretos atualmente se concentram em fazer a legislação vigente produzir efeitos de realidade. Há um estudo em curso no país de extrema relevância, por ser o primeiro deste tipo realizado na América Latina, que através de um painel de experts fará uma revisão sistemática da literatura embasada em

⁵ ICA Rancagua, Rol 38-2009; ICA Santiago, Rol No 8.826-2.009.

⁶ E. Corte Suprema, Rol 764-2011; E. Corte Suprema, Rol N° 1447-2010.

diretrizes internacionais sobre as doenças raras, e permitirá o acesso a informações e recomendações oriundas de 41 entes de direito público de todo o mundo, incluindo governos nacionais, estados, municípios e regiões (QUIRLAND-LAZO et al., 2018).

De acordo com a Federação Colombiana de Enfermidades Raras (FECOER), há aprox. 3.8 milhões de pessoas com doenças raras na Colômbia, o que equivale de 6% a 8% da população do país. Sem embargo, Quirland-Lazo e colaboradores (2018, p. 2), após consulta ao Sistema Integrado de Informação da Proteção Social (SISPRO), revelaram que entre 2009 e 2014 houve um total de 13.173 pessoas registradas com diagnósticos de doenças raras, das quais 1.199 se encontram registradas com algum grau de incapacidade; destes 503 são mulheres (42%) e 696 são homens (58%); e o maior grupo de pacientes tem entre 9 e 19 anos de idade.

Desde 2004, a Colômbia possui um sistema de fornecimento de medicamentos que não requerem registro sanitário para o tratamento de “doenças órfãs”, regulado pelo Decreto 481 de 18 de Fevereiro de 2004, “através do qual se ditam normas tendentes a incentivar a oferta de medicamentos vitais não disponíveis no país”. Para o tratamento destas enfermidades autorizam-se os “*Medicamentos Vitales No Disponibles*”, de modo que a Colômbia adota uma estratégia de tratar as doenças raras em conjunto, reconhecendo-as como categoria jurídica, de forma pioneira no contexto latino-americano. A Lei n.º 1438/2011, que objetiva reconhecer que estas doenças representam um problema sanitário distinto por sua baixa prevalência e alto custo, estipula um sistema de seguridade apartado das doenças comuns, em seu art. 5º, estabelecendo que as “doenças órfãs” serão financiadas com recursos do orçamento de Eventos Catastróficos do Fundo de Solidariedade e Garantia – FOSYGA. Neste sentido, a Lei n.º 1438/2011 modifica o art. 2º da Lei 1392/2010, definindo as doenças raras com uma prevalência menor que 1 indivíduo a cada 5.000⁷.

Adicionalmente, a Lei n.º 1438/2011 cria uma lista unificada de designação das enfermidades órfãs, que o Ministério da Saúde e da Proteção Social deve atualizar a cada dois anos em conjunto com a Comissão de Regulação em Saúde (CRES). Com fundamento neste dispositivo, a Resolução 430 de 2013 estabelece uma lista de enfermidades órfãs na Colômbia com cerca de 5000 patologias, que posteriormente a

⁷ Artigo 2º. As enfermidades órfãs são aquelas cronicamente debilitantes, graves, que ameaçam a vida e com uma prevalência menor que 1 a cada 5.000 pessoas, compreendem as enfermidades raras, as ultra-órfãs e as esquecidas. As enfermidades negligenciadas são próprias dos países em desenvolvimento e afetam ordinariamente à população mais pobre e não contam com tratamentos eficazes ou adequados e acessíveis à população afetada.

Resolução 2048 de 2015 ampliou. Vale referir também o Decreto 1954 de 2012 através do qual foi implementado o sistema de informação de pacientes com doenças órfãs. Porém, ainda não foi desenvolvida uma forma centralizada de compras públicas de medicamentos específica para este grupo de doenças (BONILLA, 2017, p. 316).

Em suma, a legislação colombiana visa assegurar o acesso a “medicamentos vitais não disponíveis”, incentivando sua pesquisa, desenvolvimento, produção, importação e comercialização, flexibilizando a norma sanitária, ao abolir a necessidade de Registro Sanitário para estes produtos (ibid., p. 315). Aperfeiçoa-se, assim, um sistema “*fast-track*” segundo o qual, caso se necessite importar algum produto para um paciente órfão específico, basta indicar o princípio ativo em sua denominação genérica e a composição do medicamento, anexando documentos pessoais e a fórmula médica, junto ao histórico clínico, para que o Instituto Nacional de Vigilância de Medicamentos e Alimentos – INVIMA, em procedimento expedito, autorize sua importação (id.).

Há literatura que relata o desvirtuamento dos fins para os quais foi criada esta regra, posto que exonera o “medicamento vital não disponível” do requisito de registro porque seu uso é de baixa frequência. Em sua tese doutoral, Carlos Bonilla analisou as solicitações de importação destes medicamentos durante os primeiros seis meses de 2014. Os resultados são surpreendentes: “em 1200 pedidos de importação foram reportados 159.403 medicamentos” (BONILLA, 2017, p. 317). O autor refere ainda exemplos que demonstram quantidades exageradas de medicamentos “vitais não disponíveis” que estão entrando no território colombiano sem passar pelo controle de autoridades sanitárias, vulnerando a norma e criando um risco à saúde pública:

O incentivo determinado pela exoneração de Registro Sanitário deu lugar à infração da norma, em regra amparada neste decreto e com o pretexto de introduzir medicamentos no país para atender enfermidades conhecidas como órfãs, solicitando-se autorizações para importar grandes quantidades de medicamentos. (BONILLA, 2017, p. 316)

A Colômbia conta com um Instituto de Avaliação Tecnológica em Saúde (sua sigla em espanhol é “IETS”), cujo objetivo geral é recomendar ao governo quais novas tecnologias devem ser cobertas com recursos públicos. Ademais, possui uma Comissão Nacional de Preços de Medicamentos e Dispositivos Médicos que, nos termos do art. 87 da Lei n.º 1438/2011, é competente para a formulação e regulação da política de preços de medicamentos. Vale dizer, desde junho de 2015, quando através da Lei n.º 1751 foi instituído o Plano Nacional de Desenvolvimento 2014-2018,

denominado “*Todos por un nuevo país*”, a Colômbia passou a possuir um sistema inovador para a regulação de preços de medicamentos a nível latino-americano, estabelecendo estratégias transversais cujo pilar fundamental é uma negociação centralizada de preços. Conforme o art. 23 da Lei n.º 1751/2015, a regulação dos preços de medicamentos passa a ser competência do Ministério da Saúde e Proteção Social, que faz parte de dita Comissão. Além disso, nos termos dos artigos 71 e 72 da Lei n.º 1751/2015, a fixação do preço de medicamentos passa a ser imposta a todos os provedores de medicamentos do país, determinando-se ainda que o conteúdo do registro sanitário passe a abranger seu valor máximo a ser aferido com base nas avaliações de tecnologias em saúde realizadas pelo IETS.

Cumpre destacar que esta arquitetura regulatória teve sua constitucionalidade questionada em 2016, embate judicial profícuo que foi encerrado pela Sentença C-620 da Corte Constitucional Colombiana. O controle de constitucionalidade foi instado em face dos artigos 71 e 72 da Lei 1753/2015, que estabeleceram uma nova modalidade de intervenção do Estado na economia. Um cidadão solicitava a declaração de inexecutabilidade parcial dos mencionados artigos, sob o argumento de que, por um lado, a necessidade de um estudo prévio elaborado pelo IETS como requisito para conceder novos registros sanitários pelo INVIMA erigiria uma limitação à comercialização destes produtos no país, e, por outro, que a fixação de preços por parte do Ministério da Saúde e da Proteção Social restringiria o desenvolvimento e o acesso a novas tecnologias no país. Destarte, em uma decisão primorosa, a Corte Constitucional da Colômbia estabeleceu um importante precedente no que toca à aplicação de análises de custo-efetividade a medicamentos órfãos:

No caso concreto, a leitura simples do enunciado demandado poderia significar que somente aqueles tratamentos que obedeçam a um critério satisfatório de custo-efetividade, em um cenário em que a sustentabilidade financeira é importante, podem ingressar no sistema, excluindo outros que, embora necessários para o tratamento de aflições das quais padece parte da população, resultam demasiado custosos para o sistema. Dita compreensão de fato implicaria a criação de uma barreira para o direito ao acesso a um nível mais alto de saúde possível, chegando a afetar outros bens de natureza fundamental como a vida. (...) Em relação ao artigo 72 se reconhece exequibilidade ao inciso primeiro “à medida em que se entenda que a inclusão dos dois novos requisitos para a expedição de registro sanitário, a avaliação do Instituto de Avaliação Tecnológica em Saúde (IETS) e a análise de custo-efetividade para a fixação de preço por parte do Ministério da Saúde e Proteção Social, não podem constituir-se em uma barreira para o acesso a medicamentos requeridos pela população em geral, com inclusão daqueles de alto custo e necessários para o tratamento de enfermidades raras ou órfãs” (COLOMBIA, 2016).

Ao fim e ao cabo, manteve-se a obrigação imposta a provedores e compradores de medicamentos, insumos e dispositivos, de submeter-se aos preços fixados através de negociações centralizadas, não constituindo este um meio constitucionalmente proibido em um Estado Social e de Direito. Mais importante que isso, declarou-se que as alterações no registro sanitário feitas pelo Plano Nacional de Desenvolvimento 2014-2018, não poderiam constituir uma barreira para o acesso a medicamentos que afetem a população em general, incluída aquela que deve receber tratamentos de alto custo ou que padecem de enfermidades raras ou órfãs.

2.3.3. Peru

A Constituição Política do Peru, em seu artigo 7º, dispõe que todos têm direito à proteção de sua saúde e que é o Estado quem determina a política nacional de saúde. Por sua vez, o art. VI, do Título Preliminar da Lei Geral de Saúde (Lei n.º 26842), dispõe que “é irrenunciável a responsabilidade do Estado na provisão de serviços de saúde pública” e que “o Estado intervém na provisão de serviços de atenção médica com base em princípios de equidade”. Com base neste arcabouço legal, em 2011 foi promulgada a Lei n.º 29698, que declara ser de interesse nacional e preferência a atenção e o tratamento de pessoas que padecem de doenças raras ou órfãs⁸.

Esta norma estabeleceu, entre outras coisas, que o Poder Executivo deve ditar as medidas necessárias para garantir o diagnóstico das “doenças raras e órfãs” e que estas sejam incluídas nos programas universitários de formação em medicina. No mesmo ano, o Ministério da Saúde emitiu a Resolução Ministerial N° 579-2011/MINSA, estabelecendo que o último dia de fevereiro de cada ano seja dedicado a celebrar o “Dia Nacional das Enfermidades Raras ou Órfãs no Peru”. Três anos depois foi publicada, através da Resolução Ministerial 151-2014/MINSA, uma listagem com 399 doenças raras detectadas no país. Conforme seus autores, este processo deixou um legado de avanços importantes: a) identifica, pela primeira vez no país, as doenças órfãs existentes; b) identifica medicamentos órfãos para oito enfermidades órfãs de alta prioridade; c) estabelece uma metodologia para a priorização destas enfermidades; e d) brinda orientações para se obter um gasto público eficiente (OYOLA-GARCÍA et al.,

⁸ Artigo 2º. As doenças raras ou órfãs, incluídas as de origem genético, são aquelas enfermidades com perigo de morte ou de invalidez crônica, que têm uma baixa frequência, apresentam muitas dificuldades para ser diagnosticadas e efetuar seu acompanhamento, têm uma origem desconhecida na maioria dos casos que implicam múltiplos problemas sociais e com escassos dados epidemiológicos.

2014, p. 809). Cumpre destacar que, tendo em vista que o Peru não possuía procedimento institucionalizado de ATS, o listado de doenças “prioritárias” que foram identificadas por esta resolução recorreu a uma metodologia segundo a qual, a incorporação de cada enfermidade foi avaliada conforme: o impacto e a dificuldade relacionados com sua triagem, diagnóstico por laboratório, tratamento, qualidade de vida, risco familiar, financiamento e carga social (id.).

Nada obstante, os desafios para a atenção integral deste grupo de doenças permanecem muito grandes, sobretudo, quanto ao seu financiamento. Como expõem Hernández-Vásquez e colaboradores (2014), as doenças de alto custo que não estão incluídas no Plano Essencial do Seguro Integral de Saúde (SIS) devem ser financiadas através do Fundo Intangível Solidário (FISSAL), que foi criado em 2012 como uma entidade de direito privado para complementar as funções do SIS no financiamento das doenças de alto custo e as raras ou órfãs. Sem embargo, ao se advertir que inicialmente o suporte financeiro era insuficiente, foi outorgada ao FISSAL, por meio da Lei 29761, a categoria de Instituição Administradora de Fundos de Seguro em Saúde com um aumento progressivo do financiamento e cobertura de outros tipos de doenças, como o câncer e a insuficiência renal crônica, deixando de lado o financiamento das doenças raras ou órfãs. Além disso, os autores observam que com a Resolução Ministerial 151-2014/MINSA, a ansiada cobertura destas enfermidades não se generalizou, apenas sendo relegada a um grupo de doenças, escolhidas pelo Ministério da Saúde, que se mantem omissos em relação às demais (HERNÁNDEZ-VÁSQUEZ et al., 2014, 393).

Em outras palavras, dito arcabouço legal não estabeleceu medidas destinadas ao financiamento de medicamentos órfãos⁹, tampouco à pesquisa biomédica deste grupo de patologias. Por conta disso, há projeto de Lei em trâmite no congresso peruano, inspirado no modelo francês, que busca, por um lado, criar uma linha orçamentária específica para o fornecimento gratuito de medicamentos órfãos, visto que na maior das vezes estes possuem custos elevados, e, por outro, impor ao Poder Executivo medidas para o incentivo à pesquisa biomédica, priorizando o financiamento de projetos que levem em conta as doenças raras. Vale dizer, em sua exposição de motivos, o Projeto de Lei n.º 225/2016-CR coloca que, embora seja certo que o país não conte com um nível de desenvolvimento técnico-científico semelhante a outros países, é

⁹ A Lei n. 29698/2011 apenas menciona em seu Art. 6. que: O Ministério da Saúde adota as medidas necessárias que garantam a aquisição dos medicamentos para a atenção das pessoas que padecem de doenças raras ou órfãs, em consonância com a normativa vigente.

importante incentivar a pesquisa básica, por exemplo, através de universidades, a fim de contribuir com a investigação destas patologias. Vale dizer, o Ministério da Saúde do país estima haver 2,5 milhões de peruanos que padecem de alguma doença rara.

Finalmente, oito anos após a promulgação da Lei n. 29698/2011, esta se tornou exequível, por força da recente aprovação do Regulamento n. 004-2019-SA, que estabelece que o Ministério da Saúde deverá elaborar um Plano Nacional de Prevenção, Diagnóstico, Atenção Integral de Saúde, Tratamento, Reabilitação e Monitoramento das Doenças Raras ou Órfãs, que terá vigência de cinco anos. Com esta norma, começa a se aperfeiçoar o marco normativo vigente, trazendo importantes definições em seu art. 2º para torná-lo operacional, a começar pelos conceitos de doenças órfãs¹⁰, doenças raras¹¹ e avaliação de tecnologias em saúde¹².

Além destes preceitos normativos, uma medida concreta implementada pelo Regulamento foi a criação do Registro Nacional de Pacientes com Enfermidades Raras ou Órfãs como um sistema único, administrado pelo Ministério da Saúde. Pois, no Peru, não existia até então um registro oficial de pacientes que sofrem com estas enfermidades. Ainda, conforme esta normativa, o Ministério da Saúde, através do Instituto Nacional de Saúde, passa a ter o dever de fomentar estratégias para promover o conhecimento e a pesquisa sobre as doenças raras ou órfãs, bem como estabelece o ensino e a pesquisa destas enfermidades nas instituições públicas e privadas de educação que formam recursos humanos em saúde. Em seu artigo 13, o Regulamento dispõe que o Ministério da Saúde, mediante resolução ministerial, autorizará o uso de medicamentos para doenças raras ou órfãs, incluídos na Lista Nacional Única de Medicamentos Essenciais, estabelecendo que os medicamentos para as doenças raras estarão sujeitos a ATS, análise de impacto orçamentário e de disponibilidade orçamentária. Ademais, dispõe que os medicamentos órfãos estarão sujeitos a farmacovigilância intensiva e estipula o acompanhamento farmacoterapêutico dos pacientes que fazem uso deles para a detecção de interações medicamentosas, reações

¹⁰ 2.2. Doenças Órfãs. – São aquelas enfermidades que se caracterizam, porque a evidência científica para o seu diagnóstico e tratamento é escassa.

¹¹ 2.3. Doenças Raras. – São aquelas enfermidades, com perigo de morte ou de invalidez crônica, que têm uma frequência, menor que 1 a cada 100.000 habitantes, em alguns casos apresentam muitas dificuldades para ser diagnosticadas e seu acompanhamento, têm uma origem desconhecida na maioria dos casos, conduzem a múltiplos problemas sociais e contam com escassos dados epidemiológicos. Podem incluir malformações congênitas e enfermidades de origem genética.

¹² 2.4. Avaliação de Tecnologias Sanitárias. – É a avaliação sistemática das propriedades, efeitos e outros impactos de uma tecnologia sanitária que proporciona evidência científica de qualidade para apoiar a tomada de decisão. O processo de avaliação de tecnologia sanitária inclui: segurança, eficácia, efetividade clínica, avaliação econômica, implicações organizacionais, consequências sociais, éticas e legais.

adversas, falta de eficácia, erros na prescrição e outros problemas relacionados. Ainda, em suas disposições consta que o Ministério da Saúde, em um prazo de cento e vinte dias úteis, deverá estabelecer os delineamentos para a determinação das doenças de alto custo e a estimação do limiar para medicamentos de alto custo, normativa que será aplicável às doenças raras ou órfãs que representem alto custo.

Outrossim, ao regular a Lei n. 29698/2011, o Ministério da Saúde criou uma Rede Nacional de Avaliação de Tecnologias Sanitárias (em espanhol, “*Red Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias*” – RENETSA), que será responsável por realizar avaliações de tecnologias sanitárias e econômicas, destinadas a propor as melhores estratégias na prevenção, diagnóstico, tratamento, reabilitação e atenção integral para o país. Contudo, esta nova institucionalidade ainda não dispõe de um procedimento formal em que realizará tais avaliações, apenas estabelecendo um prazo para que, em noventa dias úteis, seja aprovado um decreto com esta finalidade.

2.4. O norte da regulação no Sul Global

Conforme visto, as enfermidades órfãs e raras têm recebido atenção de agentes do Estado na América Latina há mais de 10 anos. A presente sessão explorou algumas arquiteturas regulatórias para fornecer uma descrição do panorama geral das inovações que vêm surgindo na região neste período¹³. Os dilemas apresentados pelas drogas órfãs à arquitetura regulatória de cada um desses países refletem variadas questões enfrentadas por legisladores, formuladores de políticas e reguladores mundo afora, com relação ao financiamento, à qualidade, ao acesso à saúde e ao papel da intervenção do Estado na economia através da regulação do mercado farmacêutico.

Nos EUA, vimos que além de incentivos fiscais, isenções tributárias, incentivos financeiros e uma exclusividade de mercado por um período de sete anos, a arquitetura regulatória inclui procedimentos para viabilizar mais rapidamente a introdução dos medicamentos órfãos no mercado. Isto inclui: designação de “via-expressa” (ou “*fast-track*”), designação de “terapia inédita”, uma “revisão prioritária” e a designação de “aprovação célere”. Por sua vez, vimos que a arquitetura regulatória da França e da UE estão relacionadas *per se*. Pois, ao longo da história, há uma “evolução paralela” nos níveis nacional francês e europeu (KASTLER, 2014, p. 366). Neste sentido, há inúmeros procedimentos especiais para a introdução de medicamentos

¹³ Para considerações sobre a aplicação do modelo comparativo de Gammie et al. 2015, e, assim, um entroncamento em relação às categorias de análise comparativa, ver o Capítulo 4.

órfãos nestes mercados, que incluem o “uso compassivo”, a “aprovação condicional” e os “caminhos adaptativos”. Assim, verificamos que a regulação de medicamentos órfãos e ensaios clínicos na França e nos EUA têm um papel econômico crucial, vez que representam o primeiro passo da indústria farmacêutica para entrar nestes mercados. O tema é observado sob o prisma da competitividade desses países como mercados atrativos para os ensaios clínicos, diante da natureza globalizada da indústria de medicamentos órfãos. Por outro lado, há justificativa bastante para interrogar-se não só a respeito da universalização de legislações como a Lei de Medicamentos Órfãos, mas também sobre as cifras apresentadas por industriais a respeito da não-lucratividade das drogas órfãs. Os países que, diante do problema das doenças raras, adotam uma abordagem similar à norte-americana, tendem a fazê-lo por enxergar nesta uma maneira eficiente de fomentar seu parque industrial biotecnológico (MIKAMI, 2017).

De um modo geral, a existência de regulações sobre a fixação de preços é a maior diferença entre os frameworks regulatórios da França e dos EUA. Vale dizer, os medicamentos órfãos costumam ser mais baratos na França que no resto do mundo (DENNIS, 2017, p. 175). O Plano Nacional Francês para as Doenças Raras estabeleceu um sistema de autorização de introdução no mercado no qual a negociação do preço do medicamento órfão junto à indústria farmacêutica realça o benefício que acarreta os desenvolvedores de medicamentos possuírem um banco de dados mais amplo. Isto privilegia os pacientes ao criar uma ferramenta integrada de negociação de preços, de modo que se o promotor se dispor a precificar sua droga com um valor um pouco mais baixo, mais pacientes poderão em tese arcar com ela e, em contrapartida, o promotor obterá acesso a mais dados que poderão ser utilizados tanto para expandir as indicações aprovadas para a droga como aprimorar o tratamento (id.). Nos EUA, não há este tipo de regulação, e, portanto, as companhias farmacêuticas estão aptas a precificar seus produtos para teoricamente cobrir os custos de desenvolvimento, assim como custos futuros para aprimorar seus produtos e desenvolvimento de outras drogas (ibid., p. 176).

Ao dispor da ATU e da autorização de introdução condicional no mercado, em cuja lógica o benefício da disponibilidade imediata do tratamento supera os riscos relacionados à ausência de dados mais robustos, a França teoricamente coloca mais drogas órfãs à disposição daqueles cuja esperança vital recai nas inovações terapêuticas. Vale dizer, o FDA também possui programas que produzem resultados parecidos, o chamado programa de acesso expandido (em inglês referido coloquialmente como

“*expanded access*”) disponível em nível federal, e ainda as chamadas leis para o “direito a experimentar”, em nível estadual.

Por sua vez, à exceção da Colômbia, nenhum país latino-americano analisado por ora dispõe de procedimentos expeditos para viabilizar a introdução de medicamentos órfãos no mercado, tais como a “autorização condicional de comercialização” ou o “uso compassivo”. Naquele país, há uma importação “*fast-track*” para os chamados “medicamentos vitais não disponíveis”, em relação aos quais o requisito de registro da droga é afastado, conforme um critério de “necessidade não satisfeita”. Contudo, tem-se observado uma tendência dos mecanismos de mercado invadirem os domínios deste esquema de acesso a drogas órfãs para submetê-lo a suas leis, evadindo controles de autoridades sanitárias (BONILLA, 2017, p. 317). O Chile, a seu turno, parece estar no extremo oposto, configurando um ambiente regulatório adverso ou pouco atrativo para tecnologias órfãs, visto que, em 2014, 26 novas moléculas foram registradas, sendo que somente 2 seriam drogas órfãs (BALMACEDA & ESPINOZA, 2015, p. 843-844). A título de comparação, nos EUA aproximadamente 200 candidatos a medicamentos órfãos entram em desenvolvimento a cada ano e aproximadamente um terço de todos os novos medicamentos aprovados pelo FDA são para o tratamento de doenças raras (GIBSON & TIGERSTROM, 2015, pp. 263-264).

A política de medicamentos órfãos de cada país tende a refletir a natureza do sistema de saúde destes países como um todo. No caso chileno, na contramão do que demonstra a literatura internacional, o elemento central da arquitetura regulatória não é a “prevalência” da doença considerada, mas o gasto catastrófico ou empobrecedor relacionado a seu tratamento. Com efeito, o marco regulatório chileno trata de maneira idêntica as doenças oncológicas, imunológicas, raras ou “pouco frequentes” e ainda doenças crônicas. Esta observação não implica desconhecer que muitas vezes o alto gasto associado com as doenças “raras” ou “órfãs” abarca um universo mais amplo. Mas isso talvez possa revelar uma característica do sistema de saúde chileno no qual o cidadão não é um “usuário” do serviço público, mas um “beneficiário” de prestações assistenciais. Afinal, doenças órfãs são geralmente definidas por sua raridade (KAKKAR & DAHIYA, 2014, p. 231). Por outro lado, os achados desta seção fornecem uma visão panorâmica de como na América Latina tal definição está se distanciando deste sentido original, observado nas legislações de EUA (1983) e União Europeia (2000), passando a incluir as doenças negligenciadas (Tabela 2).

País	Status ou Designação	Definição
Chile	Tratamento de Alto Custo	É constituído por medicamentos, alimentos ou materiais de uso médico associados a doenças ou condições de saúde e pelas prestações indispensáveis para seu diagnóstico e acompanhamento, que por seu custo impedem o acesso a estes, ou então, impactam catastroficamente no gasto dos beneficiários.
Colômbia	Medicamento Vital Não Disponível	Medicamento indispensável e insubstituível para salvar a vida ou aliviar o sofrimento de um paciente ou um grupo de pacientes e que por condições de baixa rentabilidade em sua comercialização, não se encontra disponível no país ou suas quantidades não são suficientes (Decreto N° 481, 2004, art.2). Estes medicamentos devem cumprir com os seguintes critérios: a. Que não se encontre em fase de pesquisa clínica; b. Que não se encontre comercializado no país, ou em sendo comercializado, suas quantidades não sejam suficientes; c. Que não conte com substitutos no mercado. Os medicamentos definidos pela Comissão Revisora do INVIMA como vitais indisponíveis não demandarão registro sanitário para sua produção, importação e/ou comercialização. (Decreto N° 481, 2004, art. 4).
Peru	Medicamentos para Doenças Raras ou Órfãs / Medicamentos Órfãos	Medicamentos para Doenças Raras ou Órfãs. - São aqueles medicamentos utilizados para a prevenção, o diagnóstico ou o tratamento de doenças raras ou órfãs, que demonstram eficácia clínica, segurança e relação risco-benefício, estabelecida de acordo com avaliações de tecnologias sanitárias. Inclui o medicamento órfão. Medicamentos Órfãos. - São aqueles medicamentos que demonstraram relação risco-benefício favorável na prevenção, diagnóstico ou tratamento de doenças raras ou órfãs, que apresentam baixa ou nula produção farmacêutica, o que enseja limitações de sua oferta no mercado.
Estados Unidos	Droga Orfã	Droga destinada a tratar uma enfermidade que afete menos de 200.000 pessoas nos EUA, ou então, que afete mais de 200.000 pessoas, porém suas vendas provavelmente não permitirão recuperar o investimento em pesquisa e desenvolvimento
França (U. Européia)	Medicamento Órfão	Um medicamento pode ser designado medicamento órfão se o respectivo promotor puder comprovar que: a) Se destina ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de uma patologia na Comunidade que ponha a vida em perigo ou seja cronicamente debilitante e que afete até cinco pessoas em 10 mil no momento em que o pedido é apresentado, ou se destina ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de uma patologia na Comunidade que ponha a vida em perigo, seja gravemente debilitante ou seja grave e crônica, e que é pouco provável que, sem incentivos, a comercialização desse medicamento na Comunidade possa gerar receitas que justifiquem o investimento necessário; e b) Não existe qualquer método satisfatório de diagnóstico, prevenção ou tratamento de tal patologia que tenha sido autorizado na Comunidade ou, caso exista, que o medicamento em questão oferece um benefício significativo àqueles que sofram dessa patologia.

2.4.1. Arquiteturas regulatórias em juízo

Vimos que no contexto latino-americano os Estados em geral não produziram formas específicas, sistemáticas e formais de acesso a medicamentos órfãos. Predomina uma experiência muito heterogênea de esquemas de acesso, como no caso colombiano, ou simplesmente a ausência de iniciativas concretas, com normas que jamais saem do papel, como no Peru. Quando o fazem, os governos financiam tratamentos pontuais devido à pressão de grupos de pacientes organizados, como no Chile, ou quando se veem obrigados pelos tribunais, sem desenvolver mecanismos para sua seleção racional: traço marcante destes três países (e também do Brasil, como veremos a seguir) que convergem porque têm judicializado bastante o problema do acesso a medicamentos órfãos, sem lograr uma solução efetiva e equitativa. Vale dizer, nos EUA o tema “drogas órfãs” também tem sido frequentemente levado aos tribunais, porém os litígios diferem não só em quantidade, mas, sobretudo, em qualidade.

Os anos 1990 trouxeram à luz um novo fenômeno político nos EUA: o uso da litigância para impor/sobrepôr a regulação (SHAVELL, 1984). Neste âmbito, agências regulatórias ou outras entidades passam a demandar supostos infratores para obter acordos que impõem um comportamento futuro à parte demandada através de um sistema de regras muito específicas. No entanto, o uso da judicialização como um meio pelo qual forçar a observância da regulação, para além do processo político regular, ensejou novas questões sobre a dinâmica de custo-benefício da judicialização (KESSLER, 2011, p. 3); fenômeno este que vem se tornando cada vez mais multifacetado e que gerou uma nova linhagem de estudos nos EUA.

Um dos expoentes desta abordagem, Sean Farhang (2018), argumenta que coalizões de congressistas podem cultivar deliberadamente certos litígios individuais como meio pelo qual visam impor sua vontade sobre a resistência de seus opositores. Defende, assim, que as coalizões políticas dos EUA conferem molduras estratégicas à legislação que permitem o uso de ações judiciais para implementar políticas públicas. Em suma, ele argumenta que o legislativo tende a preterir agências reguladoras quanto ao alcance da sua atuação, visto que as cortes têm maior autonomia para implementar e menor capacidade para criar políticas públicas (FARHANG, 2018, p. 1552). Mas se as cortes são mais recalcitrantes e tecnicamente inferiores, por que o Congresso delegaria a estas em lugar das agências? O autor aponta cinco motivos, dentre os quais destacamos

a limitação orçamentária, que encoraja a relegar a implementação de certas políticas às ações individuais porque os custos gerados pelo judiciário são menos comprometedores (ibid., p. 1550). Neste sentido, uma maior prevalência da judicialização para a efetivação de direitos individuais não reflete necessariamente uma tomada de poder pelos operadores do sistema de justiça. Em lugar disto, pode decorrer de escolhas deliberadas do Congresso, em face da polarização política.

Neste sentido, enquanto surgem análises sobre a “judicialização da política” na América Latina (voltaremos ao tópico na Parte III), questionando a legitimidade deste mecanismo de controle social, nos EUA, estudiosos da relação entre judicialização e regulação, sobretudo provenientes do campo da análise econômica do direito, geraram um espectro amplo de estudos empíricos sobre a eficácia de um e de outro mecanismo sobre o bem-estar social. Como observa Kessler (2011, p. 4), estes estudos convergem sobre as características típicas que determinam se um sistema deve ser enxergado como pró-regulação ou pró-judicialização, e que estes dois métodos de controle social seriam descritos mais precisamente como os dois extremos de uma linha contínua.

O professor da Universidade de Chicago, Richard Posner (2011), sumariza os argumentos contra e a favor de agências e cortes como reguladores eficientes. Agências são especializadas, e isto facilita o desenvolvimento de expertise sobre assuntos técnicos (exemplo óbvio seria o FDA). Ademais, normalmente têm quadros de funcionários maiores e com habilidades mais flexíveis. Juízes negam eternamente criar políticas – algo que as agências fazem sem nenhum receio. Em contrapartida, o fato de que os membros das agências sejam especializados os sujeita a pressões mais intensas de grupos de interesse específicos: daí o termo “captura regulatória”, que expressa quando grupos de pressão buscam influenciar agências para proteger seus membros em face da concorrência, ou então, para o bloqueio do engajamento de novos grupos (POSNER, 2011, p. 11). Por sua vez, os tribunais são relativamente imunes a pressões de grupos de interesse. Eles aportam uma perspectiva externa sobre questões que reguladores, em seus perímetros limitados, perdem de vista. Juízes estão entre os últimos generalistas de governos e sociedades cada vez mais especializados, e isto pode gerar vantagens e desvantagens. Por serem generalistas, é menos provável que estejam inclinados a políticas públicas particulares e, por conseguinte, trazem uma abordagem mais equilibrada para estas questões que reguladores. Por outro lado, a falta de conhecimentos especializados dos juízes, seu quadro de funcionários exíguo, seus recursos de pesquisa limitados, seus procedimentos complexos e em alguma medida

antiquados, seu retardo em responder a problemas sociais sérios — não podem agir até que sejam provocados, o que ocorre com frequência muito tempo após o início da atividade que enseja sua atuação — são impedimentos para uma regulação efetiva, especialmente de assuntos técnicos. Finalmente, há que se reconhecer que toda regulação, de fato, envolverá agências e cortes, porque os atos normativos das agências serão sempre questionáveis nos tribunais (ibid., p. 26).

De um modo geral, no direito norte-americano, a questão do controle judicial sobre a Administração Pública passa obrigatoriamente pelo controle das agências reguladoras. Apesar de que seja mais comum que os juristas se interessem pelos casos em que os tribunais efetuam uma “revisão profunda” (“*hard look*”), a Suprema Corte – contrariando a impressão transmitida pela maioria dos manuais de Direito Administrativo – tem sido deferente em relação às agências em aproximadamente 92% dos casos (VERMEULE, 2018, p. 52). Portanto, a “revisão judicial forte” jamais foi a regra nos EUA, enquanto as cortes são cada vez mais deferentes com relação às interpretações normativas das agências reguladoras (id.).

Pode-se dizer que esta é a doutrina de “*Chevron U.S.A., Inc. v. Natural Resources Defense Council, Inc.*” (1984), que estabeleceu que os juízes deveriam outorgar às agências uma espécie de “deferência epistêmica” sempre que seus pronunciamentos fossem altamente especializados, embasassem-se na experiência acumulada ou provavelmente respondessem melhor às intenções do legislador (ibid., 261). Neste sentido, o papel do jurista fica relativamente limitado; ele identifica o elenco de interpretações normativas razoáveis, mas os que formulam as políticas públicas são os cientistas, engenheiros, economistas e ocupantes de cargos comissionados (ibid., 267). Este é o caso da regulação de medicamentos órfãos pelo FDA, dado observável em uma série de demandas judiciais movidas em face desta agência. Em tais conflitos, vale dizer, as cortes dos EUA têm sido deferentes em relação ao FDA para se atingir o resultado perquirido pela Lei de Medicamentos Órfãos.

Neste sentido, o caso “*Otsuka Pharm. Co., Ltd. v. Burwell*” (2015) foi decidido com amparo na doutrina de Chevron, tendo em vista a experiência acumulada do FDA ao decidir autorizar o genérico de uma droga órfã indicada para um diagnóstico comum (não-órfão). Em outro caso, “*Berlex Lab v. Food and Drug Administration*” (1996), a corte entendeu que, ao adotar definições estritas de “cl clinicamente superior”, o FDA promoveria o desenvolvimento contínuo e a melhoria dos medicamentos órfãos

existentes porque manteria as empresas sob o risco de perder sua fração de mercado caso seus produtos se tornassem ultrapassados (DENNIS, 2017, p. 168).

Outro julgamento exemplificativo do que realmente importa entender sobre a Lei de Medicamentos Órfãos, e também da doutrina de Chevron, é aquele chamado “*Depomed, Inc. v. United States Department of Health and Human Services et al.*” (2014). Neste caso, a empresa Depomed Inc. demandou o FDA e o Departamento de Saúde e Serviços Sociais dos EUA por não terem reconhecido o período de exclusividade de mercado a seu produto em que pese este haver cumprido com os quesitos legais. O laboratório desenvolveu o fármaco Gralise®, designado como um medicamento órfão pelo FDA em 2010, para o tratamento de uma condição rara denominada neuralgia pós-herpética (PHN). Ato contínuo, em 2011, o produto foi autorizado a ser comercializado nos EUA como uma droga órfã pelo FDA.

No entanto, à época já havia outro fármaco no mercado para tratar a PHN, o Neurontin®, registrado em 1993, que inclusive contava com genéricos. Por outro lado, tendo em vista que o Gralise® foi designado órfão, automaticamente deveria receber o direito a uma exclusividade de mercado de 7 anos. Vale dizer, o FDA argumentou que a empresa não provou que seu produto era “cl clinicamente superior” ao Neurontin®. Com efeito, a Depomed requereu em juízo que o FDA fosse forçado a reconhecer ao Gralise® o direito à exclusividade de mercado prevista na Lei de Medicamentos Órfãos.

Em seu julgamento, a Corte ordenou ao FDA que conferisse o período de exclusividade correspondente ao Gralise® desde a data de seu registro, com fundamento na doutrina de Chevron. Nesse caso, cumpre consignar que a doutrina foi utilizada com base em um teste para sua aplicação, que implica verificar se a letra da lei possui alguma ambiguidade que confira discricionariedade à agência. No caso em tela, o resultado deste teste foi negativo, de molde que o tribunal entendeu que a agência não gozava de discricionariedade para indeferir o período de exclusividade de mercado, vez que reconheceu a designação de órfão ao medicamento.

Igualmente, a EMA já encarou a indústria farmacêutica nos tribunais, sobretudo em casos em que esta buscava obter/manter uma exclusividade de mercado, atravessar novos produtos órfãos em fase de desenvolvimento ou registrar genéricos de drogas órfãs (DENNIS, 2017, p. 172). Vale dizer, até 2017 a UE havia aprovado trinta drogas através da autorização condicional de comercialização, tendo obtido 100% de sucesso, o que significa que nenhuma autorização condicional jamais foi revogada ou suspensa pela EMA (ibid., p. 148). Neste ponto, verificam-se na UE e nos EUA arranjos

regulatórios que tendem a dissuadir a litigância, visto que, ainda que judicializados, sobrepõem-se ao raciocínio judicial, prevalecendo a posição das agências regulatórias.

Por outro lado, na América Latina, os dados sugerem haver arranjos regulatórios desenhados para absorver a litigância. Nisto, estudos futuros poderão identificar as razões pelas quais, do ponto de vista dos demais poderes, a delegação de questões como a do tipo descrito aos tribunais, em certas circunstâncias, pode parecer uma escolha politicamente vantajosa. Nesse diapasão, uma abordagem alternativa, desenvolvida por Farhang (2018) seria promissora em estudos futuros, visto que os congressistas destes países reconhecem os problemas do controle sobre os juízes e a diminuta capacidade relativa do poder judiciário em planificar políticas públicas, mas se mantêm inertes, visto que o cálculo global pode tornar tais delegações atrativas.

2.5. Os três corolários do direito a medicamentos órfãos

De um ponto de vista dogmático, o pesquisador Luïc Rigal (2017) alcinhou uma definição interessante do direito a drogas órfãs em sua proposta de novo paradigma concorrencial para o mercado farmacêutico, que em certa medida sintetiza alguns achados da seção anterior. Segundo ele, o direito a drogas órfãs decorreria do primado da dignidade humana, implicando a igualdade de tratamento entre todos os indivíduos. Com efeito, os três corolários do direito a medicamentos para doentes raros seriam (i) o prosseguimento de pesquisas viáveis; (ii) a introdução das inovações terapêuticas no mercado; e (iii) o acesso às terapias existentes no mercado (RIGAL, 2017, p. 302).

Sua interpretação teleológica do direito a medicamentos órfãos tem como referencial filosófico a máxima de que cada cidadão deve ser objeto de igual consideração pelo Estado, e como referencial jurídico o princípio da não discriminação: “A questão se trata de rejeitar a discriminação com base na prevalência de uma doença. Seria interessante que as associações de pacientes utilizassem este fundamento jurídico nos tribunais para atacar as iniquidades de que são vítimas” (ibid., p. 305).

O primeiro corolário se trata de um direito a que as pesquisas necessárias para aportar os tratamentos projetados não sejam interrompidas por força das contingências capitalistas que recaem sobre uma previsão de retorno insuficiente sobre o investimento na substância pesquisada. É necessário, para tanto, uma coordenação dos

instrumentos de gestão e a atribuição dos recursos necessários à implementação dos objetivos da legislação para drogas órfãs.

Ademais, “a igualdade de tratamento não pode ser aritmética” (ibid., p. 305). Trata-se do desenvolvimento integral da pessoa humana, que justifica um esforço coletivo não só para introduzir tratamentos inovadores no mercado, mas para se determinar a orientação dos esforços para desenvolver o que é desejado pelos doentes raros (ibid., p. 307). Ou seja, é conveniente consultar as partes interessadas. Pois, “evidentemente os pacientes são os que devem exprimir suas necessidades. Igualmente são os cientistas que devem expor de maneira leal os progressos que eles podem aportar e sob quais condições” (id.). Com efeito, o direito a uma pesquisa eficaz e à não dispersão de recursos limitados não pode ser definido senão pelos beneficiários deste direito, a saber, os pacientes e suas famílias.

O segundo corolário se trata de uma consequência lógica do primeiro. Se os financiamentos devem estar sujeitos ao escrutínio democrático e serem transparentes, a introdução de tratamentos eficazes no mercado depende de pesquisas bem-sucedidas no ensaio clínico. Muitos projetos de pesquisa são interrompidos neste percurso pelo fato de que o promotor da droga não obteve investimentos ou subvenções suficientes para levá-los adiante. Estes desperdícios importam uma violação direta ao direito dos pacientes raros. E se este fato dificilmente poderá se sujeitar ao controle judicial em razão da “liberdade de empreender” inerente ao mercado terapêutico, isto alerta para a necessidade da construção de estímulos que diminuam a dependência dos pacientes em relação única e exclusivamente à indústria farmacêutica (ibid., p. 308).

Neste sentido, o prosseguimento de programas de pesquisa de drogas órfãs necessitam de um intervencionismo diferenciado. Para Rigal, trata-se este, em particular, de um setor industrial estratégico, o que importa na busca de colaborações mais extensas (id.). Pois, “se os laboratórios que buscam o lucro são os únicos responsáveis, é previsível que necessidades de saúde pública continuem a ser negligenciadas” (ibid., p. 309). A título de exemplo, ele coloca que se uma associação de pacientes não tem o poder de propor que um tratamento pesquisado seja prosseguido em um ensaio clínico e que isto seja validado por uma autoridade regulatória competente, é bem provável que o início daquele ensaio jamais ocorra (id.). Em larga medida, isto demanda um debate científico e democrático, no qual é conveniente que as necessidades de saúde insatisfeitas recebam um tratamento preferencial em relação às

inovações em saúde que respondam a uma necessidade de saúde já contemplada por algum tratamento (id.).

O terceiro corolário deste direito é a garantia de acesso aos tratamentos órfãos disponíveis no mercado. Neste ponto recai a questão de como definir um preço justo para estes produtos através do direito concorrencial. Luïc Rigal propõe que o preço de um medicamento órfão deva cumprir com duas condições essenciais. Assim sendo, “a primeira é que o preço seja suportável para os sistemas sanitários nacionais; a segunda é que o preço permita uma remuneração equitativa dos esforços do promotor da droga e de seus prestadores de serviço” (ibid., p. 310). Defende, com efeito, um sistema de riscos compartilhados e um lucro que seja comum tanto aos desenvolvedores como aos inventores, que respeite plenamente os direitos dos pacientes órfãos, bem como os compromissos nacionais e internacionais.

Finalmente, para este jurista, a efetividade deste sistema poderia ser incrementada através de outros mecanismos complementares, como o acesso compassivo ou o “*early access*”, que são modalidades essenciais de mecanismos temporários de utilização, que permitem ao beneficiário o reembolso por uma indicação que ainda não possui uma autorização de introdução no mercado (ibid., p. 311). Esquemas de acesso como estes, ou outras inovações alternativas, são certamente possíveis e necessárias no contexto latino-americano.

Capítulo 3. Regulação de Medicamentos Órfãos no Brasil

Como já dito anteriormente, o estudo das instituições hoje deve identificar como o sistema público cria organizações mais ou menos propícias à deliberação. Através deste filtro conceitual, as seguintes seções buscarão identificar na “regulação de medicamentos órfãos” um exemplar das transformações observadas no estado brasileiro. No país, mesmo as mais proeminentes análises sobre a performance do Estado administrativo, raras vezes avaliam as consequências empíricas da ação regulatória. Esta sessão tem a finalidade de contestar se o fenômeno da alta carga de litígios pelo acesso a medicamentos demonstraria os efeitos da arquitetura regulatória no mundo real. Seria este um problema criado tanto pela regulação estatal como pelo mercado farmacêutico? A literatura sobre o tema genérico “judicialização da saúde” permanece silente quanto a esta hipótese. Este silêncio é seu grande malogro. Pois, para que se possa avaliar os controles regulatórios, é preciso observar seus efeitos de realidade. Como diz Vermeule (2018, p. 21), “os tribunais e a revisão judicial são um tema algo fora de moda em uma época em que todos os juristas acadêmicos interessados no Estado administrativo escrevem – no caso dos Estados Unidos – sobre as instituições do poder executivo”. Com efeito, observaremos, com relação à regulação das drogas órfãs no Brasil, qual a natureza das organizações e procedimentos determinantes na arquitetura decisória.

Logo, o presente capítulo procede a uma descrição objetiva do quadro normativo da política nacional de regulação farmacêutica para fins de compreender o diagnóstico de crise em seu ciclo relativamente aos pacientes raros, bem como as instituições responsáveis por criar suas normas e dar-lhes cumprimento. O capítulo se inicia pela descrição dos contornos que a Constituição deu ao direito à saúde e ao arranjo institucional do sistema sanitário, avançando para a interpretação da extensão do dever do Estado com relação aos portadores de doenças raras. Em seguida, faz-se uma descrição sucinta do procedimento para registro de medicamentos no Brasil, desde a realização de ensaios clínicos até a sua incorporação às listas oficiais de assistência farmacêutica. Vale esclarecer que a política de proteção de patentes de medicamentos não será tratada neste trabalho, exceto quando for tangencialmente necessário. Finalmente, buscamos compreender eventuais “paradoxos regulatórios” resultantes de instrumentos heterogêneos que regulam este objeto, o medicamento órfão, como reflexo da profusão de uma pluralidade de instituições dispersas, observando a relação disto com o fenômeno “judicialização versus regulação” à luz do contexto globalizado do mercado farmacêutico.

3.1. O dever de satisfazer necessidades de saúde órfãs no Sistema Único de Saúde

O Sistema Único de Saúde – SUS é um dos maiores avanços conquistados em matéria de políticas públicas na história brasileira. Através dele, a Constituição Federal de 1988 (CF/88) assumiu o compromisso de garantir acesso universal à saúde de qualidade. O reconhecimento da saúde como “direito de todos” e “dever do Estado” pelo artigo 196 da Carta Política de 1988 institui a obrigação estatal de garantir a equidade nas políticas de saúde. Neste sentido, a saúde é direito de todos, com garantia de acesso universal e igualitário, atendimento integral e participação social. Dentre as bases jurídicas consagradas no âmbito da Constituição pela Reforma Sanitária, conforme a VIII Conferência Nacional de Saúde de 1986, figuram: um sistema descentralizado, coordenado e submetido ao controle popular. O artigo 198 da CF/88, por sua vez, define as diretrizes de funcionamento do sistema. O Sistema Único de Saúde – SUS é o principal arranjo institucional organizado para concretizar o projeto constitucional de acesso universal e igualitário aos serviços de saúde, conforme as diretrizes: regionalização, hierarquização, descentralização, integralidade e participação da comunidade¹⁴. Vale dizer, a participação social foi regulamentada pela Lei n. 8.142/90, que previu os Conselhos de Saúde e as Conferências de Saúde, corroborando a institucionalização de uma verdadeira *democracia sanitária* (AITH, 2007, p. 157).

Neste ensejo, em seu artigo 6º, a Carta de 1988 expressamente declara a saúde como um direito social. Além disso, a saúde possui diversas características que lhe denotam contornos de direito subjetivo público (faculdade de agir por parte de um cidadão ou de uma coletividade para ver um direito seu ser observado) na medida em que permite ao cidadão acessar à justiça para exigir do Estado ou de terceiros responsáveis legalmente a adoção ou a abstenção de medidas concretas em favor da saúde. Como sintetiza de forma precisa Fernando Aith:

Assim, o Direito à saúde é ao mesmo tempo um direito social e um direito subjetivo pois permite que um cidadão ou uma coletividade exijam que o Estado adote medidas específicas em benefício da sua saúde ou que o Estado se abstenha de adotar ações que possam causar prejuízos à saúde individual ou coletiva (ou seja, também exige abstenção do Estado, como por exemplo não poluir o ambiente). (AITH, 2007, p. 72)

¹⁴ Há vasta produção acadêmica voltada à compreensão pormenorizada das diretrizes constitucionais da saúde e seus reflexos na gestão do SUS. Merece especial atenção a obra de Fernando Aith (2007). Assim, não há utilidade na repetição, pelo presente trabalho, do detalhamento da organização do sistema.

É evidente que, para a materialização desse direito fundamental, impõe-se ao Estado o dever de atuar positivamente para implementar políticas públicas, o que implica em uma profusão normativa jamais vista na história¹⁵, com normas que atingem um grau de complexidade tal que permitem afirmar que se trata de um subcampo da ciência jurídica, com especificidades próprias, concebido como Direito Sanitário: “serão normas de Direito Sanitário aquelas produzidas para garantir a redução do risco de doenças e de outros agravos à saúde e para assegurar o acesso igualitário e universal às ações e serviços de promoção, proteção e recuperação da saúde” (ibid., p. 136-7). Neste sentido, a Lei n. 8.080/1990, em seu artigo 7º, incisos I e II, em consonância ao mandamento constitucional, dispõe que são “princípios e diretrizes” do SUS a “universalidade de acesso aos serviços de saúde em todos os níveis de assistência” e a “integralidade de assistência, entendida como conjunto articulado e contínuo das ações e serviços preventivos e curativos, individuais e coletivos, exigidos para cada caso em todos os níveis de complexidade”. E garante, ainda, o acesso a medicamentos: “Estão incluídos no campo de atenção do Sistema Único de Saúde – SUS – a execução de ações de assistência terapêutica integral, inclusive farmacêutica” (art. 6, I, *d*).

Em suma, compete ao Estado brasileiro oferecer, na precisa síntese de Fernando Aith (2014, p. 8), “todos os cuidados de saúde cabíveis para cada tipo de doença, dentro do estágio de avanço do conhecimento científico existente”. Esta diretriz constitucional do atendimento integral, comumente referida como “integralidade”, prevista no artigo 198, inciso II, talvez seja a mais controversa. O que se busca ainda compreender é exatamente, em termos práticos, o que significa a expressão “a saúde é direito de todos e dever do Estado” (ibid., p. 5). A controvérsia reside não só na crescente inovação tecnológica, que aumenta o custo dos tratamentos, mas também no problema dos subfinanciamento do sistema. O breve registro de Unger é esclarecedor:

O SUS (...) nasceu com defeito de origem. No exato momento de sua criação, viu destroçada sua base de financiamento. Desvinculou-se a saúde da previdência, sem que se criasse fonte alternativa para financiá-la. Desde então, capenga de um remendo para outro. É por falta de dinheiro, não apenas por falha de gestão, que um sistema excelente em seu conceito e arcabouço institucional fica muito aquém do programado. (UNGER, 2019)

¹⁵ Por exemplo: a política de distribuição gratuita de medicamentos para portadores do vírus HIV e AIDS (Lei n. 9.313, de 13 de novembro de 1996), a Política Nacional de Medicamentos (Portaria n. 3.916/GM, de 30 de outubro de 1998), a Norma Operacional Básica do Sistema Único de Saúde – NOB 96 – (Portaria D.O.U. de 06 de novembro de 1996), as Normas Operacionais da Assistência à Saúde – NOAS – (Portaria MS/GM n. 373, 27 de fevereiro de 2002), a Política Nacional para os Hospitais de Pequeno Porte (Portaria n. 1.044/GM, 01 de junho de 2004), dentre outras.

De se destacar também a diretriz do acesso igualitário, que exige tratamento equitativo e não discriminatório entre os usuários e pacientes, tanto no acesso aos serviços quanto na concepção das políticas públicas. Por mais clara que seja a orientação dada pelo artigo 196 da Constituição, em âmbito judicial, o carácter universal e igualitário do direito à saúde é desafiado com recorrência. Neste ponto, cumpre referir a interessante análise de Ramiro Sant’Ana (2017) sobre a atuação do STF:

Em verdade, a Corte Constitucional parece estar caminhando para reconhecer a compatibilidade do princípio da universalidade com situações nas quais deve ser observado critério de renda para acesso aos bens e serviços do SUS. Isso pode ser observado nos votos dos Ministros Luís Roberto Barroso e Marco Aurélio no julgamento em curso no RE 566.471/RN. O caso versa sobre fornecimento, determinado por ordem judicial, de medicamentos não incorporados às políticas de saúde do SUS. O Min. Barroso defende, dentre outros, a adoção do critério de renda, de forma que nos processos judiciais os magistrados devam aferir “a incapacidade financeira de arcar com o custo correspondente”. O Min. Marco Aurélio, relator do recurso, vai além e considera que devem ser avaliadas a incapacidade financeira do enfermo e a “falta de espontaneidade dos membros da família solidária em custeá-lo”. A convivência do caráter universal do sistema público com a adoção de qualquer critério de renda deve ser avaliada com atenção, pois pode estimular o funcionamento do SUS sob a lógica da assistência social. Aliás, a configuração do SUS como sistema para os pobres é, há muitos anos, receio recorrente entre os sanitaristas, pois estão cientes que, se adotado tal perfil para o SUS, o risco de agravamento da precarização é elevado. Os exemplos acima narrados se inserem num contexto mais amplo de tentativa de reduzir o atendimento do SUS ou a judicialização da saúde aos “carentes” ou aos “pobres”. (SANT’ANA, 2017, pp. 46-47)

A diretriz de integralidade impõe a diversificação do planejamento e da concepção das políticas públicas de saúde, de forma que sejam estabelecidas estratégias de atendimento para todas as necessidades de saúde (SANT’ANA, 2017, p. 57), dentre elas, as necessidades de saúde órfãs. Portanto, os princípios da universalidade e da integralidade compreendem a extensão do dever do Estado em relação às pessoas com doenças raras, para a garantia de sua saúde, através de políticas públicas. Vale dizer, no Estado brasileiro, as atividades de formulação, implementação e avaliação de políticas públicas realizam-se, em geral, através de instrumentos normativos, tais como Leis, Decretos, Portarias, Resoluções das Agências Reguladoras, dentre outros existentes no ordenamento jurídico. Neste sentido, em 2014 foi promulgada a Política Nacional de Atenção Integral às Doenças Raras (Portaria MS 199/2014), que definiu as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio para os serviços especializados destinados ao tratamento de pessoas com doenças raras.

Estima-se haver no Brasil aproximadamente 14,5 milhões de pessoas com algum tipo de doença rara, considerando-se “rara” aquela doença que afete até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, nos termos da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (Portaria MS n. 199/2014). Estima-se ainda que apenas 2% das doenças raras podem ser tratadas com drogas órfãs, enquanto 95% delas não possui tratamento medicamentoso (INTERFARMA, 2018). Assim, o número de pacientes raros que necessitariam de drogas órfãs no Brasil gira em torno de 290.000 (isto é: $0,02 \times 14,5 \text{ Mi}$). Em se tratando de uma agulha no palheiro do sistema populacional, estes pacientes complicam análises a partir do instrumental teórico da medicina social. Indício disto está no fato de que a categoria “doenças raras”, no plural, é recente no Brasil e apenas teria sido recepcionada, em 2009, durante o I Congresso Brasileiro de Doenças Raras (OLIVEIRA, GUIMARÃES & MACHADO, 2012, p. 4).

Tendo em vista que 80% das doenças raras têm etiologia genética e os 20% restantes abrangem algumas doenças imunológicas, alguns cânceres e doenças infectocontagiosas infrequentes (MELO et al., 2017, p. 1206), é imprescindível lembrar que a discussão sobre o estabelecimento de uma política pública de saúde em genética no Brasil foi iniciada em outubro de 2004, com a instituição do Grupo de Trabalho de Genética Clínica (Portaria MS n. 2.380/2004), composto por especialistas em genética médica e técnicos do Ministério da Saúde (MS). O trabalho desse grupo resultou na publicação, em 2009, da Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica no SUS (Portaria MS n. 81/2009), cujo principal objetivo era estruturar uma rede de serviços regionalizada e hierarquizada que permitisse o acesso e a atenção integral em genética. Sem embargo, “como muitas vezes acontece, essa política deixou alguns aspectos para serem regulamentados e, na prática, não foi implantada” (ibid., p. 1207).

Por sua vez, a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR) resultou do trabalho de outro grupo, constituído em 2012 pelo Departamento de Atenção Especializada e Temática/Coordenação de Média e Alta Complexidade, com representantes da sociedade civil, especialistas em genética clínica e técnicos do MS, sendo promulgada em 2014, através da Portaria MS n. 199/2014. Optou-se nesta política por classificar as doenças de acordo com sua natureza de origem, que pode ser genética ou não genética. Destarte, em seu art. 12, a PNAIPDR elenca dois eixos de doenças raras, sendo que o primeiro reúne três grupos de doenças de origem genética: (1) anomalias congênitas ou de manifestação tardia, (2) deficiência intelectual e (3) erros inatos de metabolismo; e o segundo eixo aborda doenças raras de

natureza não genética. Dentre seus objetivos específicos, em seu art. 5º, a PNAIPDR busca “proporcionar a atenção integral à saúde das pessoas com doença rara”. Além disso, esta política prevê um sistema para registro das ações prestadas no cuidado às pessoas com doenças raras em todos os serviços de saúde, seja na atenção básica ou especializada, ambulatorial ou hospitalar. Ademais, institui o Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras e o Serviço de Referência em Doenças Raras, que oferecem atenção diagnóstica e terapêutica específica, em caráter multidisciplinar, e são competentes para realizar tratamento clínico e medicamentoso. Desse modo, o SUS se obriga a garantir o cuidado integral das doenças raras em todos os níveis, desde a prevenção, acolhimento, diagnóstico, tratamento (com garantia de acesso às tecnologias disponíveis), suporte e apoio, inclusive com atenção domiciliar em alguns casos, seguimento e reabilitação para complementaridade do cuidado, sem se eximir de continuar ofertando o cuidado integral às pessoas com doenças raras. Em síntese:

O Estado brasileiro deixa claro assim que a atenção especial à saúde destas pessoas é obrigatória, sem discriminação de qualquer tipo e de maneira a se utilizar os melhores conhecimentos científicos comprovados por evidências para atingir os relevantes objetivos elencados na norma. (AITH, 2014, p. 9)

Porém, a implementação desta política enfrenta desafios como a dificuldade para o diagnóstico das doenças raras, com a peregrinação dos pacientes por vários médicos, às vezes por décadas, e que o número de serviços e de recursos humanos envolvidos na assistência em genética clínica é insuficiente para atender à demanda, estimando-se que a maior parte dos pacientes e famílias não recebe cuidado adequado (MELO et al., 2017, p. 1208). Ademais, em relação à oferta pública de medicamentos, “a amarração do tratamento das doenças raras à lógica de integralidade definida pela Lei 12.401/2011 gera dúvidas com relação à constitucionalidade do texto e mantém aberta a possibilidade da judicialização” (AITH, 2014, p. 10). Importante entender que, para ser fornecido aos pacientes raros, o medicamento deve ser recomendado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC) após análise de sua eficácia, acurácia, segurança e custo-efetividade (§ 2, do art. 19-Q, da Lei n. 8.080/1990). Portanto, em que pese a PNAIPDR prever o tratamento medicamentoso, a Lei que determina a tomada de decisão sobre a incorporação de tecnologias no SUS não fixou regras específicas para a avaliação de medicamentos órfãos. Esta situação conformaria um “paradoxo regulatório” (SUNSTEIN, 1990), ensejando alguns “efeitos adversos” como doravante passamos a descrever.

3.2. Instituições dispersas e instrumentos heterogêneos

A efetivação do direito à saúde dos doentes órfãos deve se dar por meio da articulação de diversas instituições e órgãos estatais, impondo a necessidade de compreendermos, especialmente, o papel de agências e autoridades reguladoras. Com a expansão da função regulatória do Estado, no final da década de 1990, assistiu-se ao surgimento de diversas agências voltadas à proteção da saúde. Cumpre consignar que “esta reestruturação do Estado brasileiro para fazer frente aos seus desafios inerentes à atividade de regulação está produzindo importantes alterações no Direito, cujos modelos teóricos devem, em grande medida, ser reinventados” (AITH, 2007, p. 249). Além do conjunto destas organizações, é preciso considerar as normas e leis que incidem sobre sua forma de atuação, como uma “arquitetura regulatória”. Neste sentido, ao tratarmos do direito a medicamentos órfãos, será fundamental que se considere a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), os Protocolos Clínicos e as Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde (PCDT), a Política Nacional de Assistência Farmacêutica e as normas de registro sanitário da ANVISA. Vale dizer, a regulação jurídica sobre o setor farmacêutico, ou regulação de medicamentos, é realizada através de diretrizes, certificações, licenças de funcionamento, do controle de preços de novas tecnologias e do estabelecimento de infrações sanitárias. Igualmente, é fundamental compreender que a política nacional de regulação de medicamentos é diretamente influenciada pela regulação internacional vigente, tendo em vista que o mercado desses produtos é extremamente globalizado (AITH et al., 2014, p. 461).

No Brasil, a política de regulação de medicamentos se estrutura em torno de um conjunto de ações executado por meio de uma rede de instituições da administração direta e indireta, que compõe o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária (SNVS). No âmbito da Lei n. 9.782/1999, dentro do SNVS, o Ministério da Saúde (MS) é o grande formulador da política de regulação de medicamentos, mas sua atuação está vinculada à rede de organizações que constitui o sistema, sendo necessário para o propósito deste estudo, descrevermos o papel de alguns desses órgãos e instituições: a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA); a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED); a Comissão Nacional de Ética em Pesquisa (CONEP); e a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC).

A coordenação dos objetivos destas instituições é indispensável para a realização dos complexos objetivos instituídos pela PNAIPDR; se esta constitui uma norma técnica, que demanda conhecimentos muito específicos, as instituições que lhe “dão vida” são particularmente numerosas e diversas. Portanto, como podem as autoridades competentes otimizar seus esforços coletivos a fim de evitar o desperdício de recursos limitados? Afinal, resta difícil obter-se uma visão clara dos papéis e responsabilidades de cada uma delas. Somente um pequeno grupo de pessoas altamente qualificadas logram conhecer o grupo de fontes jurídicas e instituições colocadas à disposição dos pacientes órfãos e fabricantes de medicamentos no Brasil. Nesse diapasão, observam de forma certa Fernando Aith e colaboradores:

Resta bem claro que o conjunto de determinações legais relativas a drogas e medicamentos no país é extremamente fragmentado. Essa realidade dificulta o entendimento do perfil da política regulatória de produtos farmacêuticos. Além de fragmentado, os atos normativos que compõem esse panorama regulatório se superpõem, raramente indicando de forma clara a sua validade. A criação de um novo ato regulatório para determinada matéria pode ou não revogar o ato anterior, sem, contudo, mencioná-lo expressamente, o que dificulta o estudo do objeto. (AITH, 2014, p. 529)

Seria esta fragmentação de autoridades e procedimentos um “paradoxo” do Estado Regulador (SUNSTEIN, 1990)? Ao ensejo, seria possível seu reagrupamento em uma organização que contemple em seu interior um painel de especialistas em doenças raras, além das associações de doentes, a fim de estabelecer uma estratégia global eficiente para promover o acesso a drogas para as mais variadas necessidades de saúde órfãs? Vale dizer, as tecnologias avançam de forma espontânea, notadamente no campo da genética e da bioinformática. Para acompanhá-las, são indispensáveis instrumentos jurídicos apropriados. Em outras palavras, “esta nova era da farmacêutica requer incentivos jurídicos renovados que permitam organizar a rentabilidade destas atividades em torno de prioridades de saúde pública” (RIGAL, 2017, p. 199).

Finalmente, a União Federal possui uma importância estratégica no processo de institucionalização da política de regulação de medicamentos. Pois, conforme a CF/88, quanto ao modo de produção das normas jurídicas de regulação de medicamentos, existe uma supremacia das normas jurídicas da União quando se tratar do estabelecimento de normas gerais de direito sanitário (ibid., p. 466). Os tópicos a seguir apresentam uma visão panorâmica sobre as organizações e procedimentos neste âmbito federativo, descrevendo suas diversas instituições, leis, decretos, portarias e resoluções que incidem na política de regulação dos medicamentos órfãos no Brasil.

3.3. Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA

No contexto de sua reforma administrativa, o Estado brasileiro passou por um movimento que despertou dúvidas acerca da eficiência na execução de ações de vigilância através do Ministério da Saúde (MS). Como observam Aith et al. (2014, p. 463): “Tais questionamentos, aliados a diversos acontecimentos envolvendo falhas na fiscalização, levaram à crítica ao modelo de vigilância executado pela Administração Direta e ensejaram a criação da Anvisa e do Sistema Nacional de Vigilância Sanitária”. É dizer, antes da existência do modelo de gestão sanitária vigente, as ações e serviços de vigilância eram executados diretamente pelo MS, sendo considerados pouco eficientes:

Os questionamentos acerca da eficiência, coordenação e transparência desse sistema encontraram eco em diversos casos emblemáticos de falsificação de medicamentos, entre eles o escândalo conhecido como “a pílula de farinha”. Temas como falsificação de medicamentos, controle de preços de medicamentos, produção local de medicamentos e incentivo aos genéricos foram debatidos na Câmara dos Deputados pela Comissão Parlamentar de Inquérito (CPI) dos Medicamentos no período de novembro de 1999 a junho de 2000 (Brasil, 2000). Muitos dos resultados dessa Comissão foram direcionados para a formulação do SNVS, um sistema descentralizado e coordenado de ação e execução de vigilância. Nesse contexto também foram concebidos a Anvisa e o CMED, para controle de preço de medicamentos. (AITH et al., 2014, p. 482).

Neste sentido, no bojo da chamada Reforma do Estado, “o Brasil adotou o modelo norte-americano de delegação de serviços públicos a agências administrativas independentes, as agências reguladoras” (COUTINHO & MIZIARA, 2014, p. 306). Criada através da Lei n. 9.782/1999 e regulamentada pelo Decreto n. 3.029/1999, a ANVISA é parte integrante do SUS, conservando diversas competências regulatórias relacionadas ao controle da produção e comercialização de produtos e serviços submetidos à vigilância sanitária e, ainda, é responsável pela regulação econômica do mercado farmacêutico: “Suas atribuições são abrangentes, o que faz com que a regulação produza efeitos sobre os mais variados segmentos da economia que, de um modo ou de outro, se relacionam com a saúde da população”(id.). Trata-se de uma autarquia federal, com independência técnica e administrativa, competente para regulamentar, controlar e fiscalizar os produtos e serviços que envolvam risco à saúde pública, incluindo-se as dependências físicas, equipamentos e procedimentos envolvidos no processo de produção desses bens.

A gestão da ANVISA é feita por sua Diretoria Colegiada, chefiada pelo diretor-presidente, nomeado dentre os membros deste órgão diretivo pelo Presidente da República, após aprovação pelo Senado Federal. Como explicam Aith e colaboradores:

O órgão diretivo da ANVISA é a Diretoria Colegiada, composta por três a cinco membros escolhidos pelo Presidente da República e aprovados posteriormente pelo Senado Federal. Os seus diretores possuem mandato de três anos e contam com estabilidade durante esse período. A cada novo mandato, é firmado um contrato de gestão com estipulação dos objetivos e metas a serem cumpridos pela Anvisa, publicado no *Diário Oficial da União*. (AITH et al., 2014, p. 470)

O mandato do diretor-presidente é de três anos, admitida uma recondução ao cargo, por igual período. Contudo, este diretor-presidente pode ser exonerado pelo Presidente da República, após solicitação do MS, caso seja descumprido o contrato de gestão. Portanto, o traço institucional distintivo desta agência é sua “independência”, visto que “uma agência é independente se o Congresso dispõe que seus membros podem ser exonerados pelo Presidente por causas específicas” (SUNSTEIN, 1990, p. 426). No caso da ANVISA, o argumento em favor da independência é, por vezes, desafiado mais explicitamente pelo fato de que esta com frequência deve tomar importantes decisões de políticas públicas e princípios, e “neste tipo de juízo a expertise nunca é decisiva” (id.). Como já dito, para Cass Sunstein, as agências regulatórias concebidas nestes moldes jamais são, de fato, independentes, ficando sujeitas a câmbios forjados pelas diversas pressões de grupos políticos e humores do Presidente da República (ibid., p. 426).

Finalmente, no que toca à sua autonomia financeira, a ANVISA recebe recursos através de um contrato de gestão, firmado entre ela e o MS, oriundos do Orçamento Geral da União. Ademais, “conta com receitas próprias, provenientes da arrecadação de multas e serviços decorrentes de sua atuação fiscalizadora, o que lhe garante maior autonomia decisória” (AITH et al., 2014, p. 470).

3.3.1 Procedimento de registro de novos medicamentos

O Brasil possui uma Política Nacional de Medicamentos (criada pela Portaria n. 3.916/1998), que implica no instrumento norteador do conjunto de ações concernentes aos medicamentos no país¹⁶, em cujas diretrizes dispõe sobre a garantia da

¹⁶ O objetivo dessa política é o de garantir a segurança, a eficácia e a qualidade necessárias dos medicamentos, bem como promover seu uso racional e o acesso da população àqueles considerados essenciais. Além de contemplar diretrizes e definir prioridades relacionadas à legislação – incluindo a regulamentação –, inspeção, controle e garantia da qualidade, seleção, aquisição e distribuição, uso racional de medicamentos, desenvolvimento de recursos humanos e desenvolvimento científico e tecnológico. (AITH et al., 2014, p. 483)

segurança, eficácia e qualidade dos medicamentos, por meio das ações da ANVISA. No bojo desta agência está inscrito o procedimento para que um determinado medicamento submetido a teste, ou “candidato a medicamento” (PIGNARRE, 1999), passe da fase de pesquisa para a fase de comercialização no mercado brasileiro.

Vale lembrar, “o desenvolvimento de um medicamento se dá conforme um processo longo e custoso que começa com uma fase pré-clínica (estudos com animais) e então uma fase clínica (estudos com seres-humanos) chegando à sua comercialização” (MÉCHIN, 2007, p. 63). Vimos que um ensaio clínico equivale a comprovar que o candidato a medicamento é superior ao medicamento precedente, ou ao placebo, quando não existir um produto comparável. Mas não é só. Os ensaios clínicos constituem mais que uma ferramenta de controle de risco/benefício de certa substância ou limite ético: “rapidamente eles se transformaram na ferramenta de regulação, e logo passaram a ser o coração do processo de invenção em si” (PIGNARRE, 2005, p. 53). Afinal de contas:

Onde a ciência e a indústria se enlaçam, as relações jamais são de difusão ou de aplicação. (...) [Logo] é preciso um regulamento interno para assegurar o bom funcionamento desse laboratório. Esse regulamento interno tomará a forma de regras administrativas interpretadas em termos de ética. O regulamento interno do laboratório deve resolver várias questões: tem-se o direito de dar um placebo à metade dos pacientes que formarão o grupo testemunha dos pacientes, quando já existem medicamentos eficazes para tratar a sua patologia? Será necessário (e de que maneira) obter o “consentimento esclarecido” dos pacientes que participam de um teste em duplo cego? De um ponto de vista econômico, o estudo contra-placebo é sempre preferível ao estudo contra um medicamento de referência: ele necessita de um número muito menor de pacientes para estabelecer a eficácia do novo produto, e portanto custa bem menos. (PIGNARRE, 1999, p. 58)

No Brasil, a apreciação do medicamento não é incumbência de uma única comissão que ao mesmo tempo aprecia seu valor terapêutico e negocia um preço. Como examinaremos em detalhe na próxima seção, nessa segunda tarefa, a ANVISA apenas auxilia tecnicamente a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) tanto no monitoramento, como na fixação do preço das inovações terapêuticas para o mercado nacional. Quanto à realização de ensaios clínicos, em solo brasileiro:

Um dos passos essenciais para que uma droga ou um medicamento venha a obter registro e autorização para comercialização no país é a realização prévia de ensaios clínicos em seres humanos, definidos pela RDC n. 39/2008 como qualquer investigação em seres humanos, envolvendo intervenção terapêutica e diagnóstica com produtos registrados ou passíveis de registro, objetivando descobrir ou verificar os efeitos farmacodinâmicos, farmacocinéticos, farmacológicos, clínicos e/ou outros efeitos do(s) produto(s) investigado(s), e/ou identificar eventos adversos ao(s) produto(s) em investigação, averiguando sua segurança e/ou eficácia, que poderão subsidiar o seu registro ou a alteração deste junto à Anvisa. (AITH et al., 2014, p. 485)

Além disso, a Resolução MS/CNS n. 466/2012 determina que todas drogas testadas em seres humanos devem ser submetidas a um comitê de ética, diretamente vinculado à Comissão Nacional de Ética em Pesquisa (CONEP), criada pela Resolução n. 196/1996. Vale dizer, a CONEP é uma das 26 comissões temáticas do Conselho Nacional de Saúde (CNS), que, por sua vez, é parte integrante do MS. Grosso modo, a CONEP é competente para examinar aspectos éticos da pesquisa que envolva seres humanos, além de ser responsável por estimular e registrar os Comitês de Ética em Pesquisa (CEP). Como observam Fernando Aith e colaboradores: “a partir da instauração do sistema CEP/Conep em 1996, o número de comitês credenciados pela Conep aumentou consideravelmente” (AITH et al., 2014, p. 473). Além disso, anotam:

O sistema CEP/Conep é importante, pois credencia as pesquisas clínicas (*clinical trials*) de fármacos, medicamentos e vacinas no Brasil. Antes, de acordo com a Resolução no 196/1996, toda pesquisa que tratasse sobre novos fármacos, medicamentos e vacinas deveria ser protocolada e analisada diretamente pela Conep. A partir da Resolução no 251/199721, essa competência foi delegada para os CEPs. A função da comissão passou, assim, a ser muito mais de controle e manejo dos dados coletados pelos CEPs. (AITH et al., 2014, p. 474)

No que toca aos tratamentos para as doenças raras, a anuência de ensaio clínico a ser realizado no Brasil passou a ser concedida sem a apresentação de parecer consubstanciado do CEP, por força da RDC n. 205/2017, de molde que o controle de limites éticos na investigação destes produtos segue sob o mando da CONEP. Ademais, a Resolução MS/CNS n. 466/2012 atribui competência exclusiva à CONEP para aprovar os protocolos de pesquisas de temas específicos, como as pesquisas envolvendo células embrionárias, organismos geneticamente modificados e a genética humana, a operação de biobancos para fins de pesquisa e pesquisas financiadas internacionalmente, excetuando-se aquelas com financiamento do governo brasileiro. Além disso, esta resolução dispõe sobre as diretrizes gerais do Protocolo de Pesquisa. Tal documento descreve a pesquisa clínica a ser realizada, contendo informações relevantes como objetivos, desenho, metodologia, considerações estatísticas e organização do estudo, as quais a ANVISA deve ter conhecimento prévio. Portanto, a primeira etapa de um ensaio clínico é a elaboração de seu Protocolo de Pesquisa, que deve ser submetido e aprovado pelo respectivo CEP, ou ainda pela CONEP. Em seguida, tal protocolo é submetido à análise da ANVISA, que caso o aprove, emitirá um Comunicado Especial (CE) autorizando a execução do ensaio clínico e, se for o caso, uma licença de importação do medicamento para utilização na pesquisa.

Em larga medida, a regulação e supervisão das atividades envolvendo ensaios clínicos no Brasil são gerenciadas e controladas pela ANVISA, que é responsável não só por emitir as necessárias licenças para início do ensaio clínico, mas também pela supervisão de importação de medicamentos utilizados nestes e ministrados a pacientes que participam de tais pesquisas. Cumpre destacar que em 2012 a agência tomou uma medida de relevo no que toca à pesquisa clínica dos medicamentos órfãos, através da RDC n. 36/2012, criando um processo simplificado de análise para os pedidos de aprovação de ensaio clínico, quando este já houver sido analisado e aprovado por uma autoridade sanitária, não só da Europa (*European Medicines Agency* – EMA), como também dos seguintes países: EUA (*Food and Drug Administration* – FDA), Japão (*Pharmaceuticals and Medical Devices* – PMDA), Austrália (*Therapeutics Goods Administration* – TGA) ou Canadá (*Health Canada*). Vale sublinhar, todos estes entes estatais ou supra-estatais possuem regulações específicas sobre as drogas órfãs.

Finalmente, a RDC n. 205/2017 estabeleceu “procedimento especial para anuência de ensaios clínicos, certificação de boas práticas de fabricação e registro de novos medicamentos para tratamento, diagnóstico ou prevenção de doenças raras”. Esta resolução reflete o mesmo *critério de prevalência* da PNAIPDR, adicionando-lhe um *critério de severidade*, conforme o qual uma “condição séria debilitante” deve ser entendida como “doença ou condição associada a morbidade irreversível ou a alta probabilidade de morte, a menos que o curso da doença seja interrompido”. E amarra a definição de “medicamento para doença rara” como aquele que tenha o objetivo de “tratar, diagnosticar ou prevenir a doença rara e que: (i) seja utilizado em condição séria debilitante; e (ii) se proponha a alterar de forma clinicamente significativa a evolução ou possibilite a remissão da doença” (cf. art. 4º, da RDC n. 205/2017). Para receber este status de um “medicamento para doença rara”, no momento do protocolo da petição de anuência de ensaios clínicos ou de registro de novo medicamento, o promotor da droga deve informar se a solicitação é referente a medicamento para doença rara. Ademais, a designação de “procedimento especial” para ensaio clínico de medicamento para condição rara demanda a apresentação de documentação preliminar que contemple: (i) a descrição da doença rara para a qual o medicamento será indicado; (ii) relevância do medicamento para tratamento, diagnóstico ou prevenção da doença; (iii) dados mundiais e nacionais sobre a prevalência e a incidência da doença rara para a qual o medicamento será indicado; e (iv) documento comprobatório de designação de medicamento para doença rara por outra autoridade reguladora, quando disponível.

A RDC n. 205/2017 traz ainda diversos benefícios para o registro de um novo medicamento para doença rara. Porém, antes de descrevermos estas vantagens, cuidaremos do procedimento geral de registro de produtos farmacêuticos. O registro de medicamento é o ato por meio do qual a ANVISA autoriza a comercialização destes produtos em território nacional, mediante “avaliação do cumprimento de caráter jurídico-administrativo e técnico-científico relacionada com a eficácia, segurança e qualidade destes produtos” (cf. Decreto no 3.961/2001).

O processo de registro engloba a certificação de boas práticas, ou seja, para dar início ao procedimento, a empresa promotora do medicamento deve apresentar certificação de boas práticas de fabricação (CBPF), o que visa garantir a higiene e segurança no trabalho, para fins de assegurar qualidade na fabricação e manipulação de medicamentos, reduzindo falhas de natureza humana em decorrência da falta de padronização (AITH et al., 2014, p. 496). Além disso, a empresa promotora do medicamento deve dispor de licença de funcionamento, que possui dois tipos: Autorização de Funcionamento e a Autorização de Funcionamento Especial. Neste sentido, o “registro é uma fase extremamente complexa, que pressupõe a comprovação de boas práticas e licenças de funcionamento e operação por aquele que pretende produzir, importar ou colocar à venda um produto” (ibid., p. 498).

O procedimento para registro de medicamentos possui requisitos gerais e se divide em três etapas: (i) pré-registro, que engloba medidas precedentes ao protocolo da solicitação, como os ensaios clínicos no caso de novos medicamentos; (ii) registro; e (iii) pós-registro: medidas obrigatórias a serem adotadas após o registro (ibid., p. 500). Em síntese, o procedimento varia conforme a espécie de produto farmacêutico que se queira registrar, sendo que seus requisitos gerais estão previstos na Lei n. 6.360/1976¹⁷.

¹⁷ Art. 16. O registro de drogas, medicamentos, insumos farmacêuticos e correlatos, dadas as suas características sanitárias, medicamentosas ou profiláticas, curativas, paliativas, ou mesmo para fins de diagnóstico, fica sujeito, além do atendimento das exigências próprias, aos seguintes requisitos específicos: I - que o produto obedeça ao disposto no artigo 5º, e seus parágrafos. II - que o produto, através de comprovação científica e de análise, seja reconhecido como seguro e eficaz para o uso a que se propõe, e possua a identidade, atividade, qualidade, pureza e inocuidade necessárias; III - tratando-se de produto novo, que sejam oferecidas amplas informações sobre a sua composição e o seu uso, para avaliação de sua natureza e determinação do grau de segurança e eficácia necessários; IV - apresentação, quando solicitada, de amostra para análises e experiências que sejam julgadas necessárias pelos órgãos competentes do Ministério da Saúde; V - quando houver substância nova na composição do medicamento, entrega de amostra acompanhada dos dados químicos e físico-químicos que a identifiquem; VI - quando se trate de droga ou medicamento cuja elaboração necessite de aparelhagem técnica e específica, prova de que o estabelecimento se acha devidamente equipado e mantém pessoal habilitado ao seu manuseio ou contrato com terceiros para essa finalidade; VII - a apresentação das seguintes informações econômicas: a) o preço do produto praticado pela empresa em outros países; b) o valor de aquisição da substância ativa do produto; c) o custo do tratamento por paciente com o uso do produto; d)

Nos termos do art. 14 da RDC n. 205/2017, o procedimento de registro de um medicamento para doença rara é diferente de qualquer outro, uma vez que permite que um “procedimento especial” de autorização seja aplicado pela ANVISA, desde antes do pedido de registro, ainda durante os ensaios clínicos. No Brasil, vale lembrar, que medicamentos novos podem ser registrados mesmo que seus estudos clínicos não tenham sido realizados no país, devendo o interessado apresentar o protocolo de pesquisa e os resultados do estudo clínico de Fase III (ibid., p. 502). Para a solicitação de registro de medicamento para doença rara, já registrado em outros países, passa a ser permitido que o promotor da droga apresente apenas relatório técnico de avaliação do medicamento emitido pelas respectivas autoridades reguladoras, quando disponível. Ainda, a submissão da solicitação de registro pode ser aceita apenas com apresentação de mero protocolo de solicitação de inspeção para fins de emissão do CBPF.

Por sua vez, o maior avanço da RDC n. 205/2017 parece estar contido no §4º, de seu art. 14, que estabelece que, para a solicitação de registro de medicamentos órfãos, passam a ser aceitos relatórios de segurança e eficácia com a apresentação de estudos fase II concluídos e estudos fase III em andamento, ou sem a apresentação de estudos clínicos fase III, quando a realização destes estudos não for viável. Com isso, o sistema de registro de medicamentos órfãos no Brasil passa a admitir estudos de segurança e eficácia pós-autorização, amarrando em seu art. 15 a possibilidade de concessão da autorização condicional de introdução no mercado, de modo que as evidências de segurança e eficácia dos medicamentos órfãos possam ser complementadas a posteriori, em fase pós-comercialização. Citamos:

Art. 15. Pode ser admitida a apresentação de complementação de dados e provas adicionais posteriormente à concessão do registro, por meio de assinatura de termo de compromisso entre a Anvisa e a empresa solicitante do registro.

Parágrafo único. O não cumprimento dos compromissos assumidos pode implicar o cancelamento do registro do medicamento.

Outra vantagem da designação deste “procedimento especial” compreende oportunidades de maior interação junto à equipe revisora da ANVISA sobre o dossiê de desenvolvimento clínico de medicamento (DDCM), ou dossiê específico de ensaio

o número potencial de pacientes a ser tratado; e) a lista de preço que pretende praticar no mercado interno, com a discriminação de sua carga tributária; f) a discriminação da proposta de comercialização do produto, incluindo os gastos previstos com o esforço de venda e com publicidade e propaganda; g) o preço do produto que sofreu modificação, quando se tratar de mudança de fórmula ou de forma; e h) a relação de todos os produtos substitutos existentes no mercado, acompanhada de seus respectivos preços.

clínico, antes da submissão do pedido de registro, através da realização de “reunião de pré-submissão”. Com efeito, a análise inicial dos documentos e a verificação dos resultados perquiridos pode ser encurtada, evitando-se que os pedidos de registro sejam protocolados omitindo-se alguma documentação relevante. Além disso, enquanto o registro de novos medicamentos em geral deve ser concedido no prazo de noventa dias, contados a partir da entrega do requerimento, conforme o art. 7º do Decreto n. 8.077/2013, a avaliação da solicitação de registro de medicamento órfão, no âmbito da RDC n. 205/2017, deve ser feita pela ANVISA em até sessenta dias após a submissão, com emissão de notificação de exigência ou parecer conclusivo.

Finalmente, no que respeita ao preço do medicamento, as empresas que submeterem solicitação de registro de novos medicamentos conforme os critérios desta resolução devem apresentar dossiê de definição de preço máximo concomitantemente ao protocolo da solicitação de registro. Neste ponto, tocamos no tema do controle de preços de medicamentos no Brasil, tema este que merece um tópico à parte.

3.4. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos – CMED

Como é de conhecimento geral, um dos maiores desafios aos sistemas públicos de saúde são os gastos crescentes em face de orçamentos limitados. Por força disso, com o intuito de incrementar a política de assistência farmacêutica mediante a regulação econômica do mercado de medicamentos, a Lei 10.742/03 criou a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), que tem a prerrogativa de estabelecer critérios para a fixação e ajuste do preço de medicamentos, bem como para a fixação de margens para sua comercialização a serem observadas pelos representantes, distribuidores, farmácias e drogarias no Brasil. Ainda, um dos instrumentos criados para dar maior eficiência aos recursos empregados em saúde foi o Coeficiente de Adequação de Preços (CAP), que é o desconto mínimo obrigatório para compras públicas. Esta Câmara representa o objetivo mais claro do que se tem por “regulação” de um ponto de vista normativo, isto é, resolver problemas econômicos que não podem ser deixados para solução do mercado – tais como problemas criados por externalidades positivas ou negativas que as forças do mercado não podem internalizar (POSNER, 2011, p. 12). É dizer, “o mercado de medicamentos é caracterizado por inúmeras falhas (oligopólios, assimetrias de informação) que precisam ser contornadas por meio da regulação estatal, visando garantir o acesso seguro a esses bens” (AITH et al., 2014, p. 513).

A discussão sobre o controle do mercado farmacêutico antecede em muito o desenvolvimento da CMED. Em 1970, o controle de preços de medicamentos foi implementado, quando o Conselho Interministerial de Preços (CIP) era responsável pela política de fixação de preços de medicamentos no país. Contudo, em 1990 o CIP foi extinto e o governo brasileiro passou a controlar apenas a margem de lucro das empresas (ibid.). Este modelo se mostrou incapaz de controlar o aumento abusivo no preço de medicamentos. Logo, a Comissão Parlamentar de Inquérito (CPI) dos Medicamentos (BRASIL, 2000) foi instaurada, em 1999, com o objetivo de investigar reajustes de preços e a falsificação de medicamentos, dentre outras coisas, retomando o tema da necessidade de criação de um ambiente de regulação de preços no Brasil. Nesta CPI, a Secretaria de Direito Econômico (SDE), do Ministério da Justiça (MJ), abriu processo administrativo para averiguar o aumento no preço de mais de 300 remédios listados pela CPI, concluindo, em 11 de fevereiro de 2000, pela instauração de processo administrativo contra 47 laboratórios acusados de praticar aumento abusivo de preços:

Os diversos documentos existentes na CPI dos Medicamentos e as investigações efetuadas revelaram farta prova de prática de preços excessivos. Destarte, tomou-se a iniciativa de interpor Representação junto à SDE/MJ contra os 42 laboratórios que elevaram seus preços muito acima dos índices de inflação, no período que vai de maio/93 a dezembro/99, o que deu origem à instauração do Processo Administrativo nº 08012.000581/100-16, que teve como embasamento legal os arts. 20 e 21 da Lei nº 8.884/94. (BRASIL, 2000, p. 342)

Por outro lado, o então Ministro da Fazenda, Pedro Malan, um dos maiores defensores do livre-mercado, descartou, na CPI, o controle de preços dos medicamentos, como havia sido defendido pelo então Ministro da Saúde, José Serra, recomendando à CPI uma desregulamentação do setor. Sem embargo, o crescimento dos preços extrapolou os limites do que é aceitável, de molde que um ano mais tarde seria promulgada a Lei n. 10.213/2001, que instituiu a fórmula paramétrica de reajuste de preços de medicamentos (FPR), criando a Câmara de Medicamentos, que, após a Medida Provisória n. 123/2003 e a Lei n. 10.742/2003, passaria a se denominar Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED).

Hoje em dia, a CMED é composta por representantes dos ministérios da Saúde, da Justiça, das Finanças, do Desenvolvimento e da Casa Civil. Dentre os atos necessários à consecução do seu objetivo fundamental de regular o mercado de medicamentos, compete à CMED: monitorar o mercado farmacêutico, podendo

requisitar informações sobre produção, insumos, matérias-primas, vendas e quaisquer outros dados que julgar necessários ao exercício desta competência, definir as diretrizes e os procedimentos de regulação do mercado de medicamentos, sugerir diretrizes e procedimentos voltados à implementação da política de acesso a medicamentos, propor legislações e regulamentações pertinentes à regulação econômica do mercado de medicamentos, etc. (AITH et al., 2014, p. 477). Com efeito, a CMED visa “promover a assistência farmacêutica à população, por meio de mecanismos que estimulem a oferta de medicamentos e a competitividade do setor” (id.).

3.4.1 Procedimento para o controle do preço de medicamentos

A regulação sobre o mercado de medicamentos exercida pela CMED se consubstancia na prerrogativa de estabelecer critérios para a fixação e ajuste de preços de medicamentos, bem como para fixação de margens de comercialização de produtos farmacêuticos. Atualmente, os dispositivos da Lei n. 10.742/2003 e as resoluções normativas da CMED organizam o procedimento de controle de preços de medicamentos no Brasil. As resoluções são os instrumentos jurídicos utilizados pela CMED para estabelecer critérios regulatórios que devem ser observados por aqueles que atuam no mercado farmacêutico (MIZIARA & COUTINHO, 2015). Como sintetizam Fernando Aith e colaboradores:

De acordo com essas normas, o ajuste de preços é anual e deve observar um teto calculado com base em um conjunto de fatores econômicos. Assim, como determinado pelo Artigo 4º da Lei no 10.742/2003, o limite dos preços deve observar o Índice Nacional de Preços ao Consumidor Amplo (IPCA), um fator de produtividade, um fator de ajuste intrassector e um fator de ajuste entre setores. (AITH et al., 2014, p. 477)

Quanto ao ajuste de preços, a CMED dá tratamento diverso ao controle de preços em relação a fabricantes, através do estabelecimento de um teto chamado Preço Fábrica (PF), e aos demais atores do mercado de medicamentos, estabelecendo para estes um preço máximo ao consumidor (PMC). Como ensinam Miziara e Coutinho:

O preço-fábrica é o preço máximo pelo qual um laboratório ou distribuidor pode comercializar um medicamento, enquanto o PMC é o maior preço pelo qual um medicamento pode ser vendido ao consumidor em farmácias ou drogarias. Tanto o preço-fábrica quanto o PMC são fixados anualmente e calculados mediante fórmula aritmética que considera, dentre outros fatores, a produtividade e o índice de preços do consumidor amplo relativo ao período. (MIZIARA & COUTINHO, 2015, p. 4)

Ademais, há instrumento específico para dar maior eficiência aos recursos públicos empregados na política de medicamentos, o Coeficiente de Adequação de Preços (CAP), estabelecido pela Resolução CMED n. 4/2006, que é um desconto mínimo obrigatório para vendas de medicamentos destinadas a entes da administração pública direta e indireta da União, dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios. Independentemente de constarem das listas oficiais da assistência farmacêutica, o CAP se aplica a produtos comprados por força de ação judicial. Em todo caso, a aplicação do CAP sobre o PF resultará no Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG). Vale dizer: “Esse coeficiente é recalculado anualmente a partir da média da razão entre o produto interno bruto *per capita* do Brasil e de nove países desenvolvidos, levando em conta o índice de desenvolvimento humano” (MIZIARA & COUTINHO, 2015, p. 4).

Em um estudo abrangente a respeito dos resultados empíricos produzidos por esta regulação, Miziara e Coutinho demonstram que, de 2009 a 2012, os medicamentos que constituíram seu banco de dados apresentaram variação superior a 20,0% entre a média de preços praticados nos pontos de venda e o PMC do respectivo período (ibid.). Assim, concluem, por um lado, que “a regulação dos preços pela CMED parece ser inócua, não interferindo no arbitramento dos preços de boa parte dos medicamentos pela indústria” (id.), e, por outro, que muitos laboratórios se recusam a aplicar o CAP nas vendas a órgãos públicos:

Na prática, muitos laboratórios têm deixado de aplicar esse desconto de aproximadamente 24,0% aos medicamentos vendidos aos departamentos regionais de saúde, sendo comum o pagamento de sobrepreço pelo Governo, sob pena de desabastecimento do sistema público de saúde. Quando obrigados a aplicar esse coeficiente, muitos laboratórios deixam de participar de licitações para a venda de medicamentos à administração pública. (MIZIARA & COUTINHO, 2015, p. 5)

Ao fim e ao cabo, nenhuma sanção acaba sendo aplicada àqueles que desrespeitam esta regulação, por não haver previsão legal de instrumentos de fiscalização da aplicação do CAP pela CMED, sem que o pagamento de sobrepreço pelos órgãos públicos sequer chegue ao conhecimento desta. Por outro lado, Miziara e Coutinho concluem que, para além de meros problemas legislativos, falta à agência em realidade estrutura suficiente para realizar suas tarefas de monitoramento de preços reais dos medicamentos e mecanismos de fiscalização do CAP (ibid., p. 6.). Apesar destes desafios, vale sublinhar que um estudo comparativo sobre o preço de medicamentos entre Argentina, Brasil, Colômbia e México demonstra que de um ponto de vista formal o país tem tido sucesso no registro de preços aceitáveis (HEREDIA & RIBEIRO, 2017).

3.5. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS – CONITEC

Conceitualmente, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), criada pela Lei n. 12.401/2011, é um órgão pertencente ao Ministério da Saúde (MS) que desempenha função essencial na gestão de tecnologias em saúde no Brasil. Se, por um lado, à ANVISA compete adotar estratégias para disponibilizar os medicamentos no mercado, à CONITEC compete incorporá-los na rede pública. O §1º, do art. 3º, da Portaria GM/MS n. 2.510/2005, conceitua tecnologias em saúde como “medicamentos, equipamentos e procedimentos técnicos, os sistemas organizacionais, informacionais, educacionais e de suporte e os programas e protocolos assistenciais por meio dos quais a atenção e os cuidados com a saúde são prestados à população”. Apesar de ser lícito dizer que “a voga das ATS [avaliações de tecnologias em saúde] chega ao Brasil em 2002” (OLIVEIRA, MELAMED & MACHADO, 2011, p. 161), sua institucionalização ocorre em 2006, com a criação da Comissão de Incorporação de Tecnologias do MS (CITEC), após a edição da Portaria GM n. 152/2006, no âmbito da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE)¹⁸. Porém, este modelo de gerenciamento de tecnologias em saúde não durou muito tempo. Há dois fenômenos que impulsionam sua reforma: a crescente judicialização da assistência farmacêutica e o movimento da medicina baseada em evidências (MBE). Observaram Biehl & Petryna (2016, p. 179): “o modelo pautado por direitos e ações judiciais que serviu de base à reivindicação do acesso ao tratamento da AIDS foi adotado por outros grupos de pacientes, que agora também lutam na justiça pelo direito a medicamentos”. Neste sentido, o reconhecimento da necessidade de garantir este direito fundamental e a crescente intervenção do poder judiciário no setor de saúde fazem com que o MS busque meios mais formais de aprimorar o processo de decisão quanto à incorporação e ao uso das tecnologias em saúde, chegando a assumir em 2009 que:

Para os países em desenvolvimento, o aparecimento contínuo de inovações tecnológicas no hemisfério norte representa uma dupla sobrecarga. (...) a rápida difusão de informação técnico-científica que se observa atualmente e a ação de empresas multinacionais criam uma demanda local pela inovação por parte de profissionais de saúde, meios de comunicação e parcelas mais informadas da população, que pressiona ainda mais o sistema de saúde. (BRASIL, 2009, p. 9)

¹⁸ Para uma abordagem histórica abrangente, ver “Avaliação de tecnologias em saúde: ferramentas para a gestão do SUS”, da Série Normas e Manuais Técnicos do Ministério da Saúde (BRASIL, 2009).

Por sua vez, “o movimento da medicina baseada em evidências nasce do desejo de conferir maior objetividade à prática clínica, buscando prevenir que tratamentos e práticas ineficazes e/ou potencialmente danosos sejam perpetuados” (KRUER & STEINER, 2008, 197). No Brasil, este movimento se robustece com a judicialização da saúde, fundamentando iniciativas de elaboração de diretrizes clínicas e de uma prática clínica de viés positivista. Enquanto isso, a pressão pela incorporação de novas tecnologias no SUS aumenta exponencialmente, gerando simultaneamente uma sobrecarga de conflitos no judiciário. Com efeito, o Supremo Tribunal Federal (STF) convocou, em abril de 2009, audiência pública para buscar esclarecimentos com especialistas de diversos setores sobre a judicialização da saúde. Há quem entenda que a reforma da CITEC emanou daí: “o Supremo Tribunal Federal realizou, em 2009, uma Audiência Pública sobre saúde, que culminou com a aprovação da Lei n. 12.401, de 28 de abril de 2011” (CAPUCHO et al., 2012, p. 1217). Em todo caso, há clara referência a esta “dupla sobrecarga” que pressiona o sistema de saúde brasileiro no projeto de lei que surge no Senado Federal pouco após esta audiência. Ao chegar à Câmara dos Deputados, todos os votos em favor do Projeto de Lei n. 7.445/2010 se apoiam claramente na necessidade de racionalizar os gastos por força da escalada da judicialização de pedidos de medicamentos, tanto na Comissão de Constituição Justiça e de Cidadania, como na Comissão de Finanças e Tributação, e, principalmente, na Comissão de Seguridade Social e Família, onde recebe a relatoria do Deputado Darcísio Perondi, cujo voto decisivo se embasa explicitamente sobre a necessidade de reagir à audiência pública realizada pelo Supremo e às recomendações então recém publicadas pelo Conselho Nacional de Justiça (CNJ):

Chegou a tal ponto a urgência deste projeto que o Conselho Nacional de Justiça publicou a RECOMENDAÇÃO Nº 31, DE 30 DE MARÇO DE 2010, que “Recomenda aos Tribunais a adoção de medidas visando melhor subsidiar os magistrados e demais operadores do direito, para assegurar maior eficiência na solução das demandas judiciais envolvendo a assistência à saúde”. Na audiência pública número 4, realizada pelo Supremo Tribunal Federal o juiz Ingo Sarlet, do Fórum Regional do Partenon em Porto Alegre (RS), afirmou: “o problema da judicialização da Saúde está na falta de regulação, se houvessem normas que estipulassem as devidas atribuições aos entes federados e aos gestores públicos teríamos uma cobrança mais adequada e um processo administrativo mais rápido”. (...) Precisamos acabar [com] a epidemia de ações judiciais do setor de saúde, mas acabar com responsabilidade sem diminuir o acesso à novas tecnologias ou medicamentos. É isto que este projeto faz. (BRASIL, 2010)

Nesta junta, adveio a Lei n. 12.401/2011, que criou a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), cuja competência, composição e funcionamento foram estabelecidos pelo Decreto n. 7.646/2011, e pelo art. 53, do Decreto n. 8.065/2013. Sendo o setor público um grande comprador de medicamentos, a CONITEC desempenha papel importante na política de regulação de medicamentos (AITH et al., 2014, p. 475), mas sua principal função é assessorar o MS na incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo SUS. Sua organização compõem-se de um Plenário e uma Secretaria-Executiva, cabendo àquela a realização da função principal de aconselhar o Ministro da Saúde na incorporação de tecnologias e constituição ou alteração de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT).

Vale lembrar que no SUS, as linhas essenciais de cuidado em saúde são traçadas, de um modo geral, por extensos protocolos e listas que trazem a previsão dos tratamentos a serem disponibilizados, conforme as peculiaridades da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), que abrange todos os medicamentos distribuídos pela rede pública que compõem os programas de assistência farmacêutica em nível nacional. Esta relação deve ser complementada em âmbito estadual e municipal para atender às necessidades locais não contempladas na lista nacional. Com efeito, a política de assistência farmacêutica vigente no Brasil impõe ao Estado o dever de fornecer à população os medicamentos constantes das listas oficiais da assistência farmacêutica. Estas listas oficiais desempenham papel estratégico na política nacional de regulação de medicamentos, como lecionam Aith e colaboradores:

A adoção de uma relação nacional de drogas e medicamentos essenciais é extremamente relevante na ampliação do acesso a medicamentos pela população. E a consequência esperada é que tal ampliação provocada pela RENAME exerça um efeito indutor sobre as indústrias farmacêuticas, uma vez que o Brasil é um dos maiores compradores do mercado. (ibid., p. 484)

Para ser incorporado à política de assistência farmacêutica, qualquer medicamento deve passar pelo filtro da CONITEC, que veio substituir e ampliar as competências da CITEC, o que marca o advento de um novo modelo de gestão de tecnologias em saúde para o país. Ademais, o inciso II, art. 19-T, da Lei n. 8.080/1990, vedou “a dispensação, o pagamento, o ressarcimento ou o reembolso de medicamento e produto, nacional ou importado, sem registro na Anvisa”. Assim sendo, a CONITEC somente pode avaliar a incorporação de produtos que estejam registrados na ANVISA, medida que criará efeitos adversos como veremos em detalhes na próxima seção. Por

ora, basta ter claro que, a princípio, o SUS apenas pode dispensar aos usuários os medicamentos previamente incorporados em suas listas ou protocolos clínicos de diretrizes terapêuticas e que, em nenhuma hipótese, pode ser financiado medicamento cuja “eficácia e segurança” não estejam assegurados por registro no órgão regulador. É certo, todavia, que a exigência de registro sanitário vem sendo frequentemente afastada, não só, mas, sobretudo, em demandas judiciais a respeito de pedidos de fornecimento de medicamentos para as doenças raras. A questão inclusive está em discussão no Supremo, ainda sem decisão definitiva (RE 566471; RE 657718). Neste sentido, há jurisprudência do STF que entende que novos tratamentos, sem registro sanitário, podem ser entregues pelo Poder Público, desde que haja comprovação da necessidade no caso concreto, que seja corroborada pela comunidade científica (LIMA, 2015, p. 97). Este foi o entendimento exarado em voto paradigmático do Min. Gilmar Mendes, em caso que cuidou de uma das 414 liminares determinando a aquisição do Soliris®, para um paciente com síndrome hemolítico urémico atípica, que importaria grande sacrifício orçamentário de R\$594.000,00 ao Estado do Acre que, por sua vez, alegava que a decisão alteraria “a composição de seu orçamento, em detrimento de outras aplicações também essenciais e prioritárias, ignoradas pela decisão judicial”, decidindo a corte que:

Em que pese ainda não tenha sido registrado na ANVISA, é fato incontroverso nos autos que o fármaco Eculizumab (...) foi aprovado pelos órgãos sanitários americano e europeu, perante os quais passou por rigorosas baterias de testes. Em razão deste parâmetro de aferição, diversos tribunais no país têm deferido tutelas em face do Poder Público determinando a dispensação do Eculizumab. (...) Outro argumento que sobreleva nesta distinção é a inexistência de alternativa terapêutica. Consta da exordial apresentada da origem, dos laudos apresentados e da decisão vergastada que o medicamento Eculizumab é a única substância indicada ao tratamento da rara Síndrome Hemolítico Urémico Atípica (SHUa), de modo que, sem a sua dispensação, invariavelmente a agravada sofrerá falência total de ambos os rins e muito possivelmente virá a óbito. (...) Desta forma, é possível discernir, ao menos nesta fase inicial do processo, que a inexistência de registro do medicamento na ANVISA não representa óbice ao fornecimento do medicamento Eculizumab. (STF, Ag. Reg. na Suspensão de Liminar 1.053. DJE nº 222, divulgado em 28/09/2017. Rel. Min. Carmem Lúcia)

Na Parte III voltaremos nossa atenção, especialmente, ao caso do Eculizumab. Por ora, basta ter presente que é comum que magistrados determinem a entrega de remédios inexistentes no país, que devem ser importados, sem que seu preço seja registrado pelo correspondente órgão regulador. Presumivelmente, os fabricantes de drogas órfãs entendem isto como um “cheque em branco” para cobrar o preço que bem entendem por seu produto. Conforme os achados de uma pesquisa recente, o fato de

uma droga custar pela via judicial quase três vezes o valor da adquirida via procedimento administrativo não é um dado insignificante (VENTURA, 2016, p. 208). Com efeito, seria lícito inferir que haja alguma influência da integração transnacional de mercados farmacêuticos sobre o fenômeno observado no sistema de justiça brasileiro, em que Municípios, Estados e a Federação vêm sendo diuturnamente acionados para fornecer, aos pacientes acometidos por doenças diversas, medicamentos não incorporados ao SUS, entre eles os ditos “órfãos”, que geralmente são fabricados por um único laboratório farmacêutico que, quando agraciado com o registro na ANVISA, pode comercializá-lo, no território nacional, com exclusividade. Tratam-se de drogas produzidas por um único fabricante, destinadas a um único comprador: o Estado¹⁹.

3.5.1. Procedimento para a incorporação de medicamentos através das Avaliações de Tecnologias em Saúde

Como já apresentado, a CONITEC é estruturada por um Plenário, cujos membros titulares e suplentes são designados pelo Ministro da Saúde, e por uma Secretaria-Executiva, a quem compete, entre outras coisas, realizar análise prévia dos requerimentos administrativos apresentados à CONITEC, por meio de avaliação da conformidade formal da documentação e das amostras apresentadas, assim como submeter, a pedido do Plenário da CONITEC, as matérias a consulta pública e sistematizar informações para subsidiar as atividades dos membros do Plenário. Vale dizer, é nesta Secretaria onde é protocolado o requerimento de instauração do processo administrativo para a incorporação e a alteração pelo SUS de tecnologias em saúde e a constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas. Em síntese:

Tal processo de incorporação é regido pelos artigos 15 a 28 do Decreto no 7.646/2011 e se inicia com análise prévia dos requisitos pela Secretaria-Executiva, que, se de acordo, envia para análise do Plenário. O Plenário produz um relatório enviado pela Secretaria-Executiva ao Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde para decisão e deve ser submetido à consulta pública por 20 dias. O Secretário pode, ainda, solicitar a realização de audiência pública antes de tomar sua decisão. Esse processo deve ser concluído em até 180 dias, prorrogável por mais 90 dias. Da decisão final da Secretaria, cabe recurso no prazo de dez dias. (AITH et al., 2014, p. 475)

¹⁹ Como veremos adiante, ao se tratar de um bem que só pode ser obtido por meio de um único fornecedor, adquirido por governos nacionais ou compradores coletivos, devido ao seu altíssimo custo, seguindo o modelo analítico da “economia da corrupção” de Rose-Ackerman (1975), os medicamentos órfãos poderiam incentivar chantagens, para não dizer, o suborno de compradores públicos.

Ademais, para o cumprimento de suas competências, a CONITEC pode solicitar à SCTIE a celebração de acordos de cooperação técnica com entidades públicas e privadas e hospitais de ensino para a realização de estudos de avaliação de tecnologias em saúde, e solicitar informações à ANVISA relativas ao registro, indicações, características, monitoramento de mercado e vigilância pós-comercialização de tecnologias em saúde, além de outras informações necessárias.

Sob a perspectiva do ainda emergente campo de estudos de Ciência Tecnologia e Sociedade (CTS) no Brasil, Cláudio Cordovil Oliveira e colaboradores (2011, p.177) observaram que “pouco se sabe como dados sobre efetividade clínica e custo-efetividade são interpretados para fins de formulação das políticas nacionais de dispensação de medicamentos de alto custo”. Neste sentido, os autores revelam que: “a melhor maneira de despolitizar uma questão de saúde pública é torna-la ‘científica’ ” (OLIVEIRA et al., 2011, p.177). Neste diapasão, apontam alguns caminhos para uma agenda de pesquisas a partir da sociologia do conhecimento e, ao cabo, recomendam:

que sejam incluídos na concepção de governança do SUS mecanismos institucionais inovadores, visando *accountability* e engajamento público com a Política Nacional de Gestão de Tecnologias em Saúde e com o Componente Especializado de Assistência Farmacêutica. Necessária se faz a construção de parcerias regulatórias envolvendo estes atores sociais, sob pena de não se contemplarem as necessidades de assistência farmacêutica dos portadores de doenças raras. (OLIVEIRA, MELAMED & MACHADO, 2011, p.182)

Este cenário conduziu à aprovação da Lei n. 12.401, em abril de 2011, estabelecendo a CONITEC com a função de assessorar o MS nas decisões relativas à incorporação, exclusão ou alteração de novos medicamentos, conferindo maior transparência (leia-se: publicidade) a estes processos. Contudo, este é um âmbito institucional pouco estudado e raros são os trabalhos científicos sobre referida Comissão. Merece destaque a pesquisa realizada por Tania Yuba, Hillegonda Novaes e Patrícia Soárez (2018), que analisa os relatórios de recomendação da CONITEC com o objetivo de avaliar o tipo de informação científica empregada pela Comissão e sua conformidade com os procedimentos definidos em seu regime jurídico²⁰. Os relatórios de recomendação da CONITEC, emitidos entre julho de 2012 e dezembro de 2016,

²⁰ Conforme o §2º, art. 19-Q, da Lei n. 8.080/1990: O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS levará em consideração, necessariamente: I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso; II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível.

foram classificados de acordo com o tipo de tecnologia; o setor que demandou a incorporação – se interno (agentes públicos), externo (indústria farmacêutica, sociedade civil, empresas de equipamentos e indústria alimentícia) ou misto (MS e indústria farmacêutica ou sociedade civil) –; o tipo de Avaliação de Tecnologia em Saúde empregada; avaliações econômicas; cálculos de Razão de Custo-Efetividade Incremental ou comparações de custo-efetividade. Ademais, as autoras classificaram as evidências apresentadas nos relatórios da CONITEC como “Avaliação de Tecnologia em Saúde integral”; “mini-Avaliação de Tecnologia”; “revisões rápidas” e “Outros”.

Em um universo de 199 relatórios de recomendação, 117 se originaram de demandas internas e, dentre estes, em 83 (79,9%) relatórios foi recomendada a incorporação. Dentre estas 83 recomendações de incorporação que se originaram em demandas internas, 62 (74,7%) foram classificadas como “Outros”. Em contraste, nos relatórios oriundos de demandas externas, apenas 13 (17,3%) em um total de 75 foram recomendados. Dentre estes relatórios de origem externa, em que não foi recomendada a incorporação, 55 (88,7%) foram classificados como “Avaliação de Tecnologia em Saúde integral” e incluíram avaliações econômicas completas (YUBA et al., 2018, p. 6). Dentre os 101 relatórios em que a incorporação foi recomendada, apenas 20 (19,8%) incluíam uma avaliação econômica integral e 13 (12,9%) incluíam avaliações econômicas integrais e cálculos de RCEI. Com isso, 88 (87,1%) relatórios recomendavam incorporação sem uma avaliação econômica completa. Enquanto, dos 81 relatórios em que a nova tecnologia não era recomendada, 58 (71,6%) incluíam uma avaliação econômica completa e 45 (55,6%) incluíam uma avaliação econômica integral e cálculos de RCEI. Em suma, “a despeito da ênfase que os regulamentos internos da CONITEC dão à avaliação econômica como evidência relevante, Avaliações de Tecnologia em Saúde integrais só foram observadas em 33,2% dos relatórios” (id.).

Outro estudo importante sobre esta Comissão é aquele da autoria de Rosângela Caetano e colaboradores, que investigou o processo de recomendação e o perfil das incorporações de novos medicamentos pela CONITEC, no período de 1º de janeiro de 2012, ano de início de seu funcionamento, a 30 de junho de 2016, revelando dados interessantes que podem também incidir sobre o problema da incorporação de medicamentos órfãos no SUS. As autoras verificaram, ainda, o número de consultas públicas e o total de contribuições recebidas, revelando que “cerca de um terço dos processos de medicamentos com deliberação em plenário ocorreu na forma simplificada e sem submissão à consulta pública, todos oriundos do próprio MS” (CAETANO et al.,

2016, p. 2516). Conforme as autoras, este dado ensejaria dúvidas sobre a dimensão do *accountability* entregue por esta Comissão:

Até que ponto interfere nas decisões o fato da Comissão responsável pela avaliação da incorporação de novos medicamentos pertencer à estrutura do próprio Ministério que financia o que é incluído, é aspecto que merece ser mais aprofundado em estudos ulteriores, dado que a literatura internacional discute que a estrutura organizacional ‘ideal’ para os órgãos encarregados da ATS, a nível nacional, seriam programas hierarquicamente independentes, mesmo que financiados por fundos públicos.(CAETANO et al., 2016, p. 2521)

Outro achado de destaque revela que seis medicamentos sem registro sanitário foram incorporados no período estudado, todos decorrentes de demandas internas do MS. Nos processos de recomendação destas drogas sem registro na ANVISA, apenas duas destas recomendações foram submetidas à consulta pública:

No período, houve recomendação de incorporação de seis medicamentos sem registro ativo na Anvisa (3% das deliberações em plenário) (Tabela 3). Todas as demandas originaram-se em secretarias do MS (duas da SVS, três da SAS e uma demanda conjunta SAS e SCTIE) e quatro ocorreram por processo simplificado, sem consulta pública. (CAETANO et al., 2016, p. 2516)

Como visto, o critério para inclusão de medicamentos à assistência farmacêutica adotado pela CONITEC, sobretudo quando esta tem por objeto de análise demandas externas, põe ênfase nas Avaliações de Tecnologias em Saúde (ATS) “integrais”, incluindo ainda avaliações econômicas e cálculos de RCEI. Enquanto, na maior parte das recomendações originadas internamente, a Comissão tem decidido com base em meras “revisões rápidas” (YUBA et al., 2018), através de relatórios bem simplificados, muitas vezes apresentando meras descrições da tecnologia e estimativas bastante simples dos impactos orçamentários (CAETANO et al., 2016, p. 2521). Vale dizer, entenda-se por ATS um campo interdisciplinar da análise de políticas sanitárias (INAHTA, 2018) e também um método de síntese de conhecimento científico (OLIVEIRA, MELAMED & MACHADO, 2011, p.158). De se referir que existem diversas definições de ATS²¹. Goodman apresenta algumas delas como:

²¹ Que possuem relação íntima com a MBE, como lecionam Cláudio Cordovil e colaboradores: Instrumento frequentemente empregado pelas ATS é a Medicina Baseada em Evidências (MBE). Caracteriza-se por uma abordagem que lança mão das ferramentas da epidemiologia clínica, da estatística, da metodologia científica e da informática para elaborar a pesquisa, o conhecimento e a atuação em saúde. (...) De caráter multidisciplinar, com base na epidemiologia clínica e bioestatística, a ATS busca dados clínicos através da MBE, sintetiza a informação por meio de revisões sistemáticas da literatura e os estuda através de modelos analíticos de decisão que lançam mão de métodos estatísticos e econômicos. (OLIVEIRA, MELAMED & MACHADO, 2011, p.158)

ATS é um campo de pesquisa científica que orienta decisões políticas e clínicas sobre a introdução e difusão da tecnologia em saúde. ATS é um campo multidisciplinar que aborda o impacto da tecnologia para a saúde, considerando seus contextos sanitários específicos bem como as alternativas disponíveis. Fatores contextuais abordados pela ATS incluem impactos econômicos, organizacionais, sociais e éticos. O escopo e os métodos de ATS devem ser adaptados para responder a necessidades políticas de cada sistema de saúde em particular. (...) ATS é um processo multidisciplinar que resume informações sobre as questões clínicas, sociais, econômicas e éticas relacionadas ao uso da tecnologia em saúde de uma maneira sistemática, transparente, imparcial e robusta. Seu objetivo é informar a formulação de políticas de saúde seguras e efetivas, enfocadas no paciente e que busquem atingir o melhor valor. (GOODMAN, 2014, p. I-4)

Sem embargo, o farmacoeconomista Michael Drummond revela que “se procedimentos-padrão em ATS forem aplicados a drogas órfãs, praticamente nenhuma delas será custo-efetiva” (DRUMMOND et al., 2007, p. 38). Neste sentido, é achado geralmente reconhecido no debate científico internacional que os medicamentos destinados especificamente ao tratamento das doenças raras (denominados “medicamentos órfãos”) inviabilizam o emprego de metodologias convencionais de ATS. Como coloca Vianna Araujo (2014, p. 28): “os métodos padrão de ATS podem não capturar inteiramente o valor social de algumas tecnologias de saúde e existem atualmente sérias deficiências na avaliação dos medicamentos órfãos”. Nesta perspectiva, especialistas alertam que as ATS precisam ser redimensionadas quando se fala em doenças raras, pois seu instrumental analítico foi originalmente desenhado para lidar com grandes números, como aqueles das doenças prevalentes, e, se tiverem de ser aplicados aos medicamentos órfãos, virtualmente nenhum deles seria “custo-efetivo” (ARAÚJO, 2014, p. 26; OLIVEIRA, MELAMED & MACHADO, 2011, p.165; VEGTER et al., 2010; PICAVER et al., 2012; KRUEER & STEINER, 2008). Finalmente, como anotam de forma certa Cláudio Cordovil Oliveira e colaboradores:

A “pouca evidência científica” é fato corriqueiro quando se trata de doenças raras, o que aconselharia abordagens especiais em ATS para este grupo de doenças, sob pena de ferir o direito constitucional à equidade nas políticas de saúde destinadas a esta clientela. (OLIVEIRA, MELAMED & MACHADO, 2011, p.166)

Resta saber se o critério para avaliação de medicamentos órfãos adotado pela CONITEC põe ênfase em ATS “integrais”, incluindo avaliações econômicas amplas e cálculos de RCEI. O artigo publicado por Rafael Santana, Evandro Lupatini e Silvana Leite, na Revista Ciência & Saúde Coletiva (2017), visando aferir a capacidade da CONITEC incluir medicamentos e outras tecnologias para doenças relacionadas à

pobreza²², torna os dados ainda mais preocupantes. Ainda que não se trate especificamente das doenças raras, é possível observar um parentesco de problemáticas que envolvem os desafios da área de regulação e incorporação de tecnologias em saúde: “infere-se que o Brasil deve avançar no marco regulatório para condições que não são atrativas ao mercado farmacêutico, sejam elas doenças relacionadas à pobreza, doenças raras ou mesmo condições específicas da população pediátrica” (SANTANA, LUPATINI & LEITE, 2017, p. 1420). Com relação às atualizações na RENAME, de fato, “poucos itens são realmente novos na lista, sendo a maioria caracterizada pela ampliação de uso dos medicamentos já utilizados em outras doenças ou pequenas modificações nos esquemas de tratamentos estabelecidos nos documentos oficiais” (ibid., p. 1424). Com efeito, o trabalho da CONITEC acaba deixando de lado as “doenças que atingem pessoas com menor poder de mobilização social e, conseqüentemente, não conseguem pressionar o sistema de saúde” (ibid., p. 1425). Finalmente, dentre as conclusões dos autores, destaque-se que:

Os critérios de apresentação de evidências comuns às demais tecnologias e exigidos pela Conitec podem prejudicar o envio de demandas para doenças da pobreza, uma vez que não conta com o mesmo investimento científico e há muitas lacunas de qualidade das provas científicas quando se compara com tecnologias inovadoras de alto custo, uma vez que o foco de produção da evidência científica mundial está centrada nas pesquisas de doenças crônicas como câncer, com pouca participação dos países em desenvolvimento e suas doenças típicas no cenário global.

Apesar do esforço da Conitec (...), não há formalmente nenhum fluxo ou regra diferenciada para a análise de produtos com pouco interesse do mercado, o que, na prática, não fomenta a submissão desse tipo de demanda, principalmente por laboratórios farmacêuticos.

A exigência prévia de registro na Anvisa pode ser um dos principais entraves para a submissão de propostas por laboratórios farmacêuticos, pois, como verificado anteriormente, além das barreiras regulatórias desses medicamentos no país, é pouco estratégico para a empresa iniciar um pedido de registro sem ter certeza que será absorvido em determinados programas nacionais de saúde (...).(SANTANA, LUPATINI & LEITE, 2017, p. 1425)

Na seção anterior levantamos a hipótese de que a CONITEC, em realidade, seja uma resposta política ao fenômeno da judicialização. Tendo em vista a revisão da literatura, cuidaremos agora de colocá-la à prova.

²² Como definem os autores: Alvo de inúmeros trabalhos que alertam sobre a falta de investimentos na área de pesquisa de medicamentos, as chamadas doenças negligenciadas, ou doenças tropicais, são reflexos das iniquidades em saúde e, no sentido de ampliar a identificação de sua característica de vulnerabilidade, têm sido denominadas atualmente como “doenças relacionadas à pobreza” ou simplesmente “doenças da pobreza”. (SANTANA, LUPATINI & LEITE, 2017, p. 1418)

3.5.2. Por que a indústria não compareceu à Consulta Pública sobre a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas para doenças raras no SUS?

Em outubro de 2014, a CONITEC realizou a sua Consulta Pública n. 20, denominada “Proposta de Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras” (Portaria SCTIE-MS n. 19/2015), que recebeu 834 contribuições. Destas contribuições, 91% foram oriundas de pacientes, familiares, amigos ou associações de pacientes, enquanto nenhuma se originou de indústrias ou fabricantes de tecnologias, ensejando dúvidas acerca do interesse destas empresas quanto ao modelo de litígios em saúde no Brasil. Os estudos descritos na seção anterior convergem ao demonstrar que na CONITEC há presença expressiva de indústrias farmacêuticas, observada em pouco mais de 40% dos relatórios emitidos (SANTANA, LUPATINI & LEITE, 2017, p. 1423; CAETANO et al., 2016, p. 2516). Mas, se a indústria é uma “demandante habitual” na CONITEC, por que não compareceu à Consulta Pública sobre a priorização das doenças raras pela Comissão?

Vimos que, como requisito para que a CONITEC avalie a incorporação de tecnologias para doenças raras no SUS, por força do Art. 19-T, da Lei 8.080/1990, é imperativo que seja considerado o registro do medicamento na ANVISA. Destarte, há situações em que um medicamento apresenta evidências robustas de eficácia e segurança, porém o medicamento não tem registro no país, ou esta indicação não consta da bula do produto registrado. O fabricante internacional de drogas não tem a obrigação legal de registrar seu produto em nenhum país por força da livre-iniciativa. Por outro lado, vimos que, nos países em desenvolvimento, o aparecimento contínuo de inovações tecnológicas no hemisfério norte, somado à rápida difusão de informação técnico-científica que se observa atualmente e a ação de empresas multinacionais, gera uma demanda local pela inovação por parte de profissionais de saúde, meios de comunicação e parcelas melhor informadas da população, pressionando ainda mais pela incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde. A CONITEC está ciente disso. Em um Informe Técnico publicado na Revista de Saúde Pública (2012), a respeito da necessidade de se rever a utilização do termo *off label* e desmistificar seu uso, a Comissão registrou que:

Certos protocolos para tratamento de doenças raras dependem de importação de medicamentos que não têm registro no País. Ou aceitamos essa limitação ou deixaremos sem tratamento portadores da Doença de Wilson, por exemplo, pois não há opção terapêutica com registro no Brasil.

Solicitar a autorização de registro de um medicamento é prerrogativa da empresa produtora. Uma empresa pode desistir de fazê-lo por razões comerciais que vão desde a falta de interesse nesse mercado até acordos entre as empresas compartilhando os nichos de mercado e reduzindo assim a concorrência.

Sob essa ótica, há que se rever a utilização do termo e desmistificar o uso *off label*, que é muito mais comum do que se imagina ou se registra: o termo deveria ser aplicado apenas para o uso irrestrito e inseguro, quando não há evidências científicas. Quando a ausência de registro se deve a razões de mercado, a incorporação ou prescrição poderá ser feita, desde que cientificamente embasada. (SCITIE, 2012, p. 399)

Talvez a inclusão tardia das tecnologias órfãs na arquitetura regulatória nacional, após a edição da RDC n. 205/2017, tenha tido maiores implicações sobre o modelo de negócio destas empresas no Brasil, visto que os países periféricos e semiperiféricos tendem a ficar cada vez mais limitados a cumprir determinações do capital financeiro e industrial transnacional, determinações essas, por sua vez, estabelecidas pelas organizações internacionais controladas pelos Estados centrais (SANTOS, 2001, p. 155). Como veremos na seção 5.3.2., de acordo com Elgin et al. (BLOOMBERG, 2019), a Alexion Pharmaceuticals Inc. financiava uma organização de pacientes para ações de *advocacy* no Brasil, estimulando o intercâmbio de informações, coleta de dados sobre pacientes e, assim, a judicialização de pedidos pelo seu produto: garantia de um negócio altamente rentável. Em resultado, a aquisição do Soliris® por meio de ações judiciais representou o maior gasto do orçamento da União destinado ao atendimento de demandas judiciais, em 2016, totalizando cerca de R\$ 624,6 milhões. Daí convém a pergunta: por que registrar um produto se ele garante receitas deste vulto? Afinal, estariam os fabricantes de drogas órfãs impondo prejuízos à União por força de não pedir o registro destes fármacos, ao prever sua não incorporação pela CONITEC?

Para compreender esta questão, foi realizado um levantamento a partir de informações constantes da ANVISA e do MS, obtidas por meio da Lei de Acesso à Informação (Lei n. 12.527/2011). No universo das 15 drogas órfãs que mais demandaram gastos por força da judicialização no recorte temporal entre 2012-2017, buscamos aferir quais destas possuíam registro na ANVISA quando do início de seu consumo no país, a fim de saber se isto poderia contribuir para que o pedido de sua incorporação não tenha sido levado à CONITEC. Ao cabo, observou-se que dos 15 medicamentos para doenças raras mais judicializados desde a criação da CONITEC, de 2012 até o final de 2017, apenas 4 foram avaliados pela Comissão e incorporados (Tabela 3). Destes 4 medicamentos cuja incorporação foi recomendada, 2 pedidos foram oriundos de demandas internas e outros 2 se originaram da indústria farmacêutica. Estes

2 medicamentos cuja incorporação foi demandada pela indústria, inicialmente, foram recomendados a não serem incorporados por não apresentar relação de custo-efetividade. Contudo, após apreciação das contribuições encaminhadas por suas respectivas consultas públicas, verificou-se a necessidade de inclusão de estudos a posteriori sobre estas substâncias, considerando que as evidências científicas em relação às doenças raras devem ser analisadas de modo diferente quando comparadas às doenças de alta prevalência. Frente a esta discussão, o plenário da CONITEC entendeu que houve argumentação suficiente para alterar sua recomendação inicial. Neste sentido, a decisão de incorporar tanto o Eculizumabe como o Galsufase no âmbito do SUS foram feitas mediante as condicionantes de atendimento e tratamento restritos a hospitais que integrem a Rede Nacional de Pesquisa Clínica, registro dos dados clínicos e farmacêuticos em sistema nacional informático do SUS, uso “ad experimentum” (reavaliação em 3 anos) e negociação para redução significativa de preço.

Dentre os achados, há 5 medicamentos ainda não registrados no Brasil. Com exceção dos medicamentos Idursulfase e Laronidase, os demais produtos foram registrados na ANVISA somente após o estabelecimento de seu consumo regular. A exigência prévia de registro no órgão regulador pode ser um dos principais entraves para a submissão de propostas por laboratórios farmacêuticos, pois, como verificado no caso das doenças tropicais (SANTANA, LUPATINI & LEITE, 2017, p. 1425), é pouco estratégico para a empresa iniciar um pedido de registro sem ter certeza que será absorvido pelos programas de assistência farmacêutica. Vale lembrar, tratam-se de drogas produzidas por um único fabricante, destinadas a um único comprador: o Estado.

O pedido tardio de registro de medicamentos órfãos no Brasil pode estar relacionado não apenas às estratégias anteriormente adotadas pela ANVISA, mas aos métodos e tendências do processo de ATS empregados pela CONITEC, que está centrado na “disponibilidade de dados robustos” ou “estatisticamente significativos”, com pouca abertura para a análise destas tecnologias através de abordagens especiais em ATS. Por outro lado, desde a criação da PNAIDR, em 2014, o SUS incorporou uma série de exames de diagnóstico e medicamentos para doenças raras, devendo ser observada em estudos futuros uma possível mudança de tendência em casos mais recentes embasados em esquemas de compartilhamento de risco, que devem ser pensados no contexto dos programas para o uso de medicamentos em fase experimental.

Tabela 3. Registro, Incorporação e Gasto Público em relação aos medicamentos órfãos mais demandados no

Indicação	Nome do Medicamento	Data do registro ANVISA	Data de incorporação CONITEC	Gastos da União Federal com demandas judiciais por ano						
				2012	2013	2014	2015	2016	2017	
Hemoglobinúria Paroxística Noturna e Síndrome Hemolítica Urêmica Aguda	Eculizumabe (10 mg/mL)	13/03/2017	14/12/2018	R\$ 28.783.175,75	R\$ 125.450.131,70	R\$ 213.729.849,10	R\$ 376.945.665,70	R\$ 624.621.563,43	R\$ 226.511.505,63	
Mucopolissacaridose Tipo VI	Galsulfase (1 mg/mL)	02/02/2009	20/12/2018	R\$ 86.146.883,41	R\$ 82.144.285,58	R\$ 167.647.190,90	N/A	R\$ 127.092.026,10	R\$ 113.002.110,48	
Distrofia Muscular de Duchenne	Ataluren (125mg/mL)	S/R	S/R	N/A	N/A	N/A	R\$ 26.855.160,58	R\$ 65.174.293,80	R\$ 83.683.509,92	
Doença de Fabry	Alfagalsidase (1 mg/mL)	20/07/2009	S/R	R\$ 45.775.726,37	R\$ 52.618.804,40	R\$ 64.488.737,58	N/A	R\$ 70.480.535,48	R\$ 58.604.718,81	
Mucopolissacaridose Tipo IV A	Elosulfase Alfa (1 mg/mL)	08/12/2014	S/R	N/A	N/A	R\$ 30.018.512,54	N/A	R\$ 93.597.472,29	R\$ 57.734.258,46	
Mucopolissacaridose Tipo II (Síndrome de Hunter)	Idursulfase (2 mg/mL)	19/05/2008	20/12/2017	R\$ 76.313.108,81	R\$ 77.567.847,50	R\$ 72.487.013,14	N/A	R\$ 72.676.821,24	R\$ 55.577.117,55	
Doença de Fabry	Betagalactidase (35 mg)	30/04/2018	S/R	R\$ 19.705.726,86	R\$ 33.225.799,67	R\$ 41.747.321,72	N/A	R\$ 32.851.015,39	R\$ 49.448.569,66	
Doença de Pompe	Alfa-glicosidase (50 mg)	30/04/2018	S/R	N/A	N/A	R\$ 9.741.553,10	N/A	R\$ 18.856.089,47	R\$ 29.966.089,04	
Hipercolesterolemia Familiar Homozigótica	Metreleptina (11,3 mg)	S/R	S/R	N/A	N/A	N/A	N/A	R\$ 27.918.719,66	R\$ 25.147.485,85	
Hipercolesterolemia Familiar Homozigótica	Lomitapida (5 mg/10 mg/20 mg)	S/R	S/R	N/A	R\$ 10.386.638,77	R\$ 25.405.347,93	R\$ 51.847.951,31	R\$ 27.398.997,40	R\$ 24.501.799,53	
Mucopolissacaridose Tipo I	Laronidase (0,58 mg/mL)	30/04/2018	04/09/2017	R\$ 7.975.102,71	R\$ 11.693.744,84	R\$ 13.791.346,98	N/A	R\$ 7.799.268,71	R\$ 16.119.184,10	
Deficiência de Lipase Ácida Lissossomal	Sebelipase Alfa (2 mg/mL)	16/10/2017	S/R	N/A	N/A	N/A	N/A	R\$ 850.510,31	R\$ 4.448.504,27	
Angioedema Hereditário	Inibidor de esterase C1 Humana (500 UI)	13/01/2014	S/R	N/A	R\$1.605.009,04	R\$ 9.390.384,70	R\$ 15.010.270,51	R\$ 19.985.240,90	R\$ 4.434.771,05	
Hipercolesterolemia Familiar Homozigótica	Mipomersen, sódico (200 mg/mL)	S/R	S/R	N/A	N/A	R\$ 927.007,94	R\$ 4.194.164,03	R\$ 12.397.822,87	R\$ 3.606.046,79	
Mucopolissacaridose Tipo II (Síndrome de Hunter)	Idursulfase Beta (2 mg/mL)	S/R	S/R	N/A	N/A	N/A	N/A	R\$ 2.058.457,04	R\$ 2.686.123,67	

S/R = Sem registro sanitário ou sem registro de pedido de incorporação. N/A = Não houve registro de compra para o ano de referência

Fonte: Elaborado com base nas informações fornecidas pela Gerência Geral de Medicamentos e Produtos Biológicos (GGMED), através dos pedidos de informação n. 25820000758201933 e n. 25820001087201928.

3.6. O uso de medicamentos em fase de estudos no Brasil

Em 2013, o Brasil adotou alguns esquemas de acesso inspirados em leis de “uso compassivo”, em que um medicamento que ainda carece de registro sanitário pode ser colocado à disposição dos pacientes que não possuem alternativa terapêutica, e, mais recentemente, celebrou acordo de “risco compartilhado”, no qual o comprador compartilha, através de algum tipo de contrato, os resultados (positivos, nulos ou negativos) dos tratamentos recebidos pelos provedores.

De acordo com a RDC n. 38/2013, há três tipos de acesso a medicamentos em fase experimental: o uso estendido, o uso compassivo e o programa de fornecimento pós-estudo. O chamado uso “estendido”, que é muito similar ao ATU de coorte francês, implica na disponibilização de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na ANVISA ou não disponível comercialmente no país, a um grupo de pacientes portadores de doenças debilitantes graves e/ou que ameacem a vida, que não pôde ser incluído em um ensaio clínico, que já se encontre no mínimo em Fase III. Por sua vez, o “uso compassivo”, que guarda similaridades com a ATU nominal francesa, outorga o uso de medicamento novo promissor a um único paciente, portador de doença debilitante grave e/ou que ameace a vida e sem alternativa terapêutica satisfatória com produtos registrados no país, e que não participe de programa de acesso expandido ou de pesquisa clínica, desde que o produto apresente dados de eficácia/segurança que permitam presumir uma relação de benefício/risco favorável. Neste esquema de acesso, o uso é pessoal e intransferível. Ao contrário destas duas modalidades de acesso, o fornecimento pós-estudo destina-se aos sujeitos que participam de uma pesquisa clínica.

Conforme o art. 15, da RDC n. 38/2013, a avaliação da relação risco benefício do uso do medicamento em fase de estudos para um paciente específico fica sob responsabilidade de um profissional médico pertencente ao programa de acesso ou que participe do próprio ensaio clínico. Vale ainda observar que:

A Lei no 6.360/76 estipula duração de até três anos de uso de medicamento experimental sem registro. O período de uso, em qualquer das modalidades acima descritas, deve ser aprovado pela Anvisa, baseando-se na recomendação dada pelo médico responsável pela avaliação do programa ou pela pesquisa clínica. Anualmente o patrocinador deverá informar à Anvisa o andamento dos programas, bem como informar eventual interrupção do tratamento antes do prazo previsto e aprovado pela Anvisa. (AITH et al., 2014, p. 475)

Diferentemente da Lei francesa n.º 92-1279/1992, que modificou a lista de drogas reembolsáveis pelo governo francês para permitir o acesso dos pacientes com doenças raras aos medicamentos ainda em fase de desenvolvimento clínico, o art. 18 da RDC n. 38/2013 atribuiu ao patrocinador o dever de fornecer de forma gratuita ao paciente o medicamento objeto dos programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Não poderia ser diferente, pois, conforme disposto no art. 12 da Lei n. 6.360/1976, “nenhum dos produtos de que trata esta Lei, inclusive os importados, poderá ser industrializado, exposto à venda ou entregue ao consumo antes de registrado”. E, no mesmo sentido, o art. 19-T, da Lei n. 8.080/1990 veda, em todas as esferas de gestão do SUS: “o pagamento, o ressarcimento ou o reembolso de medicamento, produto e procedimento clínico ou cirúrgico experimental, ou de uso não autorizado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA”. Este conflito normativo acaba inviabilizando os esquemas de acesso expandido e uso compassivo por parte dos pacientes raros, que ficam a depender inteiramente da ação graciosa da indústria farmacêutica. Na ausência de outras formas de assistência medicamentosa, estes pacientes acabam forçados a ter que se pôr à disposição de experimentos como sujeitos de pesquisa. A partir do ponto de vista dos laboratórios norte-americanos, Adriana Petryna destaca que:

Pesquisadores estão também olhando para longe do país, para os contextos mais pobres onde as pessoas que enfrentam carências de tratamentos e crises dos serviços de saúde aceitam dizer “sim”. As paisagens de experimentação envolvem um tipo de toma lá dá cá onde as pessoas com necessidades médicas não atendidas aceitam dizer “sim” para o movimento do capital global e de mercadorias científicas e médicas. (PETRYNA, 2011, p. 129)

Ainda assim, os chamados ensaios clínicos randomizados (ECR), que são o “*gold standard*” das ATS seguem quase impossíveis de se realizar com algumas doenças raras. Com efeito, as evidências científicas disponíveis sobre os tratamentos destas doenças permanecem insuficientes para demonstrar resultados efetivos e benefícios para os pacientes. Para contemplar estas doenças e gerar mais dados que colaborem para a avaliação do seu tratamento, o Ministério da Saúde vem aos poucos incorporando estratégias de “compartilhamento de risco”. Neste formato, o Estado arca com os custos do medicamento naqueles casos em que são constatadas melhorias na saúde do paciente. Vale dizer, os esquemas de risco compartilhado (*Risk Sharing Agreement* ou *Patient Access Scheme*-PAS) são especialmente úteis quando existem dúvidas acerca da efetividade de uma determinada droga e sua utilização está associada

a altos custos. Eles se embasam na determinação *ex ante* de umbrais de resultados clínicos em que tanto o pagador como o provedor da droga compartilham o risco a respeito dos resultados, custos e benefício à população. Este mecanismo pode agregar flexibilidade de preços até que provas mais sólidas possam ser coletadas, conduzindo a uma nova negociação. São, portanto, especialmente relevantes para as tecnologias órfãs.

Cumpre destacar a recente decisão da CONITEC de incorporar o Spinraza® (nusinersena) para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo I no SUS. Em recomendação pioneira, a Comissão se embasou em estudos avaliando a efetividade que correspondiam a relatos de Programas de Acesso Expandido de cinco países, concluindo que o nusinersena apresentou resultados de eficácia e segurança plausíveis. Logo, em sua Recomendação Final, a Comissão assentou:

Os membros da CONITEC presentes na 76ª reunião ordinária, no dia 04 de abril de 2019, deliberaram por unanimidade recomendar a incorporação no SUS do nusinersena para AME 5q tipo I, para pacientes com diagnóstico genético confirmatório que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente contínua (24 horas por dia). O atendimento dos pacientes deverá ser realizado em centros de referência com a disponibilização de cuidados multidisciplinares, mediante Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (com estabelecimento de critérios de inclusão, exclusão e interrupção); avaliação da efetividade clínica; reavaliação pela CONITEC em 3 anos e negociação de preço com a empresa fabricante do medicamento. A CONITEC informa que caso sejam apresentadas evidências adicionais sobre eficácia, efetividade e segurança do nusinersena para tratamento dos tipos II e III de AME 5q, o tema poderá ser reavaliado. (BRASIL, 2019, p. 11)

Por fim, um recente estudo buscou levantar todas as tecnologias incorporadas no SUS que haviam tido recomendação preliminar contrária à incorporação e que, após a consulta pública, a recomendação passou a ser favorável. Os autores identificam 10 casos de mudança de recomendação após consulta pública e sublinham que durante as consultas públicas, a CONITEC tem recebido novas propostas de preço e estudos econômicos das indústrias, permitindo que certas tecnologias sejam incluídas no SUS: “além de um importante mecanismo de participação social, as consultas públicas realizadas pela comissão podem ser vistas como instrumento de diálogo e negociação entre produtores de tecnologias em saúde e governo” (SILVA, PIRES MEGA e RABELO, 2017, p. A858). Vale lembrar, o plenário da CONITEC alterou sua recomendação inicial, tanto quando incorporou o Eculizumabe como o Galsufase, mediante certas condicionantes de uso “ad experimentum” (reavaliação em 3 anos) e negociação para redução significativa de preço.

3.7. Infrações sanitárias, penais e ilícitos civis: regulação versus judicialização

Nesta sessão buscamos uma possível inferência dos estatutos de responsabilidade civil à luz da análise econômica do direito. Vale dizer, a análise econômica da responsabilidade civil procura discernir a regra que outorga incentivos adequados para obter um resultado ótimo desde o ponto de vista do bem-estar geral. Nesta equação econômica, o valor da negligência pode ser calculado pelo custo dos acidentes vs. os custos da prevenção. As variáveis mais evidentes que se deve considerar nesta análise busca encontrar a solução normativa ótima entre: (i) o custo que supõem os acidentes; (ii) o custo de prevenção de que cheguem a ocorrer; e (iii) os benefícios que se seguem à respectiva atividade (COASE, 1960; SHAVELL, 1984). Logo, deste ponto de vista da racionalidade econômica, podemos passar à comparação entre a responsabilidade civil e a regulação em sentido estrito.

Como ensina Richard Posner (2011, p. 22), na prática, todos sistemas regulatórios são mistos. Pois, é comum que disponibilizem em paralelo meios administrativos e judiciais para dissuadir os mesmos riscos. Conforme preconizado pela análise econômica do direito²³, considera-se o “*common law*” – entendido como as doutrinas criadas pelos tribunais anglo-saxões, v.g., a jurisprudência sobre ilícitos civis – como uma forma de “regulação”. O enfoque da “regulação judicial”, neste caso, recai sobre o efeito dissuasivo da ameaça por força da responsabilização (ibid., p. 11).

Tendo em vista que a regulação de drogas e medicamentos no Brasil abrange, em âmbito administrativo, a fiscalização do cumprimento dos deveres jurídicos e a aplicação de sanções em caso de descumprimento da legislação sanitária, além de produzir consequências em âmbito penal e civil, que só podem ser produzidas nos tribunais, o objetivo desta seção é introduzir a comparação da regulação e da judicialização como métodos de controle sanitário maximizadores de bem-estar social.

²³ O estudo da relação entre regulação e litígios possui longa história no movimento *Law & Economics*, com a publicação da obra “*The problem of social cost*”, de Ronald Coase (1960), em que surge a provocativa hipótese de que, em um cenário em que as falhas informacionais e os custos de operação são baixos, e litígios (quando emergem) se sujeitam à jurisdição de tribunais, diversos tipos de fatores externos poderiam ser controlados por meros contratos, enquanto o restante seria controlado somente pela “responsabilidade civil”. Ao comparar o custo-benefício destas formas de controle social, aplicaremos o modelo desenvolvido por Steven Shavell (1984), que incluirá diversos fatores, como vantagens informacionais do administrador público, a difusão das partes lesadas e a capacidade limitada destas para responsabilizar o causador do dano, modelo que o autor desenvolve através da seguinte fórmula: a regulação não resulta propriamente na redução do risco – porque o regulador não dispõe de informação perfeita – tampouco a responsabilização civil resulta neste fim – porque os incentivos que criam são diluídos pelas chances de que a parte causadora do dano não seja acionada na justiça ou de que não seja capaz de arcar completamente com a indenização. Assim, a responsabilização civil e a regulação são frequentemente vistas como substitutas uma da outra, conformando um modelo ótimo aquele que contenha elementos de ambas, a depender dos custos relativos destes mecanismos (SHAVELL, 1984).

É fundamental compreender que nesta forma de análise, dois tipos de regulação são frequentemente utilizados em conjunto: (i) a “regulação *ex ante*”, que ocorrerá antes que seja produzido um dano, sendo dominante na regulação de novos medicamentos; e (ii) a “regulação *ex post*”, que ocorre na forma de indenizações, v. g., por erro médico, que será a forma dominante para se regular a profissão médica.

Em âmbito federal, a ANVISA conserva atividades de fiscalização, sendo responsável pela realização de inspeções em toda a cadeia produtiva de medicamentos (AITH et al., 2014, p. 524). Dentre as competências de sua Gerência-Geral de Inspeção, Monitoramento da Qualidade, Controle e Fiscalização de Insumos, Medicamentos e Produtos, Propaganda e Publicidade (GGIMP), especificamente criada para esta finalidade, através da Portaria n. 937/2012, destacam-se a coordenação das atividades de apuração das infrações à legislação de vigilância sanitária e a instauração de processo administrativo para apuração de infrações à legislação sanitária federal.

Ademais, desde 1999, com a criação do Sistema Nacional de Farmacovigilância, ligado à ANVISA, há sistema de informação abastecido por notificações voluntárias de usuários ou de hospitais públicos, no qual, detectada uma reação adversa a medicamento, profissionais de saúde, usuários do SUS ou clientes do sistema privado podem realizar notificação espontânea por meio de um formulário eletrônico. Tais notificações são coletadas por meio do Sistema Nacional de Notificações para a Vigilância Sanitária, criado pela Portaria SAS/MS n. 1.660/2009.

Quem pratica a venda de medicamentos sem registro incorre em diversas penalidades. Caso o medicamento seja comercializado, será prontamente apreendido ou recolhido e a empresa produtora autuada, sofrendo as penalidades cabíveis, de acordo com a Lei n. 6.437/1977, sem prejuízo de sanções civis ou penais. Segundo a Lei n. 9.677/1998, que alterou o Código Penal, o comércio e a distribuição de medicamentos sem registro no órgão regulador é considerado crime hediondo contra a saúde pública, com previsão de pena de reclusão de 10 a 15 anos. Na mesma pena incorre quem importa, expõe à venda, tem em depósito para vender ou, de qualquer forma, distribui ou entrega a consumo. Ao ensejo, as infrações sanitárias expressas no Código Penal relacionadas a medicamentos estão previstas nos artigos de 273 a 278, e incluem o emprego de processo proibido ou de substância não permitida, assim como a venda de produto falsificado, corrompido, adulterado ou alterado.

Por seu turno, o Código de Defesa do Consumidor (CDC) prevê outras infrações penais relativas ao uso e à publicidade de produtos farmacêuticos. Seu art. 64

dispõe que é faltosa a omissão às autoridades competentes e aos consumidores de informação sobre a periculosidade ou nocividade dos produtos. A pena varia de detenção de 6 meses a 2 anos e multa. Em seu art. 66, o CDC pune quem fizer afirmação falsa ou enganosa, ou omitir informação relevante sobre a natureza, característica, qualidade, quantidade, segurança, desempenho, durabilidade, preço ou garantia de produtos ou serviços, condutas cuja pena varia de detenção de 3 meses a 1 ano e multa. E, finalmente, o art. 69 do Código do Consumidor prevê a pena de 1 a 6 meses de detenção e multa para quem deixar de organizar dados fáticos, técnicos e científicos que dão base à publicidade de um produto. Cumpre destacar que, “em razão de sua natureza, tais infrações são apuradas por autoridade policial (...); [enquanto] a aplicação de penas é feita judicialmente, variando entre multa, prisão ou ambas. (AITH et al., 2014, p. 526).

Ademais, os ilícitos civis relacionados à regulação de medicamentos fundam-se no dever geral de cuidado insculpido no art. 927 do Código Civil de 2002: “aquele que, por ato ilícito, causar dano a outrem fica obrigado a repará-lo”. Em outras palavras, os ilícitos civis aplicados a drogas e medicamentos no Brasil “fundam-se na ideia de que a todo dever corresponde uma obrigação, e toda obrigação corresponde a uma responsabilidade” (ibid., pp. 527-8). Neste sentido, “os desdobramentos das infrações penais, administrativas e civis completam o ciclo de restrições às liberdades individuais inerentes à proteção contra o risco sanitário” (ibid., p. 528). Por outro lado:

Como grande parte das ações de vigilância sanitária e controle de mercado de medicamentos, as punições decorrentes dos processos judiciais e administrativos estão estruturadas em um sistema normativo muito fragmentado, o que dificulta sua compreensão como um todo. (id.)

Portanto, tanto a ANVISA como as jurisdições criminal e civil estão a cargo de funções regulatórias no mercado de medicamentos. Vale dizer, as multas aplicadas pela agência influenciam, mas não vinculam, a sentença penal. No caso da garantia de segurança dos medicamentos, quando a ANVISA falha em prevenir a venda de substâncias danosas à saúde, particular ou coletiva, o CDC poderá ser usado para a responsabilização, *ex post*, do promotor da substância.

Cumpre consignar que sistemas regulatórios “mistos” (de regulação combinada com judicialização) podem conduzir à morosidade e à incerteza quanto aos resultados, gerando ainda custos em duplicidade (POSNER, 2011, p. 24). Porém, não se

deve confundir um “sistema misto” com um “sistema concorrencial”. Nos sistemas mistos, os diferentes reguladores (agências regulatórias e cortes) estão sobrepostos verticalmente; já em um sistema concorrencial, duas agências (ou dois órgãos judiciais) devem ser competentes para regular a mesma atividade, com a expectativa de que o cenário competitivo as mantenham adstritas a suas prerrogativas (id.).

O exemplo trazido à baila por esta pesquisa ilustra o caso dos medicamentos em que uma regulação “mista” e “*ex post*” não incrementa em nada as regras ou critérios preexistentes. Pois, os custos de aplicação da regulação, por vezes, superam aqueles de sua violação, sobretudo, no cenário em que o profissional médico sabe que uma substância sem registro no país poderá salvar a vida de um paciente em estado grave. As normas penais são claras e sua aplicação simplesmente cuida de punir os violadores. Contudo, sua efetividade é, em larga medida, questionável.

Ademais, do ponto de vista da indústria farmacêutica, protegida pela liberdade de iniciativa em relação ao registro de seu produto em todos os lugares onde este for promovido, e pela impossibilidade de uma regulação *ex ante* de todas as prescrições médicas, ainda que as penas sejam rígidas, a expectativa dos custos da punição é baixa, especialmente, se comparada à expectativa de ganhos com as vendas através de ações judiciais, que contam, ainda, com o apelo dissuasivo de salvar vidas.

No ponto, encerra-se um “paradoxo regulatório” (SUNSTEIN, 1999). Pois, “embora pareça que essa distribuição de competências se organiza harmonicamente, é necessário observar que existe uma superposição de ações de fiscalização, o que pode ensejar certa confusão para os estabelecimentos fiscalizados” (AITH et al., 2014, p. 525). Neste sentido, o excesso de regulação produz desregulação, e, apesar da severidade e do rigor das diretrizes jurídicas, este tipo de paradoxo resulta que os atores fiquem praticamente livres de controles regulatórios (SUNSTEIN, 1999, p. 415).

3.8. Por uma ciência regulatória a cargo dos pacientes

Vimos que uma agência de ATS é um campo altamente politizado, que envolve múltiplos grupos de interesse com diferentes prioridades e necessidades. Com esta constatação, em um nível regulatório e institucional, surge a questão de como mobilizar avaliações que ultrapassem diferentes redes clínicas e políticas que possuem prioridades distintas. Carlsson (2004) comenta que recursos consideráveis tiveram que ser dispendidos no processo de disseminação de resultados das ATS na Suécia,

indicando que a evidência não fala por si mesma, mas necessita de uma advocacia persuasiva, daí a necessidade de que sejam compreensíveis, transparentes e embasadas em evidências. Em conclusão, o autor coloca que quanto maior a participação de pacientes e do público em geral no processo de tomada de decisão, mais importante será o papel social das ATS (CARLSSON, 2004, p. 53).

A filósofa Sheila Jasanoff (1995) defende que um programa regulatório pode se tornar mais efetivo se substituir procedimentos contraditórios por uma abordagem negocial que, ao mesmo tempo, deixe de insistir em uma separação rígida entre ciência e política: abordagem que denomina *ciência regulatória*. Para ela, em lugar de despolitizar o seu conteúdo ou polarizar o debate científico, é mais provável que a negociação entre interpretações científicas divergentes conduza à formação de consensos efetivos sobre a regulação destes assuntos (ibid., p. 284). Isto é, “a legitimidade das avaliações científicas na definição de políticas é aprimorada através de procedimentos que priorizem a negociação e a busca de meios-termos, em lugar de conflitos antagônicos entre as partes interessadas” (ibid., p. 288). Para a filósofa, isto implica que a *ciência regulatória* seja mais responsiva tanto a públicos especializados como a leigos se a comunidade científica se engajar com outros interesses – incluindo aqueles dos “cientistas governamentais” – em um processo de mútua acomodação. Objetiva-se, assim, integrar preocupações científicas e de políticas públicas a cada etapa do processo deliberativo, visto que a determinação *a priori* de onde a ciência termina e onde a política começa na ação regulatória enfrenta sérios obstáculos (ibid., p. 289).

Nesta perspectiva, a legitimidade da regulação de tecnologias em saúde seria incrementada por meio de procedimentos não-contraditórios, dando oportunidade a um intercâmbio multilateral, que permita a construção de consensos operativos junto a expertos, agências e demais interessados. Sendo assim, a CONITEC deveria buscar não só aconselhamento científico externo em questões relativas aos efeitos biológicos exigidos para recomendações sobre a incorporação de medicamentos órfãos, mas também se esforçar para introduzir o paciente em seu processo deliberativo, sobretudo, através de *estudos de qualidade de vida*, ou *outcome research*, que são essencialmente instrumentos de auto-avaliação dos pacientes, para levar em conta as repercussões da doença e dos tratamentos empregados sobre todos os aspectos de sua vida (PIGNARRE, 1999, p. 139). Neste sentido, Lucio Luzzatto e colaboradores (2018, p. 2) observam que: “as melhores ferramentas para avaliar o valor destes medicamentos [órfãos] na vida real são registros robustos de pacientes, projetados para coletar dados longitudinais

confiáveis relatados por médicos, independentemente da indústria”. Ademais, não é lícito insistir que a ação da CONITEC é limitada exclusivamente a questões científicas, recomendando que a Comissão adote um espírito conciliador, que permita equalizar dúvidas quanto a resultados de seus julgamentos estarem previamente determinados por designações políticas, como sugerem alguns estudos empíricos (YUBA et al., 2018).

Capítulo 4. Considerações sobre a aplicação do modelo comparativo

A comparação das arquiteturas regulatórias de todos os países que analisamos nesta Parte II, através do modelo desenvolvido por Todd Gammie e colaboradores (2015), sugere que os Estados nacionais vêm implementado uma combinação de legislações, regulamentos, planos, programas e políticas para as doenças raras nas últimas décadas (ver Tabela 4 abaixo). Na América Latina, há diferenças críticas em termos de alcance e tipos de arquiteturas regulatórias. Com relação ao financiamento da cobertura destas doenças, “Colômbia, Peru e Brasil dedicam uma fração de seus respectivos orçamentos; [enquanto] o Chile possui um fundo autônomo com capacidade de rentabilidade” (CARRERA-ACOSTA et al., 2017, p. A858).

À exceção do Brasil, todos os países da amostra possuem legislações específicas para medicamentos órfãos ou doenças raras. De um modo geral, a existência de incentivos econômicos, tais como isenções fiscais ou bolsas de estudos, e um período de exclusividade de mercado, de 7 ou 10 anos, é a maior diferença entre os frameworks regulatórios de países centrais e periféricos ou semiperiféricos, inclusive nisto destoa a regulação nacional em relação aos sistemas regulatórios mais maduros. Embora as legislações de Colômbia e Peru incluam uma variedade de dispositivos que encorajam o fomento à pesquisa de doenças raras, não foram encontrados financiamentos em vigor.

Ainda de acordo com o modelo, entenda-se por incentivos não-econômicos: “aprovação *fast track*, acesso pré-comercialização (na forma de uso compassivo ou *off-label*) e aconselhamento científico, que inclui assistência gratuita ao protocolo de pesquisa e/ou consultas durante a fase de desenvolvimento do ensaio clínico” (GAMMIE et. al, 2015, p. 15). Nesta acepção do termo, Brasil e Colômbia apresentaram incentivos não-econômicos, tais como o sistema de aprovação *fast track* regulado pela RDC n. 205/2017, da ANVISA, enquanto os medicamentos definidos pelo INVIMA como “vitais indisponíveis” não demandam registro sanitário para sua produção, importação e/ou comercialização na Colômbia, conforme o Decreto n. 481/2004. Ademais, embora há programas de uso compassivo, expandido ou *off label* nestes dois países, o acesso pelos pacientes é comprometido tendo em vista que não há reembolso/cobertura pelo sistema público. Um exemplo de como compatibilizar estes programas de acesso com seu reembolso pode ser a Turquia, que possui um esquema que permite tanto a disponibilização ao paciente (através da importação) como o

reembolso dos medicamentos órfãos quando estes ainda não estão disponíveis (id.). Interessante observar que a decisão de incorporação de drogas órfãs não exige análise farmacoeconômica e, por conseguinte, todas as drogas órfãs que ingressam no mercado turco são reembolsáveis pelo Estado sem nenhum tipo de co-pagamento (ibid., p.17). Lembramos também da França, que permite tanto o acesso (através das “autorizações temporárias de utilização”), como o reembolso (através do sistema público de saúde).

Tendo em vista que o acesso a medicamentos órfãos é condicionado às políticas de reembolso e precificação de cada país, cumpre consignar que quando da fixação do preço de novos medicamentos, a Colômbia emprega ATS e preços de referência, podendo designar a tecnologia como de “interesse público”, o que houve no caso do Glivec®, uma droga órfã que neste país custa 10 vezes menos que no Brasil e 25 vezes menos que na Argentina (HEREDIA & RIBEIRO, 2017, p. A859). Registre-se que “modelos de preço controlado tendem a exibir valores inferiores de aquisição que variam de moderatos a significativos, com uma média em torno de valores 40% menores que modelos de livre precificação” (GAMMIE, 2015, p. 16).

É importante notar que a participação das associações de pacientes foi fundamental nos debates prévios à elaboração das legislações de EUA, UE e Chile. Cumpre destacar que, no Chile, a Lei Ricarte Soto criou um registro nacional das “associações vinculadas a temas de saúde”, que tem o direito de eleger dois representantes que participarão da comissão de avaliação de tecnologias de alto custo. Este modelo de parceria regulatória poderia ser pensado em relação não só à CONITEC, mas também entre associações e agências, como na UE entre a EURODIS e o EMA.

No Brasil, a CONITEC é a entidade estatal responsável pela incorporação de medicamentos órfãos no SUS, de acordo com a Lei n. 12.401/2011. No entanto, esta Comissão não tem a atribuição de determinar se o medicamento é ou não órfão, assim como não há em vigor qualquer tipo de ATS diferenciada a ser oferecida para essas drogas, tal como ocorre, e. g., na Turquia ou na França. Vale lembrar que:

A idealização da CONITEC baseou-se no modelo britânico do *National Institute for Health and Clinical Excellence* (NICE), instituído em 1999, com o objetivo de avaliar tecnologias de saúde a serem incorporadas pelo *National Health System* (NHS), por meio de protocolos assistenciais, levando em consideração a opinião dos pacientes e dos profissionais de saúde. Apesar de se basear em métodos convencionais de avaliação como custo-efetividade e eficiência, ocasionalmente o NICE julga o valor social e científico de determinadas terapias, o que não ocorre na CONITEC. (AITH et al., 2014, pp. 16-17)

Tabela 4. Legislações, Regulações e Políticas Regulatórias de Drogas Órfãs por País

País	Brasil	Chile	Colômbia	Peru	Estados Unidos	França (União Europeia)
Legislação de Medicamentos Órfãos	Não	Sim	Sim (As "enfermidades órfãs" na Colômbia abarcam também as chamadas "doenças negligenciadas", ou "olvidadas", conforme as Leis n. 1392/2010 e 1438/2011.)	Sim	Sim	Sim (UE)
Plano Nacional de Medicamentos Órfãos / Doenças Raras	Plano Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras	Não	Programa de Curto e Médio Prazo da Mesa de Enfermidades Órfãs	Plano Nacional de Prevenção, Diagnóstico, Atenção Integral de Saúde, Tratamento, Reabilitação e Monitoramento das Doenças Raras ou Órfãs	Não	Plano Nacional Francês para as Doenças Raras
Designação Específica de Medicamentos Órfãos	Sim	Sim	Sim	Sim	Sim	Sim (UE)
Procedimento independente para registro sanitário	Procedimento regulado pela RDC 205/2017.	Não	Não	Sim	"Fast Track", Revisão Prioritária, Aprovação Acelerada ("Accelerated Approval") e "Breakthrough".	Há diversos procedimentos especiais para a introdução de medicamentos órfãos no mercado europeu. Estes incluem a aprovação condicional ("conditional approval") e os caminhos adaptativos ("adaptive pathways"). Vale dizer, a EMA consubstancia estes "caminhos adaptativos" em três princípios: desenvolvimento iterativo, coleta de evidências da "vida real" ("real-life evidence gathering") e envolvimento inicial no desenvolvimento do protocolo de pesquisa. 10 Anos (UE)
Exclusividade de Mercado	Não	Não	Não	Não	7 Anos	
Incentivos Financeiros	Não	Não	Não	Não	Sim (50% de créditos fiscais, isenção de taxas do FDA, Programa de Fomento à Pesquisa.)	Isenção de taxas

Tabela 4. Continuação.

País	Brasil	Chile	Colômbia	Peru	Estados Unidos	França (União Europeia)
Incentivos Não-Financeiros	Programas de acesso expandido e uso compassivo; registro " <i>fast track</i> " na ANVISA.	Não	Uso <i>off label</i> . Os medicamentos definidos pelo INVIMA como "vitais indisponíveis" não demandam registro sanitário para sua produção, importação e/ou comercialização.	Não	Aconselhamento científico, assistência ao Protocolo de Pesquisa ("Protocol Assistance"), acesso pré-comercialização.	Acesso prévio ao registro sanitário, aconselhamento científico, assistência gratuita ao protocolo de pesquisa. (Países da UE têm acesso a uma gama de incentivos oferecidos no âmbito da legislação europeia para os medicamentos que foram contemplados com a designação de "órfão", incluindo: redução de taxas, procedimentos mais céleres, acesso a aconselhamento científico gratuito com relação aos ensaios clínicos, etc.)
Precificação	Negociado. As empresas que submetem a solicitação de registro de novos medicamentos para doenças raras devem apresentar dossiê de definição de preço máximo concomitantemente ao protocolo de solicitação de registro. Aplica-se o CAP para compras públicas.	Livre	Negociado. Sistema de negociação e compra centralizado, com as farmacêuticas e laboratórios produtores e importadores de medicamentos e tecnologias diagnósticas. O conteúdo do registro sanitário abrange o valor máximo do medicamento a ser aferido com base nas ATS realizadas pelo IETS.	Livre	Livre	Negociado. O Plano Nacional Francês para as Doenças Raras estabeleceu um sistema de autorização de introdução no mercado no qual um comitê negocia o preço do medicamento órfão junto à indústria farmacêutica, levando em conta o ganho de valor clínico agregado pelo medicamento, com preços embasados naquelas drogas que sirvam aos mesmos propósitos terapêuticos em outros países Europeus
1. Abrangência de Cobertura/Reembolso. 2. Critérios de ATS	1. Está previsto o uso de medicamentos na política de atenção integral às doenças raras, desde que recomendados pela CONITEC, que é a entidade estatal responsável pela incorporação de medicamentos no SUS. 2. No entanto, essa Comissão não tem a atribuição de determinar se o medicamento é ou não órfão, assim como não há em vigor qualquer tipo de ATS diferenciada a ser oferecida para essas drogas, tal como ocorre em outros países.	1. Há cobertura integral de 18 doenças de "alto custo" no âmbito da lei Ricarte Soto. 2. Ao menos, a eficácia e efetividade relativas; a segurança, a avaliação econômica, a implementação, a avaliação das condições de pagamento através de acordo de partilha de risco, o impacto orçamentário, os efeitos nas redes assistenciais, as repercussões éticas, jurídicas e sociais e o alcance do prazo de revisão da avaliação.	1. Cobertura integral daquelas doenças de alto custo contempladas em uma lista definida pelo Estado, através do Fundo Colombiano de Enfermidades de Alto Custo. 2. Melhor evidência científica disponível, utilidade diagnóstica, custo-efetividade, impacto orçamentário e, por vezes, razão de custo-efetividade incremental.	1. Cobertura integral de medicamentos para o tratamento de 8 doenças raras através do FISSAL. 2. Segurança, eficácia, efetividade clínica, avaliação econômica, implicações organizacionais, consequências sociais, éticas e legais.	1. Cobertura de 95% dos valores no âmbito dos planos de saúde aprovados pelo "Medicare", sujeito à autorização prévia para reembolso e sempre que o gasto "out of pocket" superar US\$4.350,00. 2. Custo-efetividade: não há ATS sistemática conduzida pelos pagadores de medicamentos órfãos dos EUA.	1. Cobertura de 65% a 100% das drogas órfãs - Planos de Saúde Complementares geralmente completam o reembolso. 2. Critérios de ATS: Vantagem terapêutica. Necessidade de saúde insatisfeita. Benefícios sócio-econômicos. Interesse de Saúde Pública.

Vimos também que o Ministro da Saúde tem o poder de nomear e remover os membros da CONITEC. O estudo já referido de Rosângela Caetano e colaboradores ensejou dúvidas sobre até que ponto interfere nas decisões o fato desta Comissão pertencer à estrutura do próprio Ministério que financia o que é incluído, dado que a literatura internacional discute que a estrutura organizacional “ideal” para os órgãos encarregados de ATS seriam hierarquicamente independentes, ainda que financiados por fundos públicos (CAETANO et al., 2016, p. 2521). Estaria o desenho institucional forjado exatamente para o controle do avanço tecnológico sobre o orçamento da saúde?

Neste diapasão, por trás do Estado formal regulado pela ordem constitucional emerge um Estado paralelo atuando de diversas maneiras, todas elas sutis, ou seja, tolerando o descumprimento da Carta Política em certos casos, não acionando as instituições encarregadas de reprimir a violação dos direitos sociais, não os regulamentando, não prevendo dotações orçamentárias para os serviços destinados a implementar as políticas sociais, etc. (FARIA, 1989, p. 84). Em suma, como o sociólogo do direito, José Eduardo Faria, previu no fulgor da Assembleia Constituinte:

(...) as instituições formais cada vez mais tenderão a contar, em seu interior, com centros de poder novos e relativamente autônomos; centros que, como se sugeriu antes, irão se caracterizando por estilos administrativos específicos, clientelas próprias e tendências distintas de tomadas de decisões, desenvolvendo rivalidades de objetivos, diferenças de orientação e jurisprudências *inter corporis* peculiares, passando assim a deter de fato prerrogativas políticas semi-independentes, com relação ao que foi estabelecido pela nova Constituição. (FARIA, 1989, p. 85)

Através da revisão bibliográfica, foi possível verificar como os meios empregados pela CONITEC para a tomada de decisão oscilam, em alguns casos, privilegiando meras análises de impacto orçamentário e, em outros, ATS integrais (YUBA et al., 2018). Por força da moderna teoria da proteção igualitária, a constitucionalidade deste expediente seria, ao menos, questionável, vez que poderia limitar o acesso a medicamentos para doentes raros de maneira desproporcional ao que faz com os pacientes comuns. Nesta perspectiva, talvez seja interessante questionar, em estudos futuros, que formas de vida a CONITEC impinge aos pacientes raros. Isto quer dizer: não mais buscar uma análise institucional pelo viés da exclusão de certas doenças de sua “jurisprudência”, ponto em que seu poder produz efeitos reais, mas procurar compreender as técnicas e procedimentos que permitem-na garantir tal exclusão, em sua “micromecânica” (FOUCAULT, 2010, pp. 28-29).

No Brasil, muitos indivíduos não dispõem de educação, informações ou recursos econômicos que possibilitem o acesso a tratamentos de saúde em dia com o estado da arte das novas tecnologias. Muitos não possuem sequer consciência de seus problemas de saúde, ou talvez tomem conhecimento apenas quando é tarde demais. Em se tratando das doenças infrequentes, com o perdão da redundância, raras vezes os profissionais de saúde têm conhecimento técnico para diagnosticá-las. Há pouca informação epidemiológica a seu respeito, não apenas por sua raridade, mas também pela dificuldade de diagnóstico. Nesta medida, assimilam-se àquelas “doenças que você luta para ter” como Dumit (2006) retrata de forma tão precisa. Os pacientes peregrinam durante anos em clínicas especializadas até “conquistar” uma patologia bem definida.

Como visto, o SUS opera através dos PCDT. Os tratamentos medicamentosos nele disponibilizados se pautam pelas listas oficiais da assistência farmacêutica. Isto demanda categorias patológicas bem definidas através de classificações CID antes do início de um tratamento qualquer, o que pode criar situações para as quais “não há código” (DUMIT, 2006, p. 579). Nisto se observa que pessoas enfermas, sem um diagnóstico preciso, não são elegíveis para os programas da assistência farmacêutica.

Por outro lado, é um achado robusto na literatura internacional que toda doença pouco comum deva ser excepcional diante dos procedimentos ordinários da organização da assistência farmacêutica (HUYARD, 2009, p. 471). No caso do SUS, as evidências coletadas nesta Parte II convergem no sentido de que não há procedimentos específicos formalizados pela CONICET para avaliar tecnologias órfãs. Isto, na prática, faz com que elas sejam tratadas como não cobertas pelo sistema público de saúde no Brasil, ainda que este seja plasmado em princípios como a universalidade e a integralidade, relegando ao sistema de justiça a função “*gatekeeping*” das demandas medicamentosas desta clientela. Nesse quadrante, levanta-se a hipótese de que o emprego de metodologias convencionais de ATS pela CONITEC no contexto das drogas órfãs seria um dos fatores que estimulam a “judicialização”, visto que:

Sempre que o Estado não conseguir oferecer uma solução terapêutica a um cidadão, seja porque o serviço ou produto não foram ainda incorporados formalmente ao sistema, seja porque a necessidade da pessoa é especial e não se encaixa nos protocolos e diretrizes clínicas já fixados, caberá ao cidadão o direito de exigir do Estado, pela via administrativa ou judicial, o oferecimento de uma solução condizente. (AITH et al., 2014, p. 36).

Sabendo disso, as farmacêuticas passaram a financiar algumas dezenas de entidades de *advocacy* no Brasil. Discutiremos adiante as implicações disto sobre o aumento quantitativo e a mudança de perfil qualitativo da litigiosidade em saúde, gerando uma sobrecarga sistêmica para o poder judiciário (LUHMMANN, 1997). Por ora, cumpre mostrar a outra face da moeda: “é viável testar cada novo medicamento, e assim determinar sua segurança previamente, mas é inviável requerer que médicos busquem a aprovação de uma agência regulatória para cada procedimento que realizem” (POSNER, 2011, p. 16). Neste caso, a regulação “*ex post*” representa economia de escala para a administração pública, visto que a intervenção estatal será apenas esporádica e utilizará informações específicas do caso, sobretudo, providas pela parte interessada que sofreu o dano, bem como o processo adversarial, que tende a incrementar a acurácia do resultado (ibid., p. 15).

Organizações que perseguem o lucro, por seu turno, sempre buscarão encontrar uma forma de obter o maior ganho: como se pode, dentro da arquitetura regulatória, vender um produto ao maior preço possível, pelo maior tempo estimado? Enquanto goza de sua exclusividade de mercado nos EUA, a indústria farmacêutica pode, e.g., beneficiar-se da judicialização das prescrições de medicamentos órfãos para indicações sem alternativa terapêutica em países do Sul Global, que garantam o direito fundamental à saúde. Este fenômeno merece estudos abrangentes, inclusive comparados, acompanhando a tendência crescente de que os laboratórios de medicamentos órfãos se convertam em “*niche busters*” (KAKKAR & DAHIYA, 2014).

Por outro lado, dentro de todas as alternativas por ora disponíveis, ainda que ineficiente, o modelo de acesso através da judicialização é o mais sensível aos pacientes. Por sua vez, uma regulação estrita, que proíba o fornecimento de medicamentos sem registro pode ser moralmente complexa porque impõe um comportamento demasiado desumano ao *stakeholder* público que – em se havendo provas científicas de que há tratamento disponível – deve inviabilizar que a pessoa enferma seja tratada. Portanto, sobretudo em países periféricos ou semiperiféricos, esta regulação tende a ser contraproducente e ineficaz, de maneira que se passa a ignorá-la justamente porque é demasiado estrita.

Em síntese, estamos diante de problemas criados por ambos, tanto pela arquitetura regulatória como pelos atores do mercado; estamos, portanto, diante de um “paradoxo” do Estado Regulador (SUNSTEIN, 1990, p. 441).

PARTE III – O CASO DA JUDICIALIZAÇÃO DA BIOPOLÍTICA

“Every system is perfectly designed to get the results it gets.”

Paul Batalden

Esta Parte III examinará as distintas interpretações sobre a “crise sanitária” causada pelas ações judiciais movidas por alguns doentes raros, para então avaliar os efeitos da dicotomia “regulação versus judicialização” no mundo real, comparando-as em termos de sua força dissuasora. A tarefa descritiva objetiva retratar se um componente político pode ser crucial na delegação das demandas de pacientes raros para a solução do poder judiciário. Na seção 5.1., mapeiam-se diversas teorias acerca da transformação que as mudanças institucionais causadas pela inscrição do direito à saúde em constituições poderia suscitar. Na seção 5.2., revisa-se a literatura sobre a “judicialização da saúde” no Brasil. Enquanto, na seção 5.3., aprofunda-se no caso da interrupção no fornecimento do Soliris® entre 2017-2018. Busca-se, assim, numa fonte primária, isto é, na expressão material de vidas-humanas perdidas (5.3.1.), contestar de que maneira o sistema de preços desregulados no mercado de drogas órfãs em países centrais faz com que países periféricos indiretamente subsidiem fármacos vendidos àqueles (5.3.2.). Como possível desdobramento desta crise, a seção 5.4. descreve em que medida parcela do discurso jurídico estaria engendrando uma contra-narrativa em face dos doentes raros, sempre em razão do argumento econômico. Em contrapartida, buscamos propor uma abordagem distinta, que pondera a influência de distintos fatores, incluindo o cálculo de vantagens pelo ente público em manter a judicialização, a dispersão das partes lesadas, a limitada capacidade para responsabilizar os agentes públicos lesivos e as diversas barreiras para acessar os tribunais. Apresentamos, no Capítulo 6, a necessidade de compreender de que maneira juízes (não-cientistas) valoram provas científicas para interpelar as decisões da CONITEC. Neste sentido, questiona-se se os enunciados do CNJ permitem que a prova científica cumpra efetivamente sua função epistêmica, visto que defensores, advogados e juízes devem aprender a se dirigir aos pacientes e especialistas, conhecê-los e avaliar seu saber, e isto é, no mais das vezes, fonte de sérias tensões entre as epistemologias do direito e da ciência. À continuação, questiona-se a legitimidade do e-NATJus, à luz do princípio da imparcialidade. E finalmente, se a subcultura científica praticada pelo e-NATJus inviabilizará o acesso a tratamentos judicializados por doentes raros de forma definitiva.

Capítulo 5. Judicializar a vida

A transferência de poder aos membros do judiciário através da constitucionalização de direitos parece ser uma preocupação comum dos estudos sociojurídicos contemporâneos. Nesta Parte III, busca-se compreender as consequências políticas da expansão do poder judiciário sobre o campo de disputa social próprio da saúde, por força da constitucionalização deste direito fundamental, especialmente pelas lentes de grupos que sofrem com doenças raras, e quais seriam as implicações da crescente judicialização da política de assistência farmacêutica no Brasil. Enfim, questiona-se como a regulação que as ciências da vida realizam sobre o sistema jurídico, e vice-versa, influem no direito à vida em um estado biopolítico, em que a força do corpo biológico passa a ser objeto do interesse mercadológico-institucional?

Uma explicação das origens políticas da juridicização do mundo social é necessária se quisermos compreender a expansão contemporânea do poder judiciário mundo afora. Os movimentos de constitucionalização observados no Sul da Europa, nos anos 1970, na América Latina, nos anos 1980, no Leste Europeu no início dos anos 1990, e novamente na América Latina, nos anos 2000, trouxeram consigo uma transferência de poder ao judiciário na maioria destes sistemas políticos, seja através da constitucionalização de um catálogo de direitos vis-à-vis com o estabelecimento de uma instituição relativamente autônoma para protegê-los, seja através do estabelecimento de tribunais superiores com o poder de invalidar regras jurídicas (HIRSCHL, 2007, p. 43).

Há diversas teorias acerca da transformação que estas mudanças institucionais e a inscrição de um catálogo de direitos nestas constituições poderia suscitar. Nesta seção, seguindo a proposta inicialmente apresentada por Ran Hirschl e continuada por outros, vamos agrupá-las em quatro categorias: teorias da virtude contra-majoritária; teorias funcionalistas; teorias da evolução aquisitiva; e a teoria da preservação hegemônica. Esta breve categorização delimitará os parâmetros de análise e providenciará o contexto para a discussão dos capítulos seguintes.

Para evitar que os problemas envolvidos sejam enxergados à meia luz, todas estas abordagens demandam um olhar interdisciplinar versado não só em ciência política e direito, mas também em sociologia da ciência e antropologia social. Pois, em suma, a tarefa em mãos implica na conexão inextrincável do direito com a política, e desta, com a sociedade contemporânea.

5.1. Distintos olhares sobre a hipertrofia do poder judiciário

TEORIAS DA VIRTUDE CONTRA-MAJORITÁRIA. Em linhas gerais, a abordagem *contra-majoritária* para a explicação da hipertrofia do poder judiciário ascende da importância dos direitos humanos após a Segunda Guerra Mundial (HIRSCHL, 2007, p. 32). A tese mais amplamente defendida nesta visão define que a “democracia, em um sentido genuíno, requer que uma Constituição resguarde os direitos humanos individuais” (DWORKIN, 1994, p. 79). Conforme esta abordagem, a declaração de uma carta de direitos por uma assembleia constituinte seria a prova do triunfo democrático, acompanhando a crescente aceitação da ideia de que *democracia não equivale a regra da maioria*. Portanto, em uma democracia real, as minorias deveriam ter proteções na forma de uma constituição escrita, vinculante e imutável.

Ronald Dworkin talvez seja o maior expoente desta abordagem. Para ele, a igualdade é a “virtude soberana de uma comunidade política” (DWORKIN, 2000, p. 1); trata-se de uma precondição ao direito da maioria de executar suas leis em face daqueles que as consideram insensatas ou injustas (ibidem, p. 2). Isto é, cada cidadão deve ser objeto de igual consideração pelo governo (DWORKIN, 1994, p. 84). E, se os tribunais conseguem proteger esta igualdade tão bem quanto instituições eleitas através de sufrágio universal, é irrelevante se eles se sobrepõem ao desejo majoritário. Neste sentido, a expansão do poder judiciário responderia à necessidade de salvaguardar grupos e indivíduos vulneráveis do potencial tirânico das maiorias eleitas. Ao transferir a garantia destes direitos a juízes imunes à pressão da arena política, os interesses das minorias estariam a salvo das vicissitudes do processo eleitoral. Com efeito, a constitucionalização facilitaria o acesso de minorias a cortes independentes, criando oportunidades para que estas participem das decisões políticas (HIRSCHL, 2007, p. 33).

Por sua vez, de um ponto de vista sociológico, o período pós-constitucionalização coincide com o despertar de novas demandas na sociedade, que provém da construção de identidades que já não derivam da tradição dos movimentos do séc. XX, mas que tendem a reforçar aspectos vinculados à subjetividade, que agora surgem no espaço público como demandas, contribuindo para a construção de novos tipos de cidadania (PIERO, 2005, p. 61). Isto implica em uma ruptura, ou ao menos uma erosão, das estruturas tradicionais de mediação social, como os partidos políticos, o congresso, o sindicato, etc. Contudo, as expressões destas demandas não são uniformes (ibidem, p. 98). Dito de outra forma, as minorias não se conjugam sob uma paisagem

única, mas sob uma pluralidade. Há em suas aspirações, sem embargo, “um parentesco nas iniciativas” (LEFORT, 1983, p. 63). É, então, precisamente o fato de serem diferentes em algum aspecto o que as arregimenta em torno dos direitos humanos (LEFORT, 1991, p. 55). Sem embargo, suas novas estratégias apresentam um elemento paradoxal: “os movimentos de *advocacy*, enquanto lutam por aproximar os direitos à ‘gente comum’, recobrando a cidadania com uma dimensão societal e não-estatal, geram um processo que tende a expulsar a política da vida cotidiana” (PIERO, 2005, p. 101). Assim, ao contrário daquilo que sustenta a teoria da virtude contra-majoritária, no atual momento institucional não se pode olvidar que as minorias também podem ser instrumentos particularistas, facciosos, ideológicos, manipuladores, manipulados, corporativistas e irresponsáveis (ibidem). Mais grave que isso, estas teorias da constitucionalização se baseiam em uma série de presunções hipotéticas e especulativas no que concerne à origem das constituições e, portanto, no máximo poderiam oferecer uma justificação *ex post facto* para a sua adoção (HIRSCHL, 2007, p. 36).

Por fim, o teórico do direito Cass Sunstein (1994) apresenta uma abordagem mais sofisticada, ao questionar o “princípio da neutralidade”, opondo a este o “princípio da imparcialidade”, que forçaria o governo a fornecer razões para o que faz. Para ele, a exigência de “razões públicas” recai no coração do constitucionalismo moderno e, como forma de limitar o comportamento estatal, o autor sugere vedar a distribuição de recursos ou oportunidades a um grupo em detrimento de outro, com base no simples fato de que o grupo favorecido logrou exercer o poder político. A extensão desta limitação sobre o comportamento estatal envolve o conteúdo de quais razões os tribunais aceitarão como fundamentos legítimos para a ação governamental. Esta limitação seria forçada se, por exemplo, o governo fundamentar políticas públicas em ideias que desfavorecem membros de grupos minoritários (ibid., p. 28).

TEORIAS FUNCIONALISTAS. A abordagem das teorias funcionalistas compreende que a existência de regimes democráticos implica na presença de uma ética conforme a qual a previsão das regras do jogo através de uma constituição garante a legitimidade do poder (uma legitimidade *a priori*). Dito de outra forma, as leis são legítimas se legitimamente sancionadas; e a sanção é legítima se em conformidade às leis que prescrevem o procedimento a ser seguido (BENDIX, 1960, p. 392). Esta seria uma forma tradicional de compreender a expansão do poder judiciário por ser este o guardião da lei que prescreve os procedimentos a serem seguidos: a constituição. Nesta

visão weberiana, ordem legal, burocracia, jurisdição compulsiva sobre um território e monopolização do uso legítimo da força são as marcas de um estado moderno (ibidem). Dentro desta ideia, a constitucionalização responderia a uma tarefa de dupla dimensão no desenvolvimento econômico-institucional: (i) a existência de leis previsíveis para o bem do mercado; e (ii) um regime jurídico que proteja a formação de capital e assegure a propriedade. Em outras palavras, a constitucionalização de direitos seria vista como uma forma de aumentar a credibilidade de um regime e incrementar a habilidade de sua burocracia para garantir a execução de contratos, a ação de investidores e, assim, aumentar o incentivo àqueles que queiram investir, inovar, desenvolver. Com efeito, Weber (2004, p. 153) argumentou que o traço fundamental para que qualquer economia de mercado seja bem-sucedida é a preservação do “interesse da lealdade comercial”.

Outra abordagem de tipo funcionalista seria aquela conforme a qual, a expansão do poder judiciário deriva de sistemas políticos dispersos, cronicamente fragmentados, fragilizados, fracamente integrados e descentralizados. Isto é, quanto menos funcional é o sistema político em dada sociedade, maior a probabilidade de expansão do poder judiciário sobre a comunidade política (HIRSCHL, 2007, p. 34). Nesse caso, a constitucionalização seria uma forma de superar a ingovernabilidade política, assegurando o funcionamento “normal” das instituições e, assim, representaria uma solução inevitável para que sistemas políticos fragmentados funcionem, ensejando uma correspondente expansão do poder judiciário (ibidem, p. 35). A explicação mais comum para a crescente judicialização da política brasileira ilustra bem esta ideia. Para alguns autores, as últimas décadas têm revelado mudanças culturais que provocaram mutações na ordem constitucional e no poder judiciário. A inoperância dos outros poderes, em especial, a omissão patológica do poder legislativo, teria ensejado a cada vez mais frequente incursão de juízes na efetivação de direitos sociais – como o direito à saúde – decorrente do seu dever de não só interpretar a constituição, mas também de torná-la efetiva (KOERNER, 2013, p. 72).

Ainda nesta perspectiva funcionalista, outra explicação por trás do protagonismo do poder judiciário nas últimas décadas seria a proliferação generalizada de anéis burocráticos do Estado e a correspondente emergência de uma multiplicidade de agências administrativas e reguladoras autônomas (HIRSCHL, 2007, p. 35). De acordo com esta teoria, um poder judiciário independente e *ativo* seria necessário para monitorar eficazmente a pulsão tentacular do estado administrativo. Owen Fiss (1979) é um expoente desta abordagem. Para ele, enquanto ramos de poder coordenados com o

governo, os tribunais não têm somente o direito, mas o dever de fazer políticas públicas. Ainda que entenda que esta sempre foi a função da adjudicação constitucional, o autor defende que no estado administrativo moderno, a tarefa em mãos consiste em promover reformas estruturais, particularmente, à burocracia governamental, desenvolvendo instrumentos amplos o bastante para reestruturar e transformar organizações que ameaçam valores constitucionais básicos. Nesta linhagem funcionalista, Rubin e Feeley (1998) argumentam que formular a política pública é uma função das cortes modernas tão tradicional e legítima quanto à interpretação de textos normativos. Para sustentar este argumento, os autores apresentam um estudo de caso sobre a reforma do sistema prisional norte-americano, entre 1965 e 1990, momento descrito como em que as políticas judiciais foram mais pujantes na história dos Estados Unidos. Como sintetiza Ran Hirschl (2007), esta visão se consubstancia no fato de que com a emergência de um estado que incorpora noções de gestão e governança, como propulsor ativo de políticas públicas, em detrimento de seu papel tradicional de arbitrar conflitos, surge a necessidade simétrica de um judiciário igualmente *ativo*, propulsor de políticas públicas. Contudo, o autor contrapõe que estas abordagens se embasam em uma compreensão simplista da sociologia de comunidades políticas divididas, e que ignora a ação auto-interessada dos detentores de poder político na expansão do poder judiciário como uma tentativa de conformar o arranjo institucional às suas agendas (ibid., p. 213).

TEORIA DA AQUISIÇÃO EVOLUTIVA. Em perspectiva sócio-normativa, a abordagem da aquisição evolutiva assinala que a constitucionalização é uma autodescrição externalizada do poder político, que permite à sociedade simplificar e criar precondições necessárias à transmissão de poder (THORNHILL, 2012, p. 136). A formulação mais ampla e bem articulada desta corrente é a concepção do direito como sistema autopoietico (LUHMANN, 1990). Grosso modo, enquanto as sociedades antigas se organizavam segundo princípios de segmentação ou hierarquia, as sociedades modernas se organizam de acordo com um princípio de diferenciação funcional; enquanto as primeiras se estruturam por um centro ou sistema dominante, as últimas são constituídas por uma série de subsistemas (arte, economia, ciência, religião, etc.), todos eles autopoieticos, cada qual com um modo de funcionamento e um código próprios. O direito é um desses subsistemas, um sistema de comunicações jurídicas, que funciona com o seu próprio código binário: legal/ilegal. Dentro desta ideia, “o direito só regula a

si próprio. O direito é o ambiente que rodeia os outros subsistemas sociais tal como estes são o meio-ambiente do direito” (SANTOS, 2001a, p.159).

No que diz respeito à constituição, importante ferramenta conceitual desta *abordagem evolutiva* é o conceito de “improbabilidade”. Em *Autopiesis, Ação e Entendimento Comunicativo*, Luhmann (1997) propõe uma teoria da comunicação que parte, de forma contra-intuitiva, de sua improbabilidade. A comunicação é improvável e, para chegar a ocorrer, deve superar esta improbabilidade. Não ocorre por mero azar, mas por uma *aquisição evolutiva* (Id., p. XXXII). Nesta perspectiva, para a sociologia luhmanniana, o problema da constituição é colocado em termos evolutivos. Pois, a constituição seria “uma aquisição evolutiva que responde a condições socioculturais que, no arco de pouco mais de um século, transformaram-se profundamente” (CORSI, 2001, p.172). Desta forma, ela facilitaria a comunicação entre direito e política, mas graças a ela própria que estes sistemas tornam-se capazes de alcançar níveis de complexidade outrora inimagináveis. Em *A Constituição como Aquisição Evolutiva* (1990), Luhmann propõe que a constituição confere uma abertura cognitiva ao direito, do ponto de vista da política, e vice-versa.

A diferenciação funcional entre sistema jurídico e sistema político não pode ser controlada nem por uma parte, nem pela outra. A partir do momento que o sistema político resolve com a Constituição os problemas de sua própria referenciabilidade, esse emprega portanto o direito. Esse emprego do direito só pode funcionar, no entanto, porque os sistemas não são congruentes, porque não se sobrepõem nem mesmo em uma medida mínima, mas, ao contrário, o sistema político pode se servir do sistema jurídico mediante hetero-referenciabilidade e, assim, mediante o recurso a um outro sistema funcional. (LUHMANN, 1990, p. 18)

Nestes termos, “do ponto de vista organizacional, a Constituição é um instrumento admirável, capaz de reduzir e, portanto, também de aumentar a complexidade alcançável pelo sistema jurídico” (CORSI, 2001, p. 179). “Frente a esse pano de fundo teórico, surge com clareza o incremento de complexidade alcançado com a separação e a conexão entre sistema político e sistema jurídico” (LUHMANN, 1990, p. 19). Com efeito, conforme o constructo luhmanniano, a constituição implica o valor político das decisões jurídicas e o valor jurídico das operações políticas. Este modelo, vale dizer, amplamente minoritário no campo jurídico, apresentaria um quadro de referência mais refinado para avaliar a expansão do judiciário na contemporaneidade.

Com essa formulação, Luhmann pretende descrever a situação na qual o direito e a política são completamente autônomos e, mediante uma estrutura comum – a

constituição – especificam, de modo extremamente circunscrito, as possibilidades de “se irritarem” reciprocamente. Vale dizer, o termo “irritação” (ou, “perturbação”), nesse caso, expressa a capacidade de reação a situações ou eventos gerados por fatores externos: “a invenção da Constituição é, sobretudo, uma reação à diferenciação (moderna) entre Direito e Política e uma tentativa de resolver (ou esconder!) os seus problemas” (CORSI, 2001, p. 173). Através dela dá-se o que a teoria dos sistemas autopoieticos denomina “acoplamento estrutural”. Nesta medida, as constituições “despolitizam” o poder, “delimitando as periferias do sistema político através dos direitos” (THORNHILL, 2012, p. 141). Com efeito, as constituições “imunizam” a sociedade contra a hipertrofia do poder político, restringindo a politização de certos conteúdos e criam condições operativas para a estabilidade da sociedade em seu conjunto (ibid., p.142). Supremas cortes e tribunais constitucionais situar-se-iam na fronteira entre os sistemas jurídico e político, sendo um dos componentes mais importantes no acoplamento estrutural destes dois sistemas. Como sustentou Luhmann (1991, p.30): “nesse caso, há dois sistemas estruturalmente acoplados e que por isso tendem reciprocamente a entrar em atrito. Para não aparecer como política, a interpretação da Constituição torna incerto o ordenamento jurídico”.

Com a expansão do poder das cortes, destoando da proposta luhmanniana, Willis Guerra (2018, p. 181) tem argumentado que estas organizações estariam não mais no centro do sistema jurídico, migrando para sua periferia, onde aquele se acopla com o sistema da política. Mais que isso, o autor coloca que estaríamos a viver um colapso, em que o sistema (jurídico) imunológico da sociedade pode ser descrito como um problema similar ao de um organismo que sofre de uma disfunção autoimune: aquilo que tem por objetivo proteger é o que destrói, ilustrando as minorias como *homo sacer*, vida puramente biológica e, enquanto tal, matável (GUERRA FILHO, 2014, p. 32). Em suma, esta “crise autoimunitária do direito” revelaria que o ser humano é, assim, um ser abandonado pelo próprio direito que deveria protegê-lo (CANTARINI, 2018, p 168). Nesta junção, o fenômeno jurídico não pode ocorrer sem gerar tensões do ponto de vista da legitimidade política; este “mal-estar” tem se desdobrado no Brasil como a “judicialização da política” (KOERNER, 2013, p. 72). No âmago deste fenômeno, o poder judiciário surge como último recurso para a proteção da vida de minorias de saúde, ao mesmo tempo, gerando uma crise no sistema sanitário, que afeta os diversos paradigmas em que é concebido o direito à saúde no Brasil. Porém, se o enfrentamento dos desafios postos pelos litígios por acesso a medicamentos para doenças raras parece

promissor sob o ângulo da “crise autoimunitária do direito”, a abordagem luhmanniana assenta-se na concepção de autonomia do direito no Estado liberal que, como defende Boaventura de Sousa Santos (2001a, 160), é uma concepção “mistificatória”. Para ele, “a redução do direito a direito de Estado, levada a cabo pelo Estado constitucional do século XX, transformou a autonomia do direito *frente* ao Estado em autonomia do direito *dentro* do Estado” (ibid.). Desse modo, nos termos da teoria da natureza autopoietica do direito, a autonomia do direito estatal fica reduzida à especificidade operacional de instrumento da intervenção do Estado. Como Boaventura tem vindo a argumentar, “a falsa questão reside no pressuposto de que a especificidade operacional do direito é suficientemente ‘material’ para que possa questionar-se o direito estatal sem questionar o Estado” (SANTOS, 2001a, p. 161).

TEORIA DA PRESERVAÇÃO HEGEMÔNICA. Como forma de superação de boa parte das teorias anteriormente expostas, Ran Hirschl (2007) apresenta uma explicação estratégica, orientada pela ciência política, para a expansão do poder judiciário, segundo a qual, sob certas circunstâncias, os detentores de poder político podem potencializar a sua hegemonia atando as próprias mãos. Conforme o autor, a expansão do judiciário através da constitucionalização de direitos seria um subproduto de uma interação estratégica entre três grupos-chave: elites políticas que buscam preservar ou fortalecer sua hegemonia por meio do isolamento da tomada de decisão em relação às vicissitudes do processo democrático; elites econômicas que enxergam na constitucionalização de certas liberdades econômicas um meio pelo qual promover uma agenda neoliberal de desregulação econômica, anti-estatismo e anti-coletivismo; e elites judiciais que buscam aumentar seu poder simbólico e reputação internacional (HIRSCHL, 2007, p. 43). Em suma, para ele, esta tríplice aliança – de elites políticas, econômicas e judiciais que conjugam interesses compatíveis – está propensa a apoiar a delegação de poder ao judiciário, sobretudo, quando sua hegemonia é desafiada por grupos periféricos em arenas deliberativas de decisão majoritária (ibid., p. 214).

Sem embargo, o autor insere variáveis de controle, segundo as quais a tese da preservação hegemônica seria mais propensa de ocorrer em países em que (i) o judiciário goze de reputação pública de profissionalismo, imparcialidade e honestidade; (ii) os processos de escolha das elites judiciais sejam altamente controlados pelas elites políticas hegemônicas; (iii) e a jurisprudência constitucional presumivelmente espelhe as preferências políticas e culturais destas elites hegemônicas. Nestas condições, a

expansão do poder judiciário seria um meio através do qual as elites políticas poderiam ocultar suas preferências ideológicas contestadas pela pressão popular, especialmente quando processos decisórios majoritários não operam em seu favor (HIRSCHL, 2007, p. 44). Este argumento contra-intuitivo demonstra um comportamento auto-interessado dos políticos eleitos em relação ao processo de hipertrofia do poder judiciário. Conforme a abordagem da preservação hegemônica, do ponto de vista do político, delegar a competência para a tomada de decisão a tribunais pode ser uma maneira eficaz de reduzir os custos políticos da tomada de decisão, assim como uma forma de transferir a responsabilidade, e, com efeito, reduzir os riscos para eles próprios e para os aparatos institucionais em que operam. Se a delegação de poder incrementar o ganho e/ou reduzir o grau de responsabilidade atribuído a ele como resultado da decisão tomada pelo órgão delegado, esta delegação poderá ser benéfica. Em conclusão, o esvaziamento do poder decisório das legislaturas e dos executivos e sua investidura em cortes pode se tornar atrativa para detentores de poder político quando as disputas emergentes são por eles indesejadas, principalmente por não apresentar a possibilidade de ganho em disputas ideológicas (ibid., p. 39). Ainda conforme esta tese, e não menos importante que isso, onde nenhum partido e nenhum grupo social dispõem de hegemonia suficiente para gerir seu projeto político no longo prazo, e esta elite no poder não tem a expectativa de se manter nele, a transferência de poder ao judiciário pode surgir como uma forma de proteger seus interesses políticos no futuro (ibid., p. 41). Em termos reais, como observa José Eduardo Faria (1989), buscando entender o alcance, o sentido e o impacto da Carta Política de 1988 sobre o processo de desenvolvimento político do Brasil, a preocupação das elites hegemônicas estava no dia subsequente à Assembleia Constituinte:

De modo sutil, certos constituintes aprovaram em plenário a concomitância formal de direitos e prerrogativas pensando, no entanto, em valer-se da “batalha regulamentar” para impedir uma simultaneidade real desses mesmos direitos e prerrogativas. (FARIA, 1989, p. 65)

Outrossim, as batalhas diárias da vida pós-constituente apresentam enclaves históricos entre os detentores de poder econômico e político, que tendem a aderir a uma agenda cosmopolita, de uma economia aberta, de igualdade formal e de uma autonomia individual de tipo lockeana (HIRSCHL, 2007). Neste contexto, a expansão do poder judiciário tratar-se-ia de um pacto estratégico entre elites hegemônicas, que desejam a insularização de suas posições em face da fortuna transformadora da democracia. Pois, em suma, a judicialização fornece um refúgio conveniente para políticos que desejam

furtar-se em tomar decisões políticas ou morais difíceis (ibid., p. 213). Com efeito, há que ser céptico quanto à possibilidade de que a constitucionalização de direitos realize uma genuína justiça distributiva (ibid., p. 218). Nesta visão, a transmissão de poder político aos tribunais seria o desdobramento de um fenômeno multifacetado, que extrapola em muito o conceito hoje difundido de controle judicial de políticas públicas:

A judicialização da política hoje inclui a transferência maciça de algumas das controvérsias políticas mais pertinentes e polêmicas que uma democracia pode contemplar para as cortes. Aquilo que foi vagamente denominado como “ativismo judicial” evoluiu para além das convenções existentes encontradas na literatura da teoria política normativa. Uma nova ordem política – a juristocracia – foi rapidamente se estabelecendo mundo afora. (HIRSCHL, 2007, p. 222)

Conforme veremos no estudo a seguir, estes modelos de análise se entrelaçam e se justapõem no caso da judicialização de medicamentos órfãos. Se, por um lado, há um componente político auto-interessado crucial neste fenômeno, por força do qual o protagonismo dos juízes está longe de ser um acidente de percurso, ou um vácuo de poder; por outro, nele há explícitos incentivos do poder executivo a fim de evitar o alto custo político de se sujeitar ao constrangimento de agências regulatórias. Há, ainda, fatores a sugerir interesses econômicos na judicialização como forma de obter ganhos em face da regulação estatal, ensejando a livre circulação de capitais de transnacionais farmacêuticas e, ao mesmo tempo, uma deslegitimação ideológica do Estado facilitador, que, por sua vez, desestabiliza o sistema público de saúde.

Afinal de contas, seriam os detentores de poder político os maiores interessados em transferir o seu poder decisório para a esfera judicial no caso da judicialização de medicamentos para as doenças raras? Quais seriam os desdobramentos *bioconstitucionais* desta transferência? Nas páginas que seguem, buscaremos descrever em que medida este fenômeno gestaria consequências políticas mais generalizantes. Apresenta-se um estudo de caso descritivo que conta com uma ampla variedade de evidências: recortes de jornais, entrevistas qualitativas com grupo focal e informantes-chave, trechos de perícias legais, sentenças e observação participante. Antes, porém, importa uma consideração, ainda que breve, sobre o panorama geral da conflituosidade em saúde no Brasil e como este fenômeno vem gerando no campo acadêmico interpretações discrepantes. Desta maneira, a título introdutório, algumas proposições teóricas serão previamente desenvolvidas, através da revisão da literatura a respeito da judicialização da saúde, para fins de conduzir a coleta e a análise dos dados.

5.2. O panorama da “sobrecarga” de litigiosidade em saúde no Brasil

É interessante observar que o processo de “judicialização do direito à saúde” discutido no presente capítulo não existe apenas no Brasil. A literatura a seu respeito é abundante em países como Colômbia (GARAVITTO, 2011) e Argentina (BERGALLO, 2011), mas a tendência vem aparecendo também em outros como África do Sul, Chile, Costa Rica, Índia, Indonésia e Nigéria (STUWE, 2012). Não por acaso países que passaram por reformas de constitucionalização nas últimas décadas. Sem embargo, em termos quantitativos não há fenômeno similar em direito comparado. Pois, o número de conflitos em matéria de garantia do direito à saúde no Brasil é surpreendente, alçando o país à posição de “líder mundial da judicialização” (ibid., p. 32).

Como observou Luiz Carlos Romero (2008, p. 18), um dos pioneiros no tema a realizar uma espécie de “genealogia da judicialização”, até 2001, houve a ocorrência de um número pequeno de ações, 88% iniciadas por portadores de AIDS requerendo o fornecimento de antirretrovirais. A partir de 2002, o número de ações sofreu um incremento significativo e diversificou-se em relação ao tipo de paciente que requeria a proteção jurisdicional, passando a incluir pacientes com câncer (16,3% das ações), hepatite C (9,0%), artropatias (8,1%), esclerose múltipla (5,9%), transtornos mentais (5,9%), doenças neurológicas (5,0%) e osteoporose (4,5%). Assim, o espectro de doenças e pacientes que requerem a proteção jurisdicional cresceu e se diversificou, chegando, por esta senda, aos portadores de doenças raras:

Portadores de doenças raras (síndrome de Gaucher, fibrose cística, esclerose lateral amiotrófica, doença de Fabri, síndrome de Byler e síndrome de Sjörgren), em ações pessoais ou impetradas por associações de doentes, pleitearam o fornecimento de medicamentos – em geral experimentais ou fora do mercado brasileiro e de elevado custo – a partir de 2000, mas, principalmente, durante os anos de 2003 e 2004. Eles representam, no entanto, menos de 5% do total de ações do período. (ROMERO, 2008, p. 18)

As pesquisas empíricas acerca da judicialização da saúde demonstram, em linhas gerais, que o direito à saúde no Brasil tem sido mobilizado majoritariamente visando apenas um dos aspectos da cobertura sanitária, a saber, a dispensação de medicamentos. Grande parte da produção acadêmica brasileira sobre a “judicialização da saúde” enfoca nos aspectos negativos deste fenômeno para a regulação da política pública, para ideais de justiça distributiva, pelo fornecimento de medicamentos sem registro, ou então, por sua suposta cooptação pelas indústrias farmacêuticas. Entre os

achados de um estudo que empreendeu uma revisão bibliográfica nas bases *Scielo* e da Biblioteca Virtual em Saúde, sobre uma amostra de 39 artigos, publicados entre 2001 a 2011, os temas mais citados foram:

(1) A judicialização da saúde pode ser uma fonte do atendimento a interesses privados, no caso, as indústrias farmacêuticas (17, 94%), (2) Não é razoável a condenação do estado ao custeio de medicamentos sem registro, não protocolados ou tratamentos ainda considerados experimentais, uma vez que estes por vezes ainda não tiveram sua eficácia comprovada e que em sua maioria são considerados de alto custo (17,94%), (3) A judicialização pode ser um risco para a continuação de políticas públicas de saúde, (4) A judicialização deixa de lado o ideal de justiça distributiva (23, 04%) e (5) Faz-se necessária uma análise mais criteriosa pelo Poder Judiciário antes de conceder como favorável a determinação deste tipo de demanda. (BRITO, 2011, p.22)

Argumentos emanam no sentido de que as demandas individuais geram riscos para a universalização do direito à saúde, desvirtuando o seu conceito e fazendo com que o judiciário reforce desigualdades (SANTOS, 2006; VIEIRA & ZUCCHI, 2007; CHIEFFI & BARATA, 2009; FERRAZ, 2009; MACHADO et al., 2011; PEREIRA et al., 2010; SILVA & TERRAZAS, 2011; MACEDO et al., 2011). É comum, neste sentido, o questionamento se tais ações demonstrariam privilégios no acesso à jurisdição, de maneira a beneficiar uma “minoría socioeconomicamente privilegiada”, com maior acesso à informação, à assistência jurídica e ao sistema de justiça (FERRAZ, 2011; WANG & FERRAZ, 2013; VENTURA, 2016, p. 200-210).

Os autores desta corrente de estudos buscam caracterizar as ações judiciais analisando principalmente dados como a natureza da representação processual (se pública ou por advogado privado), origem da receita médica (se advinda do SUS ou clínica privada) e endereço de residência do paciente informado nos autos combinado com o índice de desenvolvimento humano do bairro e aspectos demográficos, epidemiológicos e exposições ambientais desta.

O estudo realizado por Wang & Ferraz (2013) merece atenção especial por como propõe responder se os advogados públicos têm concentrado seus esforços nas prioridades sanitárias dos setores mais pobres da população (idem, p. 169), concluindo que o litígio em saúde não deveria cessar, mas estender-se àqueles que mais necessitam. Portanto, o problema seria de acesso à Justiça. Restaria saber se suas premissas resistiriam a um enfoque que considere a existência de pessoas com doenças raras e ao movimento do acesso à justiça. Pois bem, os autores assentam sua premissa em que: “se

há algum agente capaz de fazer uso de estratégias de litígio para melhorar políticas de saúde destinadas às pessoas mais necessitadas, provavelmente seriam esses advogados públicos” (ibid.). Contudo, Mauro Cappelletti & Bryant Garth (2015, p. 34), baluartes do movimento de acesso à justiça, divergem dessa posição que confia apenas na máquina estatal para proteger interesses públicos e de grupos, concluindo ser “inadequado confiar apenas no Estado para a proteção dos interesses difusos”.

Ademais, utilizar dados empíricos sobre o perfil socioeconômico dos litigantes, de acordo com o Índice de Desenvolvimento Humano (“IDH”), combinado com o Índice de Necessidade em Saúde (INS) de seus bairros, como fazem os autores, não bastaria para determinar a origem socioeconômica do “grupo litigante”. Embora seja sociologicamente plausível aferir um perfil socioeconômico através da amostragem do seu entorno, pacientes litigantes que, p. ex., fazem uso contínuo de medicamentos possuem características comuns, não necessariamente com a sua vizinhança, mas com pacientes que compartilham da mesma condição. Dada a ausência de uma análise mais profunda que permita a dimensão do real tamanho da população investigada, esta correlação corre o risco de ser espúria. Ainda, a formulação das premissas possui outra deficiência no sentido de ignorar uma nuance relativa à coleta de dados quando se tem em conta demandantes com doenças raras. As doenças raras de maneira geral, e sobretudo as genéticas, não têm como fatores determinantes classe social, comportamentos de risco ou exposições ambientais. Ou seja, doenças raras não escolhem classe social. Em se tratando de 6% da população, a chance de ocorrer apenas em classes abastadas é muito baixa. Em conclusão, esta fotografia do “modelo de litígio” da saúde, apesar de plausível, não dialoga com o estado da arte quando se tem por recorte o acesso à justiça por aqueles que mais precisariam dele para sobreviver.

Em diâmetro oposto, uma robusta corrente de estudos vem defendendo que a judicialização da saúde para quem apresente necessidades diferenciadas, como as pessoas portadoras de doenças raras, é e sempre será uma importante via de acesso a serviços e produtos que não estão incorporados ao sistema público de saúde (AITH et al., 2013; OLIVEIRA et al., 2011; MEDEIROS et al., 2013; AITH, 2014; DALLARI, 2015; BIEHL & PETRYNA, 2016). Eis-nos, então, colocados perante o “dilema existencial” do direito à saúde contemporâneo. Surgem-nos claramente duas alternativas como modo de conceber o seu conceito: uma orientação que parte da premissa de que a judicialização beneficiaria uma “elite judicial” e, ademais, deveria ser reduzida como causa eficiente para o equilíbrio das contas públicas; e outra tendência que busca

enfrentar os desafios à universalidade e à integralidade do SUS não só, mas também, impostos pela judicialização, notando que “não há qualquer legitimidade nem mesmo uma sombra de legalidade a sustentar que o substantivo **todos** seja compreendido como **alguns** na dicção do artigo 196 da Carta Constitucional brasileira de 1988” (DALLARI, 2018, p.7), e que caminha no sentido de uma “justiça sanitária”, segundo a qual alguns cidadãos têm lutado para serem reconhecidos como portadores de certas doenças, que lhes garantem o acesso a um conjunto de direitos e cuidados (NUNES, 2009, p. 145).

E, se é certo que entendemos ser a segunda orientação, como restará claro, não apenas teoricamente mais correta, como também a mais adequada à realidade do direito brasileiro, fato é que entre esses dois polos oscilam as principais concepções e problemas das conquistas sociais da primeira metade do Século XX, que vem sendo paulatinamente atacadas, como diz Sueli Dallari (2018, p.7), “sempre em razão do argumento econômico, afirmando-se a insuficiência de rendas nos Estados para implementá-las”. E conclui a expoente do campo do direito sanitário: “Ora, ‘todos’ não significa apenas aqueles que não tenham condições financeiras. A saúde é direito de todos, sem distinção de qualquer natureza, inclusive de condição financeira” (ibid.). Com efeito, na perspectiva adotada pela primeira corrente, segundo a qual o direito à saúde deve ser distribuído “de maneira não neutra com o objetivo de melhorar as condições de saúde dos mais necessitados” (WANG & FERRAZ, 2013, p. 169), haveria flagrante inconstitucionalidade, visto que parte da premissa (ainda que “humanitária”) de que a saúde no Brasil é direito apenas dos “necessitados”, e reporta sem especificar a judicialização de medicamentos para doenças prevalentes (comuns) e para as doenças raras. Nesse diapasão, asseverou Sueli Dallari, ao comentar o julgamento do recurso repetitivo n. 106 pelo Superior Tribunal de Justiça (REsp 1657156, j. em 04/05/2018): “Basta! Nenhuma inconstitucionalidade é conveniente!” (DALLARI, 2018, p. 7-8).

Pesquisas empíricas têm apresentado inúmeras experiências implementadas pela Defensoria Pública em todo o Brasil, demonstrando que a atuação cada vez maior do órgão nestas demandas tem feito que a população de baixa renda seja incluída neste fenômeno. Cumpre destacar, no Distrito Federal, a representação dos autores neste tipo de demanda foi feita pela Defensoria Pública em 95,4% dos casos (MARQUES & DELDUQUE, 2009, p. 101). Há, ainda, outros estados onde o número de litigantes representados por defensores excede àqueles defendidos por advogados particulares. Uma análise realizada por um grupo de pesquisadores (BIEHL et al., 2012) em um banco de dados – cuja amostragem até o momento é a maior que se tem registro – com

informações coletadas em 1.080 ações judiciais, contra o estado do Rio Grande do Sul para obtenção de medicamentos, sugere que os pacientes que procuram tratamentos recorrendo aos tribunais são, em sua maioria, pessoas pobres (53% recebia menos que um salário mínimo), que estão fora do mercado de trabalho ou aposentadas (71%) e que dependem do sistema público para obter tratamento médico e representação jurídica (59% representados por um Defensor Público). Ademais, na vasta maioria dos casos (92%) a população litigante residia fora da Capital estadual. Neste sentido, eles concluem que a via judicial se tornou uma instância ou um caminho alternativo para o acesso a tratamentos médicos (BIEHL et al. , 2012, p. 14).

Por sua vez, Chieffi e Barata (2010, p. 422) sugerem a existência de *lobby* da indústria farmacêutica junto a associações de portadores de doenças crônicas, fazendo com que tanto estes quanto os médicos prescritores passem a considerar imprescindível o uso de novos medicamentos. Assim, ao averiguar uma concentração das ações judiciais tanto em relação aos medicamentos solicitados como aos advogados e médicos, as autoras enxergam indícios de uma possível atuação dos fabricantes de medicamentos junto a *advocacy groups* como forma de introduzir novos medicamentos no SUS (ibid., p. 428). No entanto, falta a esta leitura do fenômeno da judicialização um olhar a partir da literatura que aponta a emergência de novas formas de “biossociabilidade”, isto é, de agrupamentos formados ao redor de uma identidade biológica comum, fruto do ativismo daqueles que recusam para si o *status* de “pacientes” (ROSE & NOVAS, 2003, p. 6), bem como do que seja o *lobby* propriamente dito. Pois, como bem observa Didier Tabuteau (2013, p. 4), não se pode comparar o *lobby* de uma associação de doentes para fortalecer a luta contra sua doença com atos de corrupção adotados por certos atores e vedados pelo código penal.

Merece destaque estudo realizado por Louisa Stüwe (2012), que empreende uma rigorosa revisão bibliográfica, nas bases de dados SciELO, Biblioteca Virtual em Saúde (BVS), JTOR, *Science Direct*, *PubMed* e *World Bank Library Network*. Em um universo de 58 publicações sobre a judicialização da saúde, os achados da autora demonstraram que a demanda judicial tem por objeto majoritário medicamentos que não constam de uma lista oficial da assistência farmacêutica. Observa, com isso, que embora a literatura apresente diferenças acerca da quantidade de medicamentos judicializados que constem da política de assistência farmacêutica do SUS, a adequação das listas de dispensação vigentes é algo de fundamental importância, sendo necessário rever os critérios de incorporação de novas tecnologias. Aponta, ainda, uma possível influência

da indústria biomédica nas demandas judiciais, acompanhando um déficit no uso de protocolos clínicos pelo Estado (STÜWE, 2012, p.17). Neste sentido, falta transparência aos critérios de segurança e eficácia pelos quais a incorporação de medicamentos às listas da assistência farmacêutica é realizada (BIEHL et al., 2012; YUBA et al., 2018).

Como proposição teórica que conduzirá a coleta e a análise dos dados a seguir, a judicialização de medicamentos possuiria diferentes escalas: (i) uma que cuida de medicamentos que constam da política nacional de assistência farmacêutica e supostamente deveriam estar disponíveis na rede pública, refletindo nada mais que uma falha da administração na entrega destes produtos; (ii) outra, frequente nos diários policiais, como as operações Asclépio²⁴ e Garra Rufa²⁵, que sugere a existência de uma indústria das ações judiciais que tem por fim promover o uso de medicamentos *off label* sem nenhuma eficácia ou que não passariam pelo crivo dos órgãos regulatórios responsáveis; e finalmente (iii) o caso em que um medicamento sem alternativa terapêutica não é fornecido no Sistema Único de Saúde (SUS) porque, embora registrado na ANVISA, ou no país de origem, sua incorporação ao SUS não foi analisada ou indeferida pela CONITEC. Identificaremos, a seguir, o grupo que participaria com maior frequência desta última modalidade de judicialização.

5.3. Coleta de Dados: o desabastecimento do Soliris® entre 2016 e 2018

Como observaram Biehl & Petryna (2016, p. 179) em primorosa etnografia: “o modelo pautado por direitos e ações judiciais que serviu de base à reivindicação do acesso ao tratamento da AIDS foi adotado por outros grupos de pacientes, que agora também lutam na justiça pelo direito a medicamentos”. Este seria o caso daqueles que necessitam de tratamentos não incluídos nas listas oficiais da assistência farmacêutica, como os portadores de desordens raras, como a síndrome hemolítico urémico atípica (SHUa) e a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). O medicamento indicado para estas doenças, o Soliris®, produzido pela Alexion Pharmaceuticals Inc., teve sua

²⁴ Neste caso, o laboratório Aegerion Pharmaceuticals fornecia um relatório padrão do diagnóstico de uma doença rara chamada hipercolesterolemia familiar homozigótica. Os médicos, então, prescreviam o medicamento Lomitapida (de nome fantasia Juxtapid) orientando os pacientes a demandar judicialmente o SUS pelo fornecimento do remédio. A fundo, os pacientes brasileiros serviam, sem saber, como cobaias no processo de aprovação do medicamento na fase final do ensaio clínico pelo FDA nos Estados Unidos.

²⁵ Investigação em que médicos ligados à Associação dos Portadores de Vitiligo e Psoríase do Estado de São Paulo emitiam laudos pelos quais demandava-se em juízo o direito ao recebimento de determinado medicamento e recebiam dos representantes dos laboratórios vantagens financeiras, viagens ao exterior e prêmios por cumprirem com metas. Cinco pacientes-litigantes sequer tinham a doença.

compra suspensa pelo Ministério da Saúde (MS) entre 2017-2018. Parece promissor o estudo deste caso, visto que vem comovendo toda a comunidade das doenças raras no Brasil. A SHUa é uma desordem rara causada pela desregulação de um componente do sistema imunitário que combate as infecções e serve como máquina de limpeza endógena de células mortas. Ela causa trombozes e inflamações que podem levar à lesão de órgãos, incluindo o cérebro, rins, coração e órgãos gastrointestinais. Em um primeiro episódio, de 2 a 10% dos portadores vão a óbito e um terço progride para insuficiência renal (LOIRAT & FRÉMEAUX-BACCHI, 2011). Sua incidência é ainda imprecisa, mas fala-se em 2 indivíduos a cada milhão de pessoas (ibidem, p.2). Por sua vez, a HPN é considerada uma anemia hemolítica crônica, doença adquirida que resulta na mutação de um gene da medula óssea, que conduz ao risco de eventos trombóticos graves. Nas pessoas que padecem desta doença, células mutadas se proliferam (clonam-se) rapidamente, dando lugar a um grande número de glóbulos vermelhos defeituosos, que se autodestroem de forma contínua, podendo afetar a vários órgãos e conduzir à morte. Estima-se uma prevalência de aproximadamente 16 casos em cada 1 milhão de pessoas (SCHUBERT et al., 2012, p.2), com incidência anual estimada em 1,3 novos casos por um milhão de indivíduos (CONITEC, 2018).

Não existe cura para estas doenças. O Eculizumabe (Soliris®) é o único tratamento que fornece uma opção para tratar os pacientes que tem demonstrado reduzir as complicações associadas a estes distúrbios, melhorando a qualidade de vida e prolongando o tempo de sobrevivência (SCHUBERT et al., 2012). Ocorre que o Soliris® é considerado um dos remédios mais caros do mundo (LUZZATTO et al., 2018, p. 1). Cada dose deste medicamento, do porte de uma colher de chá, custa em média US\$18.000. Os pacientes portadores de HPN ou da SHUa necessitam de ao menos 26 doses ao ano, talvez pelo resto de suas vidas. O Eculizumabe é o único medicamento atualmente produzido e comercializado pela Alexion, mas resultou em uma receita líquida de mais de US\$6 bilhões entre 2010 e 2015 (LANCET, 2015). Enquanto, em 2016, as vendas do produto garantiram à Alexion US\$3 bilhões e o valor de mercado da companhia chegou a US\$25 bilhões em 2017 (BLOOMBERG, 2019).

Em abril de 2018, o Superior Tribunal de Justiça (STJ), atendendo solicitação da Advocacia Geral da União (AGU), tomou a surpreendente decisão de quebrar a patente do Soliris®. A AGU defendia que patentes de medicamentos e de produtos químicos registradas entre janeiro de 1995 e maio de 1996 (caso do Soliris®) já expiraram, o que possibilitaria a concorrência de genéricos. O intervalo se refere ao

período entre a assinatura do acordo internacional de proteção à propriedade intelectual (TRIPS, na sigla em inglês) e o início da vigência da legislação brasileira de propriedade industrial. Nesse particular, a Corte entendeu que:

Tratando-se de medicamentos, adiar a entrada em domínio público das invenções significa retardar o acesso ao mercado de genéricos, causando, como consequência, o prolongamento de preços mais altos, o que contribui para a oneração das políticas públicas de saúde e dificulta o acesso da população a tratamentos imprescindíveis. (STJ, REsp 1.721.711)

Por sua vez, em outubro de 2018, após pedido da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do MS (SCTIE), a CONITEC avaliou a incorporação do Soliris® no SUS para o tratamento da HPN. Sua recomendação se embasou na avaliação econômica de custo-efetividade do Eculizumabe em relação ao custo médio de tratamento “convencional” no SUS de R\$819,00 para o tratamento de anemia hemolítica, comparando o valor da droga com o valor de transfusões ambulatoriais e hospitalares (ver Tabela 5). Logo, a “custo-efetividade extrapolou os precedentes históricos”, de modo que a CONITEC recomendou a não incorporação do Eculizumabe no SUS para o tratamento de pacientes com HPN:

A razão de custo-efetividade incremental foi de R\$22.468,00 por quinzena livre de transfusão, que extrapola os precedentes históricos, principalmente em função das evidências de modestos resultados clínicos do medicamento, no qual os pacientes, mesmo em uso do Eculizumabe, poderão ainda precisar de transfusão. (CONITEC, 2018, p 83).

Por outro lado, de se registrar que, conforme informantes-chave entrevistados, a utilização do custo médio de transfusões como elemento de comparação para avaliação econômica do Soliris® seria tecnicamente equivocada a não ser que a comparação tivesse por objeto apenas os “efeitos adversos” relacionados à HPN, e, não, o seu tratamento. Ao fim e ao cabo, importa dizer que até dezembro de 2018, não havia tratamentos estabelecidos para esta enfermidade assim como para a SHUa no SUS.

Tabela 5. Custo-efetividade de Eculizumabe em comparação com o cuidado convencional, em horizonte temporal de 26 semanas (13 quinzenas).

Estratégia	Custo	Custo Incremental	Eficácia (QLT)	Eficácia Incremental	RCEI
Convencional	R\$819,00	-	2	-	-
Eculizumabe	R\$184.570,00	R\$183.751,00	10	8	R\$22.469,00

QLT - Quinzenas livres de transfusão; RCEI - Razão de custo-efetividade incremental

Fonte: Modificado de CONITEC, 2018.

Em reunião da Comissão de Fiscalização Financeira e Controle — CFFC, realizada em 06 de dezembro de 2017, o então Ministro da Saúde, Ricardo Barros, relatou haver à época 414 medidas liminares determinando a aquisição do Soliris® para pacientes em todo o país. Isto dimensiona o número de casos vigentes pleiteando o acesso à droga. Ademais, ao final de 2016, conforme dados publicados por Elgin et al. (BLOOMBERG, 2019), a Alexion manteve registros individuais de mais de 600 pacientes brasileiros que poderiam ser potenciais usuários do medicamento, considerando-os elementos importantes de sua estratégia de mercado. Vale dizer, de acordo com o seu website, em 2015, a empresa financiou mais de 75 organizações de pacientes com enfermidades raras para a prática de *advocacy* no mundo todo. Dentre elas, a Associação dos Familiares, Amigos e Portadores de Doenças Graves (AFAG)²⁶.

Conforme seu sítio eletrônico, a AFAG é uma entidade de abrangência nacional, sediada em Campinas, São Paulo. Desde 2005 atua na defesa dos direitos das pessoas acometidas por doenças raras e graves, contando com Delegados em outros 11 entes-federados. Em linha com suas finalidades institucionais, a entidade organiza congressos e seminários nacionais sobre doenças raras, providenciando encontros entre familiares de pacientes – que prestam apoio uns aos outros – e especialistas nestas enfermidades, que lhes apresentam técnicas de cuidado e evidências científicas. Vale dizer, o direito de associação para fins lícitos (vedado o caráter paramilitar) tem força constitucional (art. 5º, XVII, CF/1988), podendo as associações ingressar em juízo quando expressamente autorizadas pelos seus associados (art. 5º, XXI, CF/1988). O regramento de uma associação deve obedecer o Código Civil (arts. 53 a 61). Há variados títulos que uma associação que atua na área da saúde pode receber: certificado de entidade de assistência social (Lei n. 12.101/2009); organização da sociedade civil de interesse público (Lei n. 9.790/1999); e de organização social (Lei n. 9.637/1998). O Estado pode fomentar o associativismo por meio de títulos, incentivos tributários e repasse de recursos financeiros por meio de convênios administrativos em se tratando de entidades que atuem no Sistema Único de Saúde (§ 1º, art. 199, CF/1988). No caso de uma associação de pacientes, de se destacar a possibilidade de participação no processo regulatório, conforme faculta a Lei de Processo Administrativo (Lei n. 9.784/1999).

²⁶ Conforme relatório de doações publicado em seu website, em 2015 a Alexion Pharmaceuticals Inc. doou R\$1.672 milhões “para apoio aos programas e atividades educativas desenvolvidos pela entidade”. Em 2016, as doações à AFAG aumentaram para R\$2.675 milhões.

Ao final de 2016, com a transição entre governos, o Ministério da Saúde (MS) passou a defender uma reavaliação médica dos pacientes que haviam conquistado judicialmente o direito a receber o Soliris®. O Min. Barros determinou a realização de auditorias em relação às liminares que forçavam a compra do medicamento. Por força da aludida “auditoria”, em 2017, liminares determinando a entrega do Soliris® foram sistematicamente descumpridas pelo Poder Executivo. Os pacientes obtinham a medida de urgência no Judiciário, porém a União não entregava a droga por alegar haver fraudes e que nem todos os pacientes litigantes precisavam do medicamento, exigindo novos laudos que assim o declarassem. Logo, isto ensejou tensões em relação à vinculação do juiz à prova de caráter científico, tema ao qual voltaremos adiante.

Nesta senda, em fevereiro de 2018, foi convocada uma reunião pelo então Ministro, em caráter de urgência, para debater as razões do descumprimento das centenas de decisões judiciais. A reunião contou, ainda, com a participação de representantes do Judiciário, da ANVISA e representantes de associações de pacientes. Nela, a AFAG apresentou uma listagem relacionando centenas de pacientes que estavam desassistidos há meses e os óbitos de pacientes que se encontravam sem tratamento. A Presidente da entidade comentou que os dados apresentados no Relatório de Auditoria realizada pelo DenaSUS (Departamento Nacional de Auditoria do SUS) com os pacientes que faziam uso do Eculizumabe demonstravam que os pacientes existiam e necessitavam dos tratamentos. Alegou, também, que essas informações deveriam ser utilizadas para criar um sistema que possibilitasse ao paciente ter acesso ao medicamento sem precisar ingressar com pedido na Justiça. Não menos constrangedor para o público presente foi quando aquela pediu que fossem corrigidas as apresentações do MS com dados que, segundo ela, não refletiam a realidade. O Ministério apresentou, entre outras questões, a grande problemática envolvendo o processo de compra de 5 medicamentos órfãos (Elaprase, Aldurazyme, Myozyme, Fabrazyme e Eculizumabe). Por sua vez, a própria ANVISA esclareceu que as empresas contratadas para a aquisição dos medicamentos não preenchiam requisitos que autorizassem sua distribuição por aquelas no Brasil. Nesse aspecto, as associações de pacientes se posicionaram corroborando a posição da Agência, reforçando sua enorme preocupação para com os pacientes. Como resumiu a diretora da AFAG, descontente: “Fomos surpreendidos com uma desarticulação entre as próprias divisões do Ministério da Saúde, o que está provocando um enorme desabastecimento e causando danos sérios a centenas de pacientes e inclusive levou vários deles a óbito”.

Ocorre que, para o fornecimento do Eculizumabe, o MS havia contratado (por R\$ 84,08 milhões) a empresa norte-americana Tuttopharma LLC, com sede em Miami, que não era distribuidora do medicamento em questão. Este fato se repetiu na compra das outras quatro drogas, visto que a empresa Global Gestão em Saúde S/A, escolhida pelo MS para a aquisição destas, igualmente não teria condições de fornecer os remédios por não possuir Declaração de Detentor de Registro (DDR). Esse documento, vale dizer, é uma autorização indispensável para a importação de medicamentos e correlatos, conforme visto no subcapítulo 3.3 desta dissertação.

Nesta concatenação de eventos há dois episódios interessantes. Primeiro, a empresa Multicare, credenciada pela Alexion para distribuir o medicamento no Brasil, não aceitou a situação, impetrando um recurso no processo de compra que denunciou que a Tuttopharma LLC, diante da pressão das partes envolvidas, havia apresentado DDR falsa, o que deu ensejo à abertura de procedimento administrativo para aplicação de penalidade. Em segundo lugar, as declarações públicas dos responsáveis políticos pareciam fazer tudo quanto estivesse a seu alcance para gerar maior embaraço. Algumas entrevistas do então Min. Ricardo Barros a respeito do tema sugerem que este consentiu, para não dizer, fomentou a sua judicialização pelas partes envolvidas, como forma de solucionar os processos administrativos de compra. Ainda, questionado acerca da pressão por força do óbito de pacientes em decorrência do atraso no fornecimento, o Ministro disse não se sentir pressionado. O jornal O Globo noticiou: “Ministro da Saúde orienta pacientes a entrarem na Justiça contra Anvisa” (ALMEIDA, 2018).

Esta narrativa vinha acompanhada da alegação de que o MS não desejava comprar medicamentos mais caros dos fornecedores que detêm a exclusividade do registro desses medicamentos. Por isso, estaria dando oportunidades às empresas vencedoras das compras feitas por simples cotações de preços. Vale indicar que no final de 2017, sob sua direção no Departamento de Logística do MS, houve determinação de que as compras de medicamentos órfãos por ordem judicial não seriam mais feitas por dispensa de licitação com a contratação do fabricante ou da empresa distribuidora dos medicamentos, mas, ao contrário, seria feita cotação de preços com empresas previamente cadastradas no MS. Contudo, em entrevista ao JOTA (VARGAS, 2019), que realizou um primoroso trabalho jornalístico, Barros reconheceu haver “incoerência” nos procedimentos de compra das drogas e, corroborando a notícia de O Globo, confirmou haver orientado as associações de pacientes a demandar a ANVISA. Selecionamos alguns trechos dos melhores momentos de seu depoimento:

JOTA: O senhor, procurado por paciente, já orientou por Whatsapp que entrem na Justiça contra a Anvisa?

Eu disse a associações, em uma reunião, que a solução para entrega de medicamentos é que a Anvisa cumpra a liminar que ela tem para liberar a licença de importação.

A Anvisa devia dar licença para empresa que não tem a DDR, porque o juiz mandou dar. Para nós a cobrança é “cumpra logo a decisão e não discuta”. Para a Anvisa, não. Ela pode discutir a decisão, atrasando o fornecimento. Ou senão a comprovação de que o fornecedor não tem o medicamento para entregar. Não dão licença para a empresa trazer o medicamento e provar se tem ou não tem.

A lógica é essa. Algumas pessoas me consultaram posteriormente à reunião. Meu número de Whatsapp todos têm. Eu disse que eles deveriam buscar que a Anvisa cumprisse a liminar. Para ter o medicamento entregue ou para a empresa mostrar que não tem e [o Ministério] chamar o próximo candidato.

(...)

Eu não me sinto pressionado. Sou gestor da saúde. Estou fazendo tudo dentro do necessário. Nosso departamento não consegue concluir as compras. Vamos aguardar para que possamos encerrar compras dentro do que diz a lei. Quando o juiz que deu a sentença diz que norma [DDR] contrataria a livre concorrência, é interpretação dele. Mas isso mostra que é um problema [a exigência da Anvisa] controverso e que precisa ser resolvido. Queremos que se resolva logo e já pedimos colaboração inclusive do MPF, juizes da vara de saúde. Todos foram chamados. Pedi ajuda a eles. (VARGAS, 2019)

Mas as coisas não terminariam assim: enquanto a imprensa relatava que o MS e a ANVISA acertavam os ponteiros para definir o “imbróglio administrativo” na forma de importação do Eculizumabe, a Procuradoria da República no Distrito Federal instaurou inquérito civil para apurar possíveis irregularidades ocorridas nos processos administrativos que instrumentalizaram a aquisição destes medicamentos órfãos pelo MS, para atender as numerosas demandas judiciais. Chamou a atenção do *Parquet* o fato de o MS contratar com empresas novas, sem tradição no mercado de venda de medicamentos ao poder público, sobretudo por se tratar da aquisição de produtos de altíssimo custo, substâncias instáveis, fabricadas quase artesanalmente e cuja logística demandaria cuidados especiais, entre outros motivos de cautela redobrada.

Ao cabo das investigações, na visão do Ministério Público Federal (MPF) teriam ocorrido atrasos injustificados na entrega dos fármacos, “com o consequente descumprimento de centenas de decisões judiciais e um grave desabastecimento, o que haveria culminado na morte de pelo menos 14 pacientes” (retornaremos a estes números adiante). Com efeito, os atos foram enquadrados como improbidade administrativa, ensejando também a reparação do dano moral coletivo sofrido pelos pacientes. Merece destaque um trecho da Ação Civil Pública:

As razões da demora na finalização dos processos administrativos de compra dos referidos fármacos – e na entrega dos medicamentos – (...) não decorreram de circunstâncias alheias à vontade dos agentes públicos envolvidos, tampouco de caso fortuito ou força maior, mas, sim – e infelizmente – de motivos não republicanos até então inconfessáveis, que perpassam a imoralidade e o descumprimento de normas da administração pública e que constituem atos de improbidade administrativa (...).

Isto é, no caso em tela, ao contrário do que seria esperado em um procedimento de compra com altíssimo grau de urgência, o MS concedeu prazos e mais prazos para que a Tuttopharma retificasse sua proposta de fornecimento do Soliris®. Em meio a estes escândalos morais promovidos pela burocracia estatal, vidas humanas e interesses inconfessáveis chocaram. Na próxima seção, apresentam-se informações históricas deste acontecimento. Porém, cabe a ressalva ao leitor de que omitimos detalhes para comprazer algumas fontes, que não desejaram ser identificadas. O que não se omitirá, para que se façam as devidas consultas bibliográficas, são os embates político-jurídicos de que se tem registro. Com isso, o leitor poderá se posicionar na batalha, colocar-se em um campo ou no outro, visto que os envolvidos estão aí e o conflito continua a ameaçar as vidas das pessoas afetadas.

5.3.1. “Meu direito de viver está sendo tirado, como uma pena de morte”

“Centenas e centenas de pessoas estão condenadas à morte! A sentença de morte está sendo dada pelo Ministro da Saúde e pelo Presidente da ANVISA”. Ao concluir sua fala, em 27 de fevereiro de 2018, o Deputado Padre João (PT-MG) pediu que seu discurso fosse publicado nos meios de comunicação da Câmara dos Deputados. O pronunciamento divulgado no *website* da Casa (DETAQ, 2019) constitui fonte importante de informação histórica, permite uma radiografia do problema da judicialização de medicamentos órfãos, que não é nem acidental nem transitório, e explicita não se tratar de um fato desconhecido pela classe política brasileira. O parlamentar, como que em meio às cinzas que recaem sobre corpos inertes, bradou:

Aqui denuncio, por exemplo, a morte de Diego Wallace, meu conterrâneo, que faleceu no dia 27 de novembro do ano passado. Nesta semana, no dia 25 de fevereiro, faleceu Margareth Maria Araújo Mendes, uma lutadora, uma guerreira, que dedicou a sua vida a esta causa nos últimos anos, em defesa dos portadores de doenças raras. Ela era portadora da Hemoglobinúria Paroxística Noturna — HPN, assim como o Diego. (DETAQ, 2019)

Até fins de 2016, os pacientes portadores de HPN e SHUa, que haviam logrado peregrinar por todos os caminhos tortuosos da burocracia médica desde a obtenção de um diagnóstico preciso de sua doença até uma medida liminar na Justiça, recebiam o Soliris® de forma contínua. Diego Wallace e Margareth Mendes faziam parte de um grupo composto por mais de 400 pacientes litigantes que recebiam o medicamento por haver ingressado com uma ação judicial.

Como afirmou uma das irmãs de Diego, “enquanto o tratamento esteve em dia, ele vivia uma vida normal, com a esposa e filho recém-nascido”. Segundo Rayana, era ele quem sustentava a família, com o salário que recebia como líder de equipe em uma siderúrgica. Ela contou, ainda, que ele era um participante ativo em todos os eventos relacionados às doenças raras. Reuniões, passeatas, manifestações, audiências públicas e redes sociais. Ela mesmo faz parte de um grupo de WhatsApp com mais de 100 pessoas com HPN, que ainda sofrem com a falta da medicação. Rayana relatou momentos difíceis de seus familiares que acompanharam a luta do irmão para se manter vivo. Esta militância incansável chegou a termo durante sua última internação, em que ele redigiu com o próprio punho uma carta ao então Ministro da Saúde, Ricardo Barros:

Sou Diego Wallace da Silva Albuquerque, brasileiro, 35 anos, [endereço].
(...)

O descumprimento do Ministério da Saúde está trazendo consequências graves para mim e para muitos outros pacientes neste mesmo caso. Direito que, volto a dizer, é meu e também o meu direito de viver está sendo tirado, como uma pena de morte. Eu peço, pelo amor a Deus e seus familiares, a vocês, responsáveis pela compra e pela distribuição, que regularizem o meu medicamento [Soliris®]. Assim como vocês, tenho minha família. Eu quero viver. Eu quero ter direito de viver, e não ter esse direito roubado. Estou sem medicamento e necessito dele para sobreviver. Estou grave à espera dele, sendo que já houve uma regressão no tratamento pela falta de compromisso, pelo descumprimento da liminar.

Diego Albuquerque.

Diego se afiliou à AFAG em 2014. Em abril de 2016, ele obteve medida liminar concedida para acessar o Soliris®. Desde o final de 2016, houve atrasos na entrega do medicamento, que chegava em quantidade inferior à necessária para o tratamento. Em setembro de 2017, ele procurou a associação de pacientes aflito: suas doses haviam acabado. A então representante da AFAG, Margareth Mendes, encaminhou um e-mail com relatórios médicos diretamente ao MS, suplicando pela entrega da droga. Diego Wallace Albuquerque faleceu aos 35 anos, no dia 27 de novembro de 2017, em Belo Horizonte, em decorrência de trombose consequente de

HPN e da falta de medicamento por aproximadamente 2 meses. Além de esposa e filho, deixou sua mãe, avó e 5 irmãos. Para Rayana: “O dano foi completo. A imagem do meu irmão no hospital sofrendo... não irá sair da memória. O vazio não passa. Nossa mãe, a avó, entraram em depressão. Choram todos os dias”. Diego deixou um vazio irreparável para sua família. Vazio não apenas físico, mas de solidariedade; vazio de valor ético ou social. Este vazio agora ameaça chegar à boca e ao estômago de sua viúva e filho caso percam a pensão que Diego deixou.

“Se eu morrer em consequência da falta de medicamentos por atraso, desejo que denuncie ao Ministério Público este descaso com a vida.” A frase lida por Ruth Mendes e reproduzida na abertura do programa Profissão Repórter, da Rede Globo, em 10 de outubro de 2018, pertence ao testamento de sua irmã: Margareth Mendes. Neste documento, ela fez constar uma lista de pacientes que estavam à espera do Soliris®. Margareth não só travou uma batalha com a sua doença, mas também com o MS. Ela se afiliou à AFAG em 2013. Em fevereiro deste mesmo ano, teve sua liminar concedida para acessar o Eculizumabe. Em 2014, voluntariou-se a trabalhar como Representante Nacional dos Pacientes Raros. Liderou por anos um grupo composto por mais de 300 pacientes com HPN e SHUa. Foi referência no ativismo das doenças raras. Portadora de uma variação muito grave de HPN, ela defendeu o direito à vida, incansavelmente, até mesmo em seu testamento vital. Em outubro de 2017, chegou a se reunir pessoalmente com o Ministro da Saúde, implorando pelo restabelecimento da distribuição dos medicamentos. Desde setembro de 2017 sem receber a sua medicação, o quadro de Margareth se agravou em fevereiro de 2018. Ela foi internada, chegou a receber uma dose emergencial de 12 frascos do Soliris®. Não teve tempo de gozar deste direito. Aos 45 anos, no dia 26 de fevereiro de 2018, ela deixou um legado de resistência.

O processo judicial de Allan, outro portador de HPN, foi autuado em 09 de julho de 2013, ano em que se filiou à AFAG. Dias depois, ele obteve medida liminar para acessar o Eculizumabe. A juíza federal Célia R. Bernardes, da 21ª Vara da Seção Judiciária do Distrito Federal, determinou que a União Federal fornecesse o Soliris®, “na forma prescrita pelo médico que o assiste, em sua totalidade, ou seja, nas vezes e enquanto dele necessitar”. Vale destacar o fundamento da medida de urgência:

(...)o medicamento SOLIRIS®, embora não tenha registro na ANVISA, obteve sua regulamentação junto a órgãos internacionalmente reconhecidos, tais como EMA – European Medicines Agency, FDS/FDA – U.S. Food and Drug Administration, HPFB – Health and Food Branch. (Processo Nº 0036642-35.2013.4.01.3400 - 21ª Vara Federal)

Na peça de Contestação da União, salta aos olhos como sua fundamentação se assemelha às razões pelas quais a CONITEC (ver seção 5.3.) recomendou a não incorporação do tratamento no SUS, alegando que países como Escócia e Canadá analisaram a incorporação do medicamento e não recomendaram a sua adoção em seus sistemas públicos de saúde, havendo necessidade de prova pericial para avaliar a eficácia da substância. A juíza denegou a produção da perícia médica, visto que os médicos do autor ofereceram provas suficientes para a reivindicação do paciente por tratamento. Contudo, a União Federal ingressou com um recurso de agravo de instrumento, que determinou a realização de perícia médica. Vale dizer, a Procuradoria Geral da República criou uma força-tarefa de especialistas em Medicina Baseada em Evidência (MBE) que apoiam ou desqualificam as reivindicações de acesso a tratamentos e sua eficácia (BIEHL & PETRYNA, 2016, p. 186). Nesta junta, o processo jurídico se tornou basicamente um campo de batalha entre os especialistas. Dentre os quesitos formulados pela União, alguns pareciam esparrelas, como “O SOLIRIS representa a cura para a doença que acomete a autora?” (...) “O SOLIRIS tem eficácia de retardar ou reverter o quadro clínico dos portadores da doença ou apenas alivia os sintomas?”. Nada obstante, a juíza do caso, Dra. Cristiane Pederzolli Rentzsch, embasou sua sentença no direito à vida, referindo um trecho do laudo que atestou:

O uso contínuo de forma ininterrupta e por período indeterminado da medicação supracitada (SOLIRIS) é o que garante a manutenção da melhora clínica e laboratorial deste paciente, diminui a possibilidade de não torná-lo socioeconomicamente improdutivo e diminui seu risco de morte.

Allan descobriu que tinha HPN um mês antes de se casar com Tatiane. Ela conta que nas vezes em que ele foi a Brasília sujeitar-se às perícias, recebeu o auxílio da AFAG. Sua renda como auxiliar de produção era de um salário mínimo. “O juiz queria saber se, de fato, ele necessitava do medicamento, por isso decidiu interrogá-lo”. Quando questionada se ela presenciou algum outro problema relacionado com o SUS, ou em alguma unidade de saúde, ela contestou que o único problema foi o atraso na entrega da droga que mantinha seu marido vivo: “Nenhum outro problema. Sempre fomos tratados muito bem pelas equipes médicas, pela enfermeiras, sempre foram atenciosas”. Ademais, relata que por diversas vezes buscou a Secretaria de Saúde de Contagem (MG) por não receber o medicamento, porém esta dizia estar de mãos atadas. No dia 18 de agosto de 2017, Allan fez sua última infusão. Diversos relatórios médicos

foram providos para encaminhamento ao MS. Em 27 de novembro de 2017, ele comunicou à associação de pacientes que estava internado há 15 dias com fortes dores, encaminhou relatório médico e carta de próprio punho, assim como Diego Wallace. Em 18 de dezembro de 2017, seu médico encaminhou ao MS relatório circunstanciado solicitando mais frascos para realizar uma “dose de ataque” com o objetivo de reestabelecer a saúde de Allan, pedido que não foi atendido. Allan faleceu no dia 16 de janeiro de 2018, aos 33 anos.

Diego, Margareth, Allan. Poderíamos multiplicar histórias parecidas. Importa dizer que, em 2017, havia 414 medidas liminares determinando a aquisição do Eculizumabe. Os afetos e lutas mobilizados por estes pacientes foram tecidos a várias mãos, compartilhando experiências, fazendo pressões institucionais, engajando desde seus corpos adoecidos. Em outras palavras, estes pacientes-litigantes se imantizam por meio daquilo que Rabinow (1992, p. 244) denomina “biossociabilidade”. O Deputado Padre João, como se recolhesse os corpos no fronte de batalha, retrata bem esta cena:

Nesse tempo que me resta, Sr. Presidente, destaco uma relação de pessoas que faleceram por falta de medicamentos: Alan Santos, de Aracaju, faleceu no dia 16 de janeiro de 2018, com 36 anos; Antônia Lucinda, de Fortaleza, faleceu com 63 anos; Claudio Danilo, de Joinville, Santa Catarina, faleceu no dia 21 de fevereiro, por falta de medicamento, segundo foi atestado pelo seu pai; Diego Wallace faleceu no dia 27 de novembro, com 35 anos; Henrique Rodrigues da Costa, de Belém, faleceu no dia 16 de outubro; Jucilene Pedrosa, de São João do Rio do Peixe, Paraíba, faleceu no dia 5 de dezembro de 2017; Kyuken Kanashiro, de São Paulo, faleceu no dia 17 de outubro — perdoem-me se a pronúncia não estiver correta, mas a denúncia é justa e verdadeira —; Margareth Mendes faleceu no dia 25 de fevereiro de 2018; Maria das Neves faleceu no dia 25 de outubro; Maria de Lourdes, de Pernambuco, faleceu no dia 4 de junho; Matheus de Queirós faleceu no dia 9 de outubro; Thainá Cabral faleceu no dia 12 de janeiro de 2018, aos 22 anos; Valdomiro, de Londrina, Paraná, faleceu no dia 1º de dezembro de 2017; e Wellinton Gross, de São Paulo, faleceu no dia 17 de outubro. (DETAQ, 2019)

Eis que o representante político do MS, em resposta ao pronunciamento do Parlamentar, contrapôs ter feito uma auditoria em 2017, justificando que a União não entregava a droga por haver fraudes e que nem todos os litigantes precisavam do medicamento, despejando argumentos de combate à judicialização da saúde. Bradou também ter mandado investigar cada paciente que recebia o Eculizumabe. O depoimento do Min. Barros reconheceu, ademais, ter ciência de que pessoas estavam morrendo e, ainda, seu domínio sobre a vida (e a morte) destes indivíduos:

O Padre João falou do Soliris. Deputado Padre João, o Soliris é um medicamento cujo tratamento custava, quando eu assumi o Ministério, 1 milhão e meio de reais por paciente por ano. Havia 414 liminares pedindo a utilização desse medicamento. Nós recebemos várias denúncias sobre esse

tema. A Polícia Federal tem um inquérito sobre esse assunto. Ela fez busca e apreensão na Associação de Doentes [a AFAG], também esteve no escritório de advocacia que detém 80% das liminares do Soliris. (...) **Muitos faleceram**, muitos não moravam no lugar, muitos se recusaram a receber a nossa equipe do DENASUS, não aceitaram ser fiscalizados pelo DENASUS. (...) O Diego, certamente, tinha uma dessas liminares e deve ter recebido a visita. Espero que sim. Espero que ele tenha aceitado receber a nossa fiscalização. Eu vou verificar o caso específico dele, mas, de um modo geral, não houve desabastecimento. **Nós temos estoque**. Temos estoque, porque, quando nós começamos a fiscalizar, não foi preciso entregar para 40 pacientes que tinham liminares. Não havia nem para quem entregar. Então, começamos a organizar. Nós tínhamos estoque, não havia nenhuma razão para desabastecimento. **Então, eu vou avaliar**. (DETAQ, 2019) (Grifamos)

Restaria saber, portanto, como o discurso jurídico afronta, ou mesmo, fomenta a proliferação da narrativa ora observada. Por um lado, as interpelações do Ministro Barros à Polícia Federal parecem ter surtido efeito. Em 08 de maio de 2017, o juiz da 10.^a Vara Federal de Brasília, Ricardo Soares Leite, decretou busca e apreensão na AFAG e na fabricante do Soliris®, bem como a quebra do sigilo fiscal e bancário tanto da empresa quanto da entidade, bem como de suas Diretorias. De acordo com sua decisão cautelar, R\$ 1 bilhão teriam sido obtidos nos últimos anos em benefício do laboratório sob “esquema de obtenção de liminares” (IPL 127/2016-SR/DPF/DF).

De outro lado, há evidências de que a situação gerou um total de 23 falecimentos de doentes raros entre 2017-18 pela falta não só do Eculizumabe, mas de outros medicamentos (Galsulfase, Atalureno Elosulfase Alfa, Laronidase e Idursulfase), em franco descumprimento de ordens judiciais. Dentre eles, a reconhecida ativista Margareth Mendes. Citamos o relato de sua irmã Ruth Mendes, no âmbito da Audiência Pública conjunta das Comissões de Direitos Humanos e Minorias e de Seguridade Social e Família para fins de debater as dificuldades enfrentadas pelos pacientes raros:

Ouvimos, do então ministro da Saúde, Ricardo Barros, que ele não temia os óbitos, pressões ou processos na justiça. Muitos pacientes com doenças raras ganharam na Justiça o direito ao tratamento, mas o governo não entrega porque está economizando dinheiro. (Câmara dos Deputados, 2018b)

Se traçarmos uma linha do tempo sobre os falecimentos por conta da falta do Eculizumabe, verificamos que de julho de 2017 a fevereiro de 2018 houve 14 óbitos, número utilizado pelo MPF na ação civil pública. Já na audiência pública da Câmara dos Deputados, realizada em 24 de abril de 2018, a AFAG apresentou 17 óbitos de pacientes assistidos pela entidade. Contudo, quando do presente estudo a lista de óbitos havia sido acrescida em uma vida e, em dezembro de 2018, registravam-se 18 vítimas.

5.3.2. Efeitos colaterais do mercado de órfãos na periferia global

Boaventura de Sousa Santos (2001) designa nossa época por “capitalismo desorganizado”. De acordo com a estrutura analítica que o intelectual português tem vindo a propor: “O crescimento espetacular dos mercados mundiais, juntamente com a emergência de sistemas mundiais de produção e agentes econômicos transnacionais, minou a capacidade do Estado para regular o mercado ao nível nacional” (ibid., p. 154). Nesta junção, os preços altíssimos dos medicamentos órfãos nos Estados Unidos, onde o Estado não intervém nos valores praticados pela indústria, na percepção de Thamer, Brennan e Semansky (1998), estariam a gerar efeitos internacionais com dimensões ainda desconhecidas. Para os autores, o alto custo das drogas órfãs neste território expressa uma debilidade regulatória, cujos efeitos internacionais ainda não estão claros.

O sistema de preços desregulados no mercado de drogas órfãs dos Estados Unidos, combinado com a regulação de preços em diversos outros países, dão a impressão de que seu alto custo naquele país estaria subsidiando as drogas órfãs mundialmente. Ou seja, os fabricantes não estão limitados àquilo que podem cobrar por medicamentos órfãos nos Estados Unidos, mas podem ser forçados a diminuir substancialmente seus preços em outros países; com efeito, o governo norte-americano, compradores terceirizados e os próprios pacientes podem estar indiretamente subsidiando produtos farmacêuticos vendidos a outros países. (THAMER et al., 1998, p. 283)

Na presente seção, verificaremos se a inclusão tardia destas tecnologias na arquitetura regulatória nacional (ver Capítulo 3) colocaria o Brasil entre os compradores terceirizados que financiam indiretamente tecnologias órfãs vendidas a outros países, tendo em vista que a judicialização do acesso a estes produtos, por vezes, força o Estado nacional a adquiri-los no mercado norte-americano. No caso em estudo, é interessante notar que o Soliris® começou a ser consumido no Brasil em 2009, como o produto farmacêutico mais caro do mundo. Neste contexto, as implicações da economia do conhecimento são muito diferentes conforme se trate de Estados do centro ou da periferia do sistema global, tendo em vista que os países periféricos e semiperiféricos tendem a ficar cada vez mais limitados a cumprir determinações do capital financeiro e industrial transnacional, determinações, por sua vez, estabelecidas pelas organizações internacionais controladas pelos Estados centrais. Como analisa o professor Boaventura:

Essas determinações, frequentemente apresentadas em combinações estranhas de liberalismo econômico e de proteção dos direitos humanos, abalam a tal ponto a já de si frágil componente social do Estado, que esses países assumem a ideia da crise do Estado-Providência sem nunca terem usufruído verdadeiramente deste. (SANTOS, 2001, p. 155)

Conforme Elgin et al. (BLOOMBERG, 2019), a estratégia da Alexion Pharmaceuticals Inc. no Brasil teria sido postergar ao máximo o registro do Soliris®. Isto poderia ocorrer através de táticas triviais como, p. ex., protocolar pedidos de registro incompletos junto à ANVISA propositadamente. Vale lembrar que a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos – CMED aplica um coeficiente de adequação de preços quando produtos farmacêuticos são vendidos ao poder público, o que consiste em um desconto obrigatório de aproximadamente 24,0% sobre o valor máximo fixado para a venda do medicamento no território nacional, após seu registro na ANVISA (ver seção 3.4). Portanto, a prorrogação do registro da substância garantiria à empresa anos a mais de exploração do mercado aberto, escapando da regulação vigente.

Ainda de acordo com Elgin et al. (id.), a Alexion Pharmaceuticals Inc. financiava uma organização de pacientes para ações de *advocacy* no Brasil: fundada em 6 de agosto de 2009, a Associação Brasileira de HPN foi a primeira entidade a prestar apoio aos portadores desta doença, estimulando o intercâmbio de informações sobre a síndrome no país. O tema “hemoglobinúria paroxística noturna” parece ganhar corpo no Brasil com o Primeiro Encontro Brasileiro do Paciente com HPN, realizado em 17 de abril de 2010, em São Paulo. O *website* do evento (BLOGSPOT, 2019) informa ainda que a Associação Brasileira de HPN “juntou-se” à Associação dos Familiares, Amigos e Portadores de Doenças Graves (AFAG). Nele, vale destacar, um dos “Links sobre HPN” remete ao site “Alexion – Laboratório do Soliris”. Visto que a maioria dos pacientes raros não dispõem de recursos para iniciar uma batalha judicial, a Alexion teria começado sua operação no país financiando a Associação Brasileira de HPN. Porém, o escritório de advocacia contratado para dar início aos pleitos judiciais no Brasil pertencia à irmã de um funcionário local da empresa. Assim, após recomendação do escritório de advogados da matriz norte-americana, em 2012 a companhia teria transferido suas doações para a AFAG (BLOOMBERG, 2019).

Cumpra ainda consignar que, em sua apresentação na Audiência Pública da Subcomissão Especial das Doenças Raras, de dezembro de 2017, o então representante da Pasta afirmou que “o Ministério da Saúde conseguiu negociar desconto de 29% para o medicamento”. Na realidade, após a ANVISA autorizar seu uso para o tratamento de HPN, a Secretaria Executiva da CMED estabeleceu o preço máximo do Soliris®, que passou a ser vendido para o Estado brasileiro ao valor máximo de R\$ 11.942,60, o menor preço registrado internacionalmente. Nada obstante, o simples registro do preço do medicamento pela CMED não garante que as coisas mudem, tendo em vista a

produção de efeitos de realidade limitados por esta arquitetura regulatória. Pois, na prática, muitos laboratórios têm deixado de aplicar o coeficiente de adequação de preços para compras públicas, sendo comum o pagamento de sobrepreço pelo governo, sob pena de desabastecimento do sistema público de saúde (MIZIARA & COUTINHO, 2015, p. 5). Por vezes, “quando obrigados a aplicar esse coeficiente, muitos laboratórios deixam de participar de licitações” (id.).

Vale dizer, a disputa sobre o preço do Soliris® entre os estados nacionais e a Alexion possui diversos outros exemplos. Em 2015, o governo canadense questionou o preço exorbitante da droga no país, alegando que o valor era considerado excessivo. O Canadá possui uma Câmara de Revisão de Preços de Medicamentos Patenteados (“PMPRB” por sua sigla em inglês), que classifica inovações farmacêuticas em três categorias. As drogas subsumidas na Categoria 2 são as que podem ser agraciadas com preços de maior valor, enquanto aquelas que recaem nas Categorias 1 e 3 sujeitam-se a restrições substancialmente rígidas quando da negociação de seus preços. Conforme Thamer et al. (1998, p. 273), as drogas órfãs se aproximariam àquelas subsumidas na Categoria 2. Neste âmbito, as autoridades regulatórias podem demandar a redução do preço do fármaco se este for considerado excessivo. Com efeito, a PMPRB convocou audiências públicas em 2015 apresentando fórmulas para se estabelecer um preço razoável para o Soliris®. Em resposta, a Alexion ajuizou uma demanda judicial em face do PMPRB pleiteando que as audiências fossem suspensas e que o órgão fosse proibido de tomar qualquer medida que pudesse afetar o preço da droga (LANCET, 2015).

Retornando ao caso brasileiro, de acordo com Elgin et al. (2019), um funcionário da Alexion comparecia semanalmente a uma associação de pacientes para coletar dados nos seus registros sobre pacientes com HPN e SHUa: garantia de um negócio altamente rentável. Em resultado, se em 2013 a aquisição do Soliris® por meio de ações judiciais totalizou cerca de 20 milhões de Reais (BRASIL, 2013), em 2016 sua compra representou o maior gasto do orçamento da União destinado ao atendimento de demandas judiciais, chegando a 613 milhões de Reais (BRASIL, 2018), enquanto, em 2017 o medicamento atingiu R\$ 644,4 milhões, mantendo-se como maior gasto judicial. Daí convém a pergunta: por que registrar um produto se ele garante receitas deste vulto?

Em seguida, passamos a analisar, de forma forçosamente provisória visto que os eventos ainda estão em curso, as disfunções, incongruências e efeitos perversos dele resultantes, mas também a capacidade de adaptação do campo jurídico às condições de regulação social do capitalismo desorganizado (SANTOS, 2001b).

5.4. Discussão: os juristas em defesa da sociedade

“Temos de defender a sociedade contra todos os perigos biológicos dessa outra raça, dessa sub-raça, dessa contra-raça que estamos, sem querer, constituindo.”

Michel Foucault

“É uma espécie de Robin Hood às avessas: tira dos mais pobres para dar a quem tem condições de pagar por um bom advogado”. A frase do Secretário Estadual da Saúde de São Paulo, David Uip, foi dita à Folha de S. Paulo, ao comentar o fenômeno da judicialização da saúde (COLLUCCI, 2019). A reportagem expõe o fenômeno com a manchete: “Judicialização na saúde faz desigualdade avançar, dizem especialistas”. Um ano mais tarde, o procurador-geral do Estado de São Paulo, Elival da Silva Ramos, declarou à revista eletrônica Consultor Jurídico (MORAES, 2019) que: “Com a judicialização da saúde, Estado age como um Robin Hood ao contrário”. A razão disto seria porque as demandas são supostamente mais comuns em regiões ricas.

É interessante observar que o Sistema Único de Saúde (SUS) está arraigado na cultura democrática brasileira. Na realidade, ele é fruto do que ficou conhecido como Reforma Sanitária, projeto forjado no bojo da restauração da legitimidade política no país, em contexto de resistência à ditadura. Como observa José Eduardo Faria, em *A Crise Constitucional e a Restauração da Legitimidade* (1985, p. 11), a legitimação do poder estaria a exigir “um novo pacto, um novo contrato, uma nova Carta Magna”. E, neste sentido, o direito sanitário tem também uma dimensão política, especificamente, porque “advém do esforço de se formar uma perspectiva sobre as relações de poder que se torna[ria]m capazes de condicionar a estruturação das políticas sociais e da política de saúde em especial” (CASTRO, 2003, p. 367). Da interação entre os detentores do poder (legitimados) e os cidadãos (legitimantes) resultaria um acordo em torno de valores delineados como modelo de vida desejado pela comunidade, positivados através de direitos sociais, i.e., o direito à saúde. Desde sua gênese, portanto, o “campo de disputa social próprio da saúde vem permitindo a explícita luta de diferentes movimentos sociais e de suas distintas pautas para esse campo” (MERHY, 2018, p. 5).

A constitucionalização de um direito torna possível que a sua lesão seja conhecida pelos tribunais, isto é, que seja “justiciável”. A literatura recente sobre a justiciabilidade dos direitos sociais tem prestado redobrada atenção sobre um efeito da constitucionalização do direito à saúde no Brasil, que é o incremento dos litígios geralmente identificados como processo de “judicialização da saúde” (ver seção 5.2.).

Nas páginas que seguem, abordaremos como o ativismo dos pacientes raros, essa consequência elementar da disposição atual das instituições brasileiras, põe em crise a legitimidade da regulação de biotecnologias, mobilizando estruturas sociais e políticas, e, ao mesmo tempo, como um componente político auto-interessado é crucial na delegação de suas demandas para a solução do poder judiciário. O desafio em mãos consiste, ainda, em questionar o papel da articulação jurídica que fixou a legitimidade de um governo que tornou aqueles 18 pacientes raros em vidas absolutamente matáveis, ao representar suas demandas como casos teratológicos. Em contrapartida, observa-se um fenômeno sistemático, que a teoria constitucional dominante é incapaz de encarar de modo adequado. Pois, não é possível compreender o desfecho deste episódio se esquecemos tratar-se de um evento biopolítico em sentido próprio. Somente assim, pode-se redescobrir o sangue que secou nos cálculos e bancos de dados da análise econômico-institucional. Lançamo-nos, neste diapasão, à tarefa foucaultiana de desvencilhar qual o papel do direito em subsidiar discursos “forçados a produzir a verdade pelo poder que exige essa verdade e que necessita dela para funcionar” (FOUCAULT, 2010, p. 22). Um discurso extremamente ambíguo, já que no início a constitucionalização de direitos sociais foi um dos instrumentos de luta e de restauração da legitimidade, que plasmou o SUS na década de 1980. Mas, o que é que ele diz?

Como observa João Biehl (2013), há uma literatura emergente sobre a judicialização da saúde, porém a maior parte destes estudos corrobora as visões dos administradores públicos, de que o judiciário está ultrapassando o seu papel, de que a judicialização gera um enorme peso fiscal, distorce políticas farmacêuticas, alarga a desigualdade no acesso aos serviços de saúde e encoraja o uso de medicamentos de forma irracional. Em suma, as demandas judiciais são representadas como a antítese de uma suposta necessidade coletiva, enquanto as pessoas reais – suas lutas, esperanças e os resultados de seus esforços por saúde – não são vistos em nenhuma parte. Contudo, o autor constata que: “a evidência para esta posição é com frequência obscurecida por argumentos ideológicos e limitada a amostragens pequenas, com cobertura geográfica restrita e o exame de poucas variáveis” (BIEHL, 2016, p. 91). Segundo o antropólogo, “ideologicamente comprometidos com a saúde pública, alicerçada na medicina baseada em evidências, os críticos não percebem que as demandas pelo direito à saúde podem agir como uma medida corretiva quando os canais administrativos falham” (ibid., pp. 92-93). Esta forma de observar o fenômeno se contrapõe a uma abordagem centrada em evidências oriundas da experiência das pessoas, como buscamos fazer na seção 5.3.1.

Para verificar se este seria o caso dos discursos observados no objeto em tela, tomemos a análise de uma publicação de destaque, é dizer, aquela de Octávio L. Motta Ferraz, pela *Texas Law Review* (2011). Segundo este constitucionalista, a judicialização do direito à saúde no Brasil tende a beneficiar “uma minoria privilegiada que pôde acessar os tribunais para forçar o estado a adquirir tratamentos de alto custo que o sistema público de saúde não deveria disponibilizar” (FERRAZ, 2011, p. 1667). Isto porque o autor considera uma “perspectiva empírica da legitimidade” quando analisa no longo prazo os efeitos da judicialização de direitos sociais, e, assim, conclui que o caso da judicialização da saúde no Brasil ensejaria dúvidas acerca dos efeitos positivos da “justiciabilidade” dos direitos sociais ou mesmo se esta possibilidade deveria ser abolida dos tribunais brasileiros (ibid., p. 1646). Pois, para ele, os direitos sociais tornariam as coisas mais difíceis em países com recursos escassos. E em conclusão afirma que tais argumentos seriam extrapoláveis a outros países tão marcadamente desiguais como o Brasil. Em suma, dito de forma pouco grosseira, a justiciabilidade dos direitos sociais seria positiva apenas em países centrais. Para chegar a essa conclusão, seu principal argumento é que no caso da judicialização do direito à saúde, os “juízes não estão simplesmente sobrepondo as próprias visões de como recursos escassos serão alocados sobre as dos políticos; eles o fazem embasados em critérios irracionais, i. e., em um direito de atenção *máxima* à saúde” (ibidem, p. 1660). Observa, assim, que o sistema público de saúde “deveria priorizar a atenção de necessidades básicas das classes em desvantagem” (id.). Finalmente, o professor de direito cruza dois vetores que merecem atenção: primeiro, verifica a partir de quais estados-membros foram distribuídas as ações judiciais; e, logo, contrasta o IDH das regiões prevalentes. “Como esperado, há uma forte concentração de litígios de saúde nos estados, cidades e distritos (sic) mais ricos do Brasil” (ibidem, p. 1662).

Esta singular formulação parece implicar a análise do discurso constitucional sob uma forma cada vez menos jurídica e que ao mesmo tempo apaga todas as nuances dos conflitos na área da saúde para redefini-los como “luta de classes”, isto é, para “priorizar a atenção de necessidades básicas das classes em desvantagem”. A força deste discurso está em funcionar explicitamente como arma ideológica contra a Reforma Sanitária, visto que nele “o sistema público de saúde não deveria disponibilizar tratamentos de alto custo”, mas cuidados paliativos para “classes em desvantagem”, tencionando de forma cristalina os princípios da universalidade e da integralidade positivados pelo arcabouço constitucional brasileiro, que resultou na criação do SUS.

Em sua face empirista, o argumento deriva de uma única variável para constatar uma “classe social privilegiada” de pacientes-litigantes, ignorando-se que em uma sociedade de consumo o conceito de “classe social” entra em crise, sendo extremamente difícil defini-la aplicando múltiplas variáveis, que dirá uma única. Sem embargo, utilizar dados sobre o perfil socioeconômico dos litigantes de acordo com o Índice de Desenvolvimento Humano (“IDH”) de seus estados (cf. FERRAZ, 2011) ou mesmo de seus bairros (cf. WANG & FERRAZ, 2013), como veremos adiante, não bastaria para revelar a classe social do grupo “paciente litigante”. Em profundidade, ainda que o IDH inclua outras variáveis como educação, renda e expectativa de vida, este se refere não ao grupo em si, mas ao entorno em que este se insere e assim encerra uma única variável. Por exemplo, o IDH da Subprefeitura Sé (0,89) é o quarto maior IDH do Município de São Paulo. Contudo, se analisarmos outros indicadores como “violência”, constataremos que este Distrito está entre os dez com maior número de delitos criminais registrados em São Paulo no ano de 2017, segundo dados da Secretaria de Estado da Segurança Pública de São Paulo. Ainda, o IDH esconderia o fato de que o Centro Histórico seja o local de maior concentração de moradores de rua e ocupações de imóveis ociosos para fins de moradia por movimentos sociais. Por sua vez, dada a heterogeneidade encontrada na cidade, seus bairros contêm variabilidade populacional interna, que, conseqüentemente, possui condições de saúde relativamente dispares. Nada obstante, para Ferraz (2011, p. 1661), em decorrência da origem territorial onde são distribuídas as ações judiciais, “não seria difícil adivinhar quem se beneficia dos litígios de saúde”. Isto é, “seria surpreendente se aquelas famílias que figuram na base da sociedade (...) estivessem litigando por estes medicamentos em linha com o estado da arte, procedimentos e equipamentos de alta-tecnologia” (FERRAZ, 2011, p. 1662).

A abordagem aqui proposta objetiva, por outro lado, construir um compromisso de que as pessoas afetadas por nossa especulação não constituem mera “fonte de problemas”, como fazem aqueles que coletam dados como um leão que não diferencia uma presa viva de um naco de carne. Mas, ainda que nossa opção metodológica seja radicalmente diversa, priorizando o detalhe, a profundidade, cumpre apresentar alguns achados instigantes do estudo de caso realizado. Conforme amostragem por aglomerado, analisamos a concentração dos processos judiciais segundo a comarca onde foram distribuídos, os agentes ajuizadores, o IDH do endereço do autor e sua idade quando veio a óbito (ver Tabela 2). Em resultado, identificamos que as demandas partiram majoritariamente da Região Sudeste (50%); em segundo

lugar, da Região Nordeste (27,7%); seguida pela Região Sul (16,6%); Região Centro-Oeste (5,5%); e Região Norte (0%). Além disso, mais da metade dos pacientes-litigantes tinham idade avançada quando vieram a óbito: 38% eram idosos, em sentido legal (tinham mais de 60 anos), enquanto 16% possuíam mais de 50 anos. Os dados demonstram, ainda, que um único advogado foi responsável pelo ajuizamento de 83% das ações judiciais, enquanto os 17% restantes se concentraram em outro procurador. Finalmente, visto que não logramos obter dados de todos os indivíduos com respeito a suas rendas, cumpre referir que estaríamos falando em 0.0003% da população brasileira – que poderia fazer uso do Soliris® – que deveria coincidir com uma tal minoria socioeconomicamente privilegiada.

Em todo caso, é de se esperar que mais demandas se originem na Região com os estados mais populosos da Federação. Neste sentido, a diferença entre o número de casos oriundos da Região Sudeste (50%) e da Região Nordeste (27,7%) talvez se explique pelo fato de que esta representa 27,2% da população nacional, enquanto aquela possui aproximadamente 42% dos habitantes do país. Quando cruzamos estes dados com o IDH do município de origem do paciente, a correlação se torna ainda mais interessante: os 14 municípios com menor IDH (abaixo de 0.8) geraram 77% das demandas judiciais pelo Soliris®. Vale dizer, a maioria destas ações foram distribuídas na Seção Judiciária do Distrito Federal, com destaque para a 21^a Vara Federal, em que pese os pacientes residissem em 13 estados diferentes. Assim, não há relevância em cruzar dados da comarca onde foi distribuído o processo com indicadores de desenvolvimento local, tendo em vista as estratégias adotadas pelos agentes ajuizadores das ações ao eleger um foro em detrimento de outro. Em conclusão, a busca de algum significado socioeconômico no grau de desenvolvimento do estado onde a ação se originou é insuficiente para se determinar a classe social do paciente-litigante. Importa destacar, sobretudo, que estes dados estão inseridos em uma coleta por amostragem que revelou que pacientes pobres estavam litigando para acessar um insumo farmacêutico que já foi considerado o mais caro do mundo (ver seção 5.2.1.). Reforçando estes achados, vale referir o trabalho etnográfico primoroso de João Biehl e Adryana Petryna (2016, p.179): “pacientes-litigantes brasileiros mostravam ter conhecimento e habilidade que não eram comuns à sua classe, e estavam operando dentro do Estado, desafiando as administrações de saúde pública a cumprirem seus mandatos”.

Tabela 6. Perfil socioeconômico dos demandantes do Soliris® falecidos entre 2017-2018

Comarcado Processo	Município de Origem do Autor	Posição no IDH (índice)	Idade na data do óbito	Procurador
4a Vara Federal. Guarulhos (SP)	Guarulhos (SP)	320 (0,763)	22	A
1a Vara Federal. Goiânia (GO)	Goiânia (GO)	45 (0,799)	31	A
21a Vara Federal/SJDF	Rio de Janeiro (RJ)	45 (0,799)	46	A
1a Vara Federal. Colatina (ES)	Pancas (ES)	2738 (0,667)	70	A
21a Vara Federal/SJDF.	Fortaleza (CE)	467 (0,754)	63	A
21a Vara Federal/SJDF	Contagem (MG)	440 (0,756)	35	B
21a Vara Federal/SJDF	São Paulo (SP)	28 (0,805)	83	A
21a Vara Federal/SJDF	Alagoa Nova (PB)	4718 (0,576)	62	A
3a Vara Federal/SJDF	Orobó (PE)	3902 (0,610)	54	A
21a Vara Federal/SJDF	Londrina (PR)	145 (0,778)	55	A
3a Vara Federal/SJDF	Serrana (SP)	1052 (0,729)	26	B
21a Vara Federal/SJDF	Ribeirão das Neves (MG)	2332 (0,684)	45	A
21a Vara Federal/SJDF	Aracaju (SE)	227 (0,770)	33	B
3a Vara Federal/SJDF	Joinville (SC)	21 (0,809)	49	A
13a Vara Federal. São Paulo (SP)	São Paulo (SP)	28 (0,805)	89	A
3a Vara Federal/SJDF	Franca (SP)	128 (0,780)	76	B
3a Vara Federal/SJDF	Aracaju (SE)	227 (0,770)	74	A
3a Vara Federal/SJDF	Curitiba (PR)	10 (0,823)	56	A

Fonte: Elaboração própria com base em dados do Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística (IBGE)

Ainda em consonância com estes achados, Medeiros e colaboradores (2013), ao analisar o caso dos medicamentos para as mucopolissacaridoses (MPS), grupo de distúrbios raros que se caracterizam por deformidades no esqueleto, crescimento atrofiado e mudanças faciais, encontraram indícios de que as distribuidoras

e indústrias de medicamentos teriam interesse no modelo regulatório brasileiro, dado o atraso na incorporação de novas tecnologias no sistema público, chegando a arcar com os honorários advocatícios, razão esta da expressiva concentração de advogados privados na representação destas demandas. Em conclusão, os autores sugerem que o patrocínio da causa por advogado particular não seria por si só indicador de que uma elite é predominante na judicialização por acesso a medicamentos de alto custo.

Não menos importante que isso, Louisa Stüwe (2012, p. 24) sugere que uma vez que a litigância por um certo produto se estabiliza, as autoridades tendem a incluir a substância na política de assistência farmacêutica. Desse modo, a judicialização poderia servir como um mecanismo sinalizador de demandas por novos tratamentos e, assim, de expansão da política pública existente. Neste sentido, alguns autores têm vindo a argumentar que a judicialização da assistência farmacêutica não se caracteriza como “fonte de privilégios”, pois as obrigações impostas a autoridades sanitárias por meio de decisões judiciais acabam por criar políticas que garantem direitos não apenas àqueles que buscaram a via judicial (OLIVEIRA & NORONHA, 2011, p.33). Em outras palavras, as diversas vitórias individuais na esfera judicial estariam produzindo efeitos coletivos, ao estimular a criação de políticas públicas por membros do Executivo.

Vale lembrar, não há procedimentos específicos na CONITEC para avaliar tecnologias órfãs. Isto, na prática, faz com que elas sejam tratadas como não cobertas pelo SUS, ainda que este seja plasmado em princípios como a universalidade e a integralidade, relegando ao Poder Judiciário o papel de “*gatekeeping*” das demandas medicamentosas desta clientela. Como Fernando M. A. Aith observa com exatidão:

É sabido que, por serem doenças raras, dificilmente tais doenças terão o seu eventual medicamento ou tratamento definido pela CONITEC. Nesses casos, mesmo existindo uma opção medicamentosa no mercado privado, mas que ainda não foi incorporada ao SUS por meio da CONITEC, qual será o atendimento oferecido? O não oferecimento de um medicamento existente no mercado e com evidências científicas de eficácia, mas que ainda não foi incorporado ao sistema, caracteriza violação aos princípios da integralidade e da universalidade preconizados. (...) A amarração do tratamento de doenças raras à lógica de integralidade definida pela Lei 12.401/2011 gera dúvidas com relação à constitucionalidade do texto e mantém aberta a possibilidade de judicialização de ações e serviços eventualmente não contemplados pela nova política. (...) Além disso, vale destacar que, por mais que o Estado organize-se para fornecer um atendimento universal e integral aos cidadãos, sempre haverá exceções aos protocolos e diretrizes clínicas e terapêuticas incorporados ao sistema pela CONITEC e outras instâncias decisórias. O grande desafio, portanto, que vai para além das doenças raras e dos medicamentos órfãos, é conseguir organizar um sistema que ao mesmo tempo dê conta dos casos mais prevalentes na sociedade e dos casos raros ou que não se encaixam nos protocolos públicos, respeitando os princípios da universalidade e da integralidade. (AITH, 2014, p. 10-11)

5.4.1. Biopolítica da judicialização da saúde: discursos interpostos

Ao comentar a justiça das prestações de saúde de alto custo, o teórico do direito, Ronald Dworkin (2000), assevera que nestes tempos em que as ciências criaram muitas formas de tratamentos médicos de valor exorbitante, é um devaneio que uma comunidade política qualquer trate o prolongamento da vida como um bem que deva ser fornecido a qualquer custo – ainda mais em se tratando de produtos que tornem as vidas alongadas da população vidas que mal se vale a pena viver (DWORKIN, 2000, p. 309).

Retomando o texto de Motta Ferraz (2011), ao advogar que as decisões sobre o direito à saúde tomadas pelas cortes brasileiras produziram “consequências nefastas” (2011, p. 1660), o autor usa o exemplo “que envolveu um homem, João Batista Gonçalves Cordeiro, que sofreu de uma doença rara chamada distrofia muscular de Duchenne” (ibid., p. 1656), e cujo tratamento obtido na justiça à época custaria ao Estado a quantia de US\$63.800,00 para o transplante de células mioblásticas, realizado exclusivamente pela Clínica *Cell Therapy Foundation*, nos Estados Unidos²⁷. Destarte, entende que “há decisões judiciais que significarão um risco para a saúde e a vida de milhares de pacientes pobres que necessitam de tratamento urgente” (ibid., p. 1657).

Mesmo um jurista incisivo, como Virgílio A. da Silva, já apontou demandas individuais de portadores de Gaucher como a antítese de uma suposta necessidade coletiva, partindo de um consenso dado entre todos os cidadãos sobre que “saúde” se deseja; e, vai além, correlaciona-as com a manutenção da fome endêmica no país. Opõe, assim, dois tipos de sofrimento, sendo apenas um deles legítimo, aquele fundamentado em uma universalidade jurídica, visto que “as histórias de sucesso individual nem sempre são, de fato, histórias de sucesso coletivo” (DA SILVA, 2017, p. 394).

Não há motivo para duvidar da boa-fé do seu ponto de vista, como não havia quando Binding e Hoche propuseram o conceito de “vida que não merece viver”,

²⁷ Cabe, no entanto, a ressalva de que o caso se tratava de um menor impúbere pertencente a família pobre e que sentença se fundamenta no fato de que o transplante constituía o único meio capaz de salvar a vida do paciente. Citamos trecho da decisão: “Entre proteger a inviolabilidade do direito à vida, que se qualifica como direito subjetivo inalienável assegurado pela própria Constituição da República (art. 5º, caput), ou fazer prevalecer, contra essa prerrogativa fundamental, um interesse financeiro e secundário do Estado, entendo – uma vez configurado esse dilema – que razões de ordem ético-jurídica impõem ao julgador uma só e possível opção: o respeito indeclinável à vida. Por tal motivo, indefiro o pedido formulado pelo Estado de Santa Catarina, pois a decisão proferida pela Magistratura catarinense – longe de caracterizar ameaça à ordem pública e administrativa local, como pretende o Governo estadual (fls. 29) – traduz, no caso em análise, um gesto digno de reverente e solidário apreço à vida de um menor, que, pertencente a família pobre, não dispõe de condições para custear as despesas do único tratamento médico-hospitalar capaz de salvá-lo de morte inevitável (fls. 76).” (STF. Medida Cautelar na Petição 1246/SC. Publicado em 31 de janeiro de 1997. Relator Min. Celso de Mello.)

incorporado pelo Terceiro Reich, em 1940, quando o governo emitiu uma medida que autorizava “a eliminação da vida indigna de ser vivida”, com especial referência a doentes mentais incuráveis (AGAMBEN, 2002, p. 147).

No entanto, o discurso destes juristas nos permite apreender como sua análise não se mobilizou por como as peculiaridades epidemiológicas dos doentes raros eram excluídas das políticas de assistência farmacêutica, mas, sim, pelo rombo orçamentário supostamente causado por suas demandas individuais em nome do direito à vida. Eles tampouco se ocuparam de como certas estratégias regulatórias postas em prática pelo Estado coincidem com a disseminação dos tentáculos da indústria farmacêutica ao redor do mundo. Portanto, há um interesse neste discurso que funciona no interior do sistema econômico-político geral, sob o aspecto dos procedimentos de dicotomia que ele põe em prática: não uma oposição entre cidadãos do terceiro mundo esperançosos em viver e os efeitos internacionais associados à desregulação do preço de medicamentos órfãos em países do hemisfério norte; mas uma oposição entre indivíduos pauperizados famintos e corpos danificados por doenças incuráveis. Irremediavelmente, esta formulação remete àquela de Binding ao questionar se existem vidas humanas que perderam o valor de bem jurídico tanto para o portador da vida como para a sociedade:

Quem se coloca seriamente esta pergunta se dá conta com amargura de quão irresponsavelmente nós costumamos tratar vidas mais cheias de valor (*wertvolsten Leben*) e repletas da maior vontade e força vital, e com quantos – frequentemente de todo inúteis – cuidados, com quanta paciência e energia nos aplicamos em vez disso a manter em existência vidas não mais dignas de serem vividas, até que a própria natureza, muitas vezes, com cruel demora, tolhe sua possibilidade de continuar. Imagine-se (...) uma mina onde uma catástrofe matou centenas de laboriosos operários, e tenha-se presente ao mesmo instante os nossos institutos para deficientes mentais (*Idioteninstituten*) e os cuidados que eles prodigalizam aos seus pacientes – e não se poderá então deixar de abalar-se por este sinistro contraste entre o sacrifício do bem humano mais caro, de um lado, e a enorme atenção dada a existências não só absolutamente sem valor (*wertlosen*), mas, aliás, que devem ser avaliadas negativamente. (Apud. AGAMBEN, 2002, p. 147)

Como visto no capítulo 3, a CONITEC tarda em recomendar a incorporação de tratamentos para doenças raras no SUS. Diante disso, para o tratamento dos pacientes que delas padecem, o sistema nada disponibiliza a não ser cuidados paliativos, como transfusões ambulatoriais e hospitalares. Em que pese tratar-se de doenças raras, estes são submetidos a “tratamentos convencionais”. Ao inserir estes pacientes no fluxo convencional do SUS, as avaliações de tecnologias em saúde vigentes assumem o seu significado próprio e permitem descrever quando o programa biopolítico brasileiro

expõe alguns pacientes ao sofrimento, “como esse poder que tem essencialmente o objetivo de fazer viver pode deixar morrer” (FOUCAULT, 2010, p. 214). Abandonados a uma morte lenta, os pacientes órfãos talvez possam ser de algum modo assemelhados a *homines sacri*, figura do antigo direito penal romano descrita por Giorgio Agamben como uma vida que pode ser morta sem que se cometa homicídio:

Justamente porque privados de quase todos os direitos e expectativas que costumamos atribuir à existência humana e, todavia, biologicamente ainda vivos, eles vinham a situar-se em uma zona limite entre a vida e a morte, entre o interno e o externo, na qual não eram mais que vida nua. (AGAMBEN, 2002, p. 166)

Cumpra sublinhar que, em simetria ao papel observado na fórmula alcunhada por Binding para dar um status jurídico à “morte por graça” no governo do Reich, o aparecimento desta dicotomia pobres/doentes-incuráveis na literatura sobre a judicialização da saúde (FERRAZ, 2011; LIMA, 2015; DA SILVA, 2017) coincide com uma virada decisiva na biopolítica do Estado brasileiro. Cumpra notar, a articulação jurídica do poder executivo foi crucial na retórica adotada pelo Min. Barros quando este justificou a interrupção no fornecimento dos medicamentos Eculizumabe, Galsulfase, Atalureno Elosulfase Alfa, Laronidase e Idursulfase. Ressalte, aqui, o caso de Bruno da Silva Rolim, que assim como João Batista Gonçalves Cordeiro, era portador de distrofia muscular de Duchenne. Em julho de 2017, ele obteve liminar na Justiça Federal concedida para acessar o Atalureno (processo n.º 0021589-03.2016.4.03.6100). Em abril de 2018, os advogados responsáveis peticionaram o descumprimento da liminar juntando declaração de que Bruno nunca recebeu o medicamento, em que pese a medida liminar ter garantido a ele este direito. Em 31 de agosto de 2018, dez meses após lograr obter a tutela jurisdicional, Bruno não aguentou e faleceu aos 19 anos de idade por complicações cardíacas, sem jamais ter recebido a medicação.

Resulta desta contra-narrativa liberal uma profusão bibliográfica que defende o policiamento de ações judiciais movidas por doentes raros. O esforço deste discurso é explicar a justa medida do direito à saúde, livrando-a do lobby da indústria farmacêutica com associações de doentes e médicos ingênuos, sujeitos à propaganda dos comerciantes de medicamentos (CHIEFFI & BARATA, 2010, p. 422). Santos & Gonçalves (2006) colocam: “o fluxo dos atores envolvidos produz *indícios* de que existe um *esquema* montado para acionamento do Estado, envolvendo associações de pacientes, advogados e *possivelmente* a indústria farmacêutica”. Os termos *itálicos*

demonstram, além de certa cautela sobre o papel da indústria, a necessidade de policiar a relação entre advogados e associações de pacientes; uma aliança, é claro, perigosa.

Dentro desta ideia, Rister Lima listou uma série de exemplos do que chama de “irracionalidade decisória” ou “discurso eleitoral” do Supremo Tribunal Federal, referindo precedentes judiciais em que a Corte condenou o Estado a fornecer medicamentos para portadores de doenças raras (LIMA, 2015, p. 105). Com efeito, o jurista deduz que o STF “desconsidera a situação financeira do ente público demandado, (...) aproximando-se de uma atuação simbólica porque garante um direito a uma elite que teve acesso ao Judiciário”. E conclui que o Supremo construiu uma jurisprudência que costuma conceder “medicamentos de luxo” (sic).

Em que pese integre seu objeto de pesquisa, estes autores ignoram tratar-se o medicamento de um objeto excepcional, cuja esfera de circulação se desdobra em leis (de prescrição) radicalmente diferentes daquelas da esfera econômica (de troca), visto que, “eles se universalizam sem ser jamais absorvidos em seu valor de troca” (PIGNARRE, 1999, p. 87), e que “quem consome jamais é aquele junto ao qual se terá argumentado as qualidades do medicamento: é o doente que consome o medicamento por razões (indicações) conhecidas e assinaladas pelo médico” (ibid., p. 101). Em suma:

Quando a publicidade de uma mercadoria diz “esse produto X é feito para você”, ela assinala que nada é evidente, que temos justamente o direito de não crer e que há influência nela. Ninguém *crê* na publicidade, por isso ela é tão pouco didática. Ao contrário, quando o estudo contra-placebo diz “esse medicamento é feito para você”, restará muito pouca margem de negociação para que na extremidade da cadeia um paciente, ausente enquanto comprador, possa ponderar na escolha de recusá-lo ou de consumi-lo. (ibid., p. 114)

Com efeito, contrariamente à crença que atribui ao marketing todos os sucessos ou fracassos de vendas de medicamentos ao Estado (CHIEFFI & BARATA, 2010), hoje se reconhece que um bom analista financeiro que se ocupa do setor farmacêutico é cada vez mais um híbrido singular entre o especialista em biologia e o especialista em finanças, de molde que é lícito pensar que as operações comerciais dependem cada vez mais estreitamente do que se passou no ensaio clínico (PIGNARRE, 1999, p. 136). Pois, afinal de contas, vimos que com o aparecimento da reivindicação do direito à saúde, e também em relação aos “bons ensaios”, envolve-se sempre a possibilidade de transformar e reorganizar o mercado (ibid., p. 146). No caso dos medicamentos órfãos, em que não há expectativas que seu custo de desenvolvimento e introdução no mercado possam ser cobertos pelas vendas potenciais sob condições

normais de mercado (KAKKAR & DAHIYA, 2014, p. 231), estas observações são ainda mais palpáveis, até mesmo evidentes, com base nos dados, apresentados por Claire Dennis (2017, p. 164), de que há uma conexão íntima entre o anúncio da designação de órfão e a valorização das ações do laboratório promotor do medicamento.

Por razões que é preciso estudar, a partir de um certo momento os discursos da contracorrente liberal passaram a ter utilidade política e, logo, foram sustentados por gestores públicos, com destaque para o Min. Ricardo Barros. Este episódio demonstra como estas concepções corroboram a expansão do poder judiciário como meio através do qual elites hegemônicas promovem suas agendas ideológicas, por vezes, contestadas pela população (HIRSCHL, 2007, p. 43). Em suma, identificamos um comportamento auto-interessado de atores políticos no processo de judicialização do caso em análise, convertida em oportunidade para promover uma agenda neoliberal de desregulação econômica, de livre-comércio e de deslegitimação ideológica do Estado facilitador. Vale lembrar, em entrevista ao JOTA, Barros reconheceu haver “incoerência” nos procedimentos de compra das drogas e, corroborando a notícia de O Globo, confirmou haver orientado as associações de pacientes a demandar a ANVISA na justiça.

Sou gestor da saúde. Estou fazendo tudo dentro do necessário. (...) Quando o juiz que deu a sentença diz que norma [DDR] contrataria a livre concorrência, é interpretação dele. Mas isso mostra que é um problema [a exigência da Anvisa] controverso e que precisa ser resolvido. Queremos que se resolva logo e já pedimos colaboração. Inclusive do MPF, juizes da vara de saúde. Todos foram chamados. Pedi ajuda a eles. (VARGAS, 2019)

Conforme a abordagem da preservação hegemônica (HIRSCHL, 2007), do ponto de vista do político, delegar a competência para a tomada de decisão a tribunais pode ser uma maneira eficaz de transferir sua responsabilidade, e, com efeito, reduzir os riscos para si próprios e para os aparatos institucionais em que operam. Desregulação, mercadorização da cidadania, um sem-número de burocracias desajustadas, são alguns dos referentes que identificamos no variado conjunto de medidas estatais com o objetivo de reduzir a responsabilidade do Estado na produção destes *homines sacri*.

Ao ensejo, o argumento da escassez de recursos é lugar comum nestes discursos. Pois, as escolhas do orçamento da saúde evidenciariam como o Estado faz escolhas de alocação com recursos escassos, que, para alguns, seriam “escolhas trágicas” (CALABRESI & BOBBITT, 1978). No entanto, preferimos pensar junto àquilo que Pignarre e Stengers (2011) concebem como “alternativas infernais”, que

implicam formas “realistas” de captura da imaginação política, que visam minar, aprisionar e, enfim, anestesiá-las as capacidades de pensar e resistir daqueles que tinham meios para isso. Por exemplo, “se a reforma trabalhista não for aprovada, uma fábrica será realocada para a China, o que causará efeitos perversos na economia e todos nós perderemos com isso” (PIGNARRE & STENGERS, 2011, p. 24). Desse modo, cada situação onde alternativas infernais se apresentam são precedidas de múltiplos processos de reorganizações ditas racionais, com uma proposição lógica: “Recusam jornadas de trabalho insuportáveis? Outros ficarão contentes em substituí-los”.

Neste âmbito, fica fora de questão considerar a evidência que se impõe ao longo da seção 5.3.2., visto que “não se pode tocar nem nas ‘leis do mercado’, nem nos lucros das indústrias. Trata-se, portanto, de aprender a se adaptar, com o triste suspiro que mata tanto a política como a democracia: ‘Não tem jeito, é preciso’ ” (STENGERS, 2015, p. 17). Ou a reforma da previdência ou a falência do Estado; ou o freio à imigração ou o colapso social; ou a indústria farmacêutica ou o fim do financiamento das pesquisas. Em suma, se a Administração gastar recursos finitos para proteger a vida de um único doente, arruinará a economia (e, com isso, a vida de milhares).

No fundo, o discurso de que o recurso gasto com ordens judiciais sacrificará o que poderia ser a assistência a doenças prevalentes encerra uma narrativa contra os doentes raros e que funciona como princípio de segregação biológica: “discurso de um combate que deve ser travado (...) contra aqueles que estão fora da norma, contra aqueles que constituem outros tantos perigos para o patrimônio biológico” (FOUCAULT, 2010, p. 52). Discurso que simplesmente ignora que a judicialização da saúde é um fenômeno complexo, que “arregimenta pessoas doentes, leis, peritos, especialistas e biotecnologias, que enlaça desde lares a hospitais, repartições públicas e a sala de audiências, que refaz estes espaços e as pessoas em si” (BIEHL, 2016, p.82).

Discurso que realça como os juristas, por vezes, fracassam em sua tarefa de agir na distribuição entre “o que o Estado deixa o capitalismo fazer e o que o capitalismo faz o Estado fazer” (STENGERS, 2015, p. 75). Discurso dominado pela ideia de que seja possível falar em um interesse da coletividade inteira, esta “forma clandestina de transcendência” (ibid., p.54), que ignora o desejo comum de viver, expressado em práticas de cooperação: “práticas que (...) não substituem as lutas sociais, mas as articulam com outros modos de resistência, que conseguem fazer conexões onde predominava uma lógica das prioridades estratégicas” (ibid., p. 51). Em vista disto tudo:

Não é de surpreender que os especialistas que jogam esse jogo saibam que eles só serão plausíveis se suas opiniões forem as mais “ponderadas” possíveis, ou seja, que eles deem todo seu peso à legitimidade do inovador “que investiu”. (...) com a articulação Empresário-Estado-Ciência estamos bem próximos da lenda dourada que prevalece quando se trata da “irresistível escalada de poder do Ocidente”. Essa lenda põe efetivamente em cena a aliança decisiva entre a racionalidade científica, mãe do progresso de todos os saberes, o Estado que se livrou enfim das fontes de legitimidades arcaicas que impediam essa racionalidade de se desenvolver, e o crescimento industrial que traduz em princípio de ação enfim eficaz, o que os marxistas chamaram de desenvolvimento das forças produtivas. É dessa lenda, por certo, que devemos escapar, mas, se a arte de ter cuidado deve ser reconquistada, é importante começar tendo cuidado com a maneira pela qual somos capazes de escapar dela. (STENGERS, 2015, pp. 60-61)

É das simplificações que convém desconfiar, especialmente, quando se cuida da (bio)política da judicialização de medicamentos para doenças raras. É preciso explicitar os vínculos e premissas dos discursos que povoam este fenômeno para, assim, deixar um espaço livre de transição no qual possam emergir outras legitimidades. Falamos, sobretudo, nas legitimidades dos movimentos de pacientes organizados que conquistaram o direito de intervir nos debates técnicos de que eram excluídos.

Não faltam registros de associações de pacientes que acabaram se tornando os melhores aliados da indústria farmacêutica, exigindo que fosse reconhecida uma doença para a qual a empresa propunha um medicamento (STENGERS, 2015, pp. 92-93). Porém, há vários exemplos de associações de pacientes que forçaram a sua entrada nos laboratórios responsáveis por realizar um ensaio clínico, “não como população recrutada, mas apresentando suas próprias exigências” (PIGNARRE, 1999, p. 59).

Porém, do ponto de vista do paciente, é impossível ter um vínculo com o representante farmacêutico, é impossível ter acesso às revistas “reservadas” aos médicos, é impossível assistir aos congressos médicos ou científicos (ibid., p. 113). Ademais, demanda-se um esforço voluntarista considerável para criar uma associação, ou então, um grupo de pacientes, sem que outros atores da cena venham a reforçar suas razões de existir. De fato: “Os pacientes só formam coletivos por meio dos diagnósticos que lhes são feitos, isto é, jamais enquanto pacientes” (ibid., p. 111).

No entanto, há sempre um oportunista à espreita, capaz de se aproveitar destes coletivos biomoleculares. Afinal, “é da natureza do capitalismo explorar as oportunidades, *ele não pode evitar*” (STENGERS, 2015, p. 47). Daí a necessidade de convocar a “arte farmacológica” (ou “arte do *pharmakon*”), conforme Isabelle Stengers:

Só existe uma única certeza, de que o processo de criação de “possível” deve fugir de um modo utópico como o diabo da cruz, e que apela para a superação dos conflitos, que propõe um remédio cujo interesse todos

deveriam respeitar. A única generalidade consistente é que *qualquer criação deve incorporar o saber de que ela não se arrisca em um mundo amigo, e sim em um meio doentio*, de que ela terá que lidar com protagonistas – o Estado, o capitalismo, os profissionais etc. – que se aproveitarão de qualquer fraqueza e que acionarão todos os procedimentos possíveis de envenená-la (“recuperá-la”). E isso, por exemplo, reconhecendo os usuários de maneira a transformá-los em *stakeholders*, criando situações que dividem aqueles e aquelas que procuram cooperar, exigindo garantias inoportunas ou fabricando alternativas infernais que desmembram o que procurava criar sua própria posição. (STENGERS, 2015, pp. 98-99)

Isto envolve um sem-número de questões problemáticas, mas cumpre aqui frisar a formação de novas identidades individuais e coletivas, bem como de práticas emergentes, que no interior destas batalhas judiciais, faz com que grupos de pacientes se encontrem para compartilhar experiências, fazer *lobbies* por sua doença, educar seus cuidadores e familiares, engajando desde seus lares e assim por diante. Ou seja, imbricam-se naquilo que Paul Rabinow (1992, p. 244) denomina “biossociabilidade”.

Ao fim e ao cabo, ainda que se queira culpabilizar a judicialização da saúde pela “medicamentalização” da sociedade (FRANCO & MERHY, 2013, p. 113-6), este fenômeno é apenas uma nuance desta tendência. Como aponta Biehl (2016, p. 91), a saúde pública no Brasil tem sido vista cada vez mais como sinônimo de acesso a medicamentos em um processo que acompanha a sua privatização, tornando o país em uma plataforma lucrativa e um dos mercados farmacêuticos mais pujantes do mundo.

5.4.2. Ações coletivas e planos de serviços jurídicos em grupo

No presente estudo de caso, a atuação de uma associação de pacientes foi importante ao fomentar a comunicação entre doentes raros e autoridades sanitárias, uma vez que as decisões tomadas nos anéis burocráticos do Estado afetaram diretamente a vida de seus associados. Além disso, aquela organização foi responsável por encurtar distâncias entre conhecimentos científicos e indivíduos vulneráveis, diminuindo barreiras econômicas e de informação para o acesso à justiça, por pacientes que necessitavam do Soliris® para sobreviver. Ademais, sua representação perante a Comissão de Fiscalização Financeira e Controle — CFFC, em dezembro de 2017, bem como em reuniões para debater o descumprimento das decisões judiciais pelo Ministério da Saúde (MS), entre 2017 e 2018, conformou a esperança de centenas de pacientes que estavam desassistidos há meses. Não menos importante que isso foram as sugestões da entidade para que os dados apresentados pelo DenaSUS sobre os pacientes que faziam uso do medicamento fossem utilizados para criar um sistema que possibilitasse o acesso ao Soliris® sem precisar ingressar com demanda judicial. Neste momento, esta

organização transformou-se em abrigo micropolítico, tensionando a governança da ATS praticadas pela CONITEC. Com efeito, poderia ser descrita como praticante daquilo que Rabeharisoa, Moreira e Akrich (2013, p. 13) chamam de um “ativismo embasado em evidências”, isto é, uma “ação política na qual mudanças epistêmicas, processos de produção de conhecimento e instituições são reconstruídos”.

Se quiséssemos resumir a discussão diríamos que a organização de doentes raros em associações “empodera” (isto é, “*empower*”) esses pacientes. Com efeito, ao garantir a observância de seu direito à vida e de acesso à justiça, esta organização expande a esfera de sua cidadania, desafiando autoridades regulatórias, formuladores de políticas públicas e crenças estabelecidas nos sistemas sanitários. Contudo, identificamos também um número fantástico de grupos de interesse, que causariam distorções na *forma* como isto tem ocorrido. A fim de saná-la, sugerimos, além da implementação de mecanismos judiciais especializados (seguindo a sugestão do CNJ de que cada tribunal institua varas especializadas em saúde), a regulamentação de Planos de Assistência Jurídica em Grupo para os doentes raros. Desta forma, impor-se-iam legitimamente os direitos coletivos desta classe. Para Pfennigstorf e Kimbal (apud. CAPPELLETTI & GARTH, 2015, p. 148), serviços jurídicos em grupo definem-se por:

“(1) um acordo entre um grupo organizado de clientes em potencial de um lado e um ou mais advogados do outro; e (2) um padrão de benefício que geralmente inclui uma certa quantidade de consultas ‘grátis’, e a possibilidade de utilização de outros serviços, mediante uma tabela de honorários pré-estabelecida e geralmente (embora nem sempre) mais barata que a usual”.

Neste ponto, tocamos um aspecto processual observado no caso estudado, relativo à constatação de interesse metaindividual, com a subutilização do processo coletivo, em que pese a possibilidade de coletivização das decisões, inclusive por meio do incidente de coletivização, expansão dos efeitos da decisão puramente individual e mandado de segurança coletivo²⁸.

Para além do fornecimento de subsídios para o ajuizamento de ações individuais de obrigação de fazer em face do Estado, associações de pacientes deveriam gozar da possibilidade de manejo da ação civil pública, quando, evidentemente, houver interesse metaindividual. Dispor da ação civil pública para tutelar os interesses e

²⁸ Para um exemplo de ação civil pública que ataca uma prática regulatória sob o argumento da “garantia a uma vida digna”, v. Resp N.º 1.600.172 - GO, rel. Min. Herman Benjamin. Para um exemplo de ação coletiva demandando medicamentos em face de planos de saúde, v. Resp N.º 1.481.089 – SP, rel. Min. Ricardo Villas Bôas Cueva.

direitos fundamentais de seus filiados de forma coletiva potencializaria o acesso à justiça dos pacientes raros, em sintonia com o caminhar da melhor e mais arejada doutrina processual-constitucional.

Nesta perspectiva, seria de se incluir as associações de pacientes no rol de legitimação ativa dos proponentes da Ação Civil Pública, alterando-se o inciso V, art. 5º, da Lei n. 7.347/1985. Tal mudança legislativa transporia para o plano infraconstitucional o novo perfil do direito à saúde, considerando-se exigências de justiça sanitária, a emergência das associações no espaço da regulação e seus reflexos no sistema de justiça. Distorções talvez cessariam caso, ao invés de adjudicar individualmente, o judiciário determinasse a implementação de políticas públicas específicas para os pacientes raros, especialmente, se impusesse maior transparência a como os dados sobre efetividade e custo-efetividade são interpretados pela CONITEC para fins de formulação de políticas de dispensação de medicamentos órfãos.

Neste sentido, observamos no estudo de caso a entrada em cena de novos movimentos sociais que rechaçam a concepção liberal de direitos humanos, fazem das relações sociais uma intrincada trama de práticas dirigidas à construção de novas sociabilidades, solidariedades e identidades comuns, e que desafiam a rigidez lógico-formal do sistema de justiça mediante a politização de questões aparentemente técnicas. Com efeito, surgem novas representações do social e do político, enquanto espaços de constituição de novos sujeitos, que geram novos conflitos coletivos, exigindo novos instrumentos jurídicos para serem canalizados, filtrados e decididos no âmbito das instituições do Estado, transformando o ramo judicial em um *locus* político privilegiado como arena de luta, confrontação e negociação (FARIA, 2001, pp. 226-230).

Neste sentido, planos de serviços jurídicos para pacientes raros poderiam incrementar o acesso à justiça para essa “classe” de litigantes, promovendo os interesses difusos do grupo, além de enfatizar a “prevenção” e a educação a respeito dos direitos destes cidadãos. Os interesses individuais de todos os cidadãos acometidos por enfermidades raras não são necessariamente semelhantes aos seus interesses enquanto grupo. Mas um Plano de Serviços Jurídicos em Grupo (“*Group Legal Service*”) para esta categoria, junto às associações de pacientes, proporcionará, além de um advogado para um caso particular, a defesa dos membros enquanto classe, acrescentando uma nova dimensão ao desejo dos pacientes litigantes de se auxiliar e proteger juridicamente. Contudo, para evitar conclusões precipitadas, cumpre observar que as ações coletivas podem não ser sempre a melhor maneira de resolver contenciosos estratégicos através

da jurisdição constitucional, visto que este tipo de demanda depende, sobretudo, não só da hospitalidade sociocultural em relação ao tema, mas também do ambiente político, da atmosfera ideológica e limitações institucionais específicas (HIRSCHL, 2007, p. 218).

5.4.3. A inadequação das soluções extrajudiciais dos litígios de saúde

Importa observar, ainda que de forma breve, iniciativas como os “mutirões de conciliação da saúde”, em que são escolhidos alguns litígios judiciais sobre saúde e levados para tentativa de celebração de acordo entre as partes (SCHULZE, 2015, p. 7). Destaque-se, neste sentido, a Lei Estadual nº 23.172, de 20/12/2018, do Estado de Minas Gerais, que institui a Câmara de Prevenção e Resolução Administrativa de Conflitos para mediar conflitos de saúde antes que cheguem ao Poder Judiciário. Ademais, merece referência a Câmara de Resolução de Litígios de Saúde (CRLS), iniciativa da Procuradoria Geral do Estado do Rio de Janeiro (PGE-RJ) em parceria com as Defensorias Públicas do Estado e da União, e as Secretarias estadual e municipal de Saúde, cuja atuação consiste, em síntese, na emissão prévia de relatórios técnicos por profissionais das Secretarias de Saúde do Município ou do Estado do Rio de Janeiro com o intuito de direcionar os usuários no fluxo de funcionamento do SUS, solucionando os pedidos extrajudicialmente.

Em perspectiva similar, o chamado Núcleo de Apoio Técnico (NAT) foi instituído, através da Portaria n. 66, de 18 de maio de 2011, pela Secretaria Municipal de Saúde de Araguaína/TO, para promover interações entre a ouvidoria municipal e os atores políticos envolvidos em demandas judiciais de saúde. Entre seus diversos objetivos, figuram a mediação de conflitos, o alcance de soluções administrativas para as demandas em saúde, a democratização de informações e da gestão.

Seria de se ressaltar, ainda, o Núcleo de Conciliação de Medicamentos do município de Lages/SC, celebrado por meio de um Consórcio Intermunicipal, inicialmente pensado para lidar com a judicialização de medicamentos. Para o atendimento destas demandas, o órgão conta com uma equipe multidisciplinar, que busca não somente oferecer um parecer sobre a pertinência, existência do medicamento na lista oficial, etc., mas também fazer a mediação dos conflitos, cujo pressuposto é que o modelo adversarial do processo judicial seria insuficiente para lidar com as demandas de saúde, sendo importante para seus propulsores a criação de estruturas extrajudiciais. Há outras experiências que buscam fomentar a criação de estruturas que busquem promover a conciliação pré-processual de demandas que envolvam insumos, produtos e

serviços de saúde, como a de Brasília/DF, onde foi criada em 2013 a Câmara Permanente Distrital de Mediação em Saúde (CAMEDIS), através da Portaria Conjunta da Secretaria da Saúde do Distrito Federal e da Defensoria Pública N.º 1/2013. O principal objetivo do projeto foi a constituição de um espaço institucional para a mediação extrajudicial de conflitos em matéria de saúde. Finalmente, cumpre referir o “Programa ACESSA SUS” do estado de São Paulo, que teve início em 2017, com o objetivo de criar um protocolo para atendimento de pedidos, esgotando todas as medidas no âmbito administrativo antes de dar prosseguimento a ações judiciais, como a reorientação para que o paciente obtenha o produto/medicamento já ofertado pelo SUS ou, ainda, ofertando alternativas terapêuticas disponíveis no sistema. O programa se dá por meio de um sistema informatizado que permite acompanhar o andamento de cada processo ou solicitação, no qual a Defensoria tem acesso à resposta do atendimento pela Secretaria Estadual de Saúde em até 24 horas. Nesta toada, o documento “Judicialização da Saúde no Brasil: Perfil das demandas, causas e propostas de solução”, recomenda que o Estado deva investir na criação de órgãos/processos extrajudiciais de solução de conflitos sobre saúde, aptos a receberem as demandas por produtos e serviços que não estão previstos no SUS e analisarem essas demandas em etapa prévia à judicialização:

Se as demandas forem previamente analisadas pelo órgão administrativo, elas podem ou ser solucionadas nesta via, o que já seria positivo, ou, não ocorrendo assim, e na hipótese de haver a judicialização do conflito, quando os processos judiciais forem impetrados serão instruídos com documentos mais robustos que analisarão a real necessidade daquele produto ou serviço pelo paciente e, também, a pertinência ou não de seu fornecimento pelo Sistema Único de Saúde, considerando os critérios de custo e eficácia terapêutica. (CNJ, 2019, p. 163)

Se, por um lado, deparamo-nos novamente com a exigência de que o tratamento seja “custo-efetivo”, que, como já amplamente demonstrado, se aplicada aos medicamentos órfãos nenhum deles seria viabilizado (ARAÚJO, 2014, p. 26); por outro, cumpre ressaltar que haveria que se investigar, em pesquisas empíricas futuras, como se dão as negociações destes processos de conciliação, restando saber o que se define por “sucesso” nesse âmbito. Preocupa a natureza da resolução obtida, visto que direitos fundamentais são problematizados nestas demandas que, por vezes, envolvem esforços para apoiar os cidadãos contra a administração pública. Além disso, existe sempre o perigo de que a “improvisação” com o procedimento tenha efeitos sérios e indesejados (CAPPELLETTI & GARTH, 2015, p. 163).

No domínio da sociologia do direito, poderíamos dizer que este tipo de recomendação deriva do que nas últimas décadas ficou conhecido como o movimento de reforma do sistema de justiça na América Latina. Pode-se dizer, com Boaventura de Sousa Santos, que a partir de fins dos anos sessenta se acumulavam sinais de crise no formalismo que se manteve dominante durante o período anterior. Contudo, a partir de então, esta crise foi se aprofundando, “de tal modo que podemos caracterizar o tempo presente como de um novo movimento de pêndulo, esta vez no sentido do informalismo, que parece ser também do estatismo ao civilismo” (SANTOS, 2001b, p. 275). No plano destas transformações, a reforma judicial consiste na criação de mecanismos de processamento e resolução de litígios que têm entre suas características: (i) uma ênfase em resultados mutuamente acordados, em lugar da estrita obediência legal; (ii) a preferência por decisões obtidas por mediação e conciliação, em lugar de decisões obtidas por meio da adjudicação (vencedor/vencido); (iii) atribuição de competência às partes para proteger seus próprios interesses e conduzir sua própria defesa em um contexto institucional desprofissionalizado, através de um processo conduzido em linguagem comum; (iv) eleição de uma terceira parte não jurista pela comunidade ou grupos cujos litígios se pretende resolver; (v) e o diminuto ou quase nulo poder de coerção que a instituição pode mobilizar em seu próprio nome (ibid., p. 276). Se antes estes mecanismos cuidavam de conflitos de pouca monta, como conflitos entre vizinhos, agora também cuidam de litígios próprios dos direitos sociais conquistados na primeira metade do Século XX (ibid., p. 276). Boaventura alerta, assim, que devemos nos precaver contra apreciações apriorísticas do informalismo vez que seu significado social e político é em princípio ambíguo (ibid., p. 276).

O sociólogo português sugere, assim, que as reformas de informalização da justiça são, em larga medida, determinadas por critérios de eficácia definidos pela lógica formal e estatista do Estado. Com efeito, informalização significa, neste caso, desvalorização social das relações em litígio (SANTOS, 2001b, p. 287). Em vista disso, a informalização e, portanto, a desburocratização acarretaram a redução ou a eliminação do poder coercitivo à disposição dos agentes de resolução de conflitos:

Se levar em conta que muitos dos conflitos que se pretendia processar informalmente aconteciam entre partes com poder social estruturalmente diferente (conflitos entre locadores e inquilinos, entre comerciantes e consumidores), é fácil concluir que a mediação e a arbitragem eram suscetíveis, em tais casos, de se tornar repressivas pela ausência de um poder coercitivo superior, capaz de neutralizar, em alguma medida, as diferenças de poder entre as partes. (...) A informalização, sempre que assume a forma de

conciliação repressiva, significa o desarme e a desvalorização social dos grupos sociais subordinados. (SANTOS, 2001, p. 287)

Em vista disso, não surpreende que os descumprimentos de ordens judiciais pela administração pública têm se tornado frequentes no Brasil depois que estes mecanismos com competência específica para solucionar casos de saúde passaram a funcionar. Os pacientes dependem destes medicamentos para viver, de molde que isto – parafraseando Sarlet (2007, p. 346) – acaba por se equiparar, a cada vez, à aplicação de uma pena de morte para alguém cujo único crime foi o de não ter condições de obter com seus próprios recursos o tratamento necessário. Resta claro, portanto, que estas soluções extrajudiciais de conflitos sobre saúde não foram adotadas como medidas tendentes a aproximar a justiça aos cidadãos e, neste sentido, democratizar a justiça. Afinal de contas, nestes “programas de conciliação”, o poder do Estado se insinua de forma desigual, seja porque estas medidas de informalização são via de regra uma iniciativa do próprio Estado, seja porque implicam em uma forma de “coerciliação”, tendo em vista que acabam por sucumbir à lógica formal da atuação burocrática do Estado, ou por estreitar as relações entre juízes e partes contrárias aos demandantes, como a CONITEC, sugerindo que aqueles aprendam com estes a “resolver os casos”.

E se o enfoque do acesso à justiça reconhece a necessidade de correlacionar o meio adequado de solução ao próprio conflito, é preciso distinguir um litígio de outro. Para isso, as partes que tendem a se envolver em um determinado tipo de litígio devem ser levadas em consideração. Nesse quadrante, a inadequação da conciliação como meio de solução de conflitos em saúde é evidente, uma vez que pacientes de baixo nível econômico e de saúde não terão a capacidade de apresentar seus próprios casos de modo eficiente, sendo mais prejudicados que beneficiados por tal “enfoque”. Neste sentido, devemos reservar-nos o direito de ser céticos quanto às possibilidades de realização desses programas conciliatórios, até que eles tenham sido cuidadosamente estudados. Afinal, em termos da reforma do sistema de justiça, “a finalidade não é fazer uma justiça ‘mais pobre’, mas torná-la acessível a todos, inclusive aos pobres” (CAPPELLETTI & GARTH, 2015, p. 165). Portanto, o tema da conciliação em saúde deve ser observado com cautela, e, por certo, a solução para o conflito estudado não será extirpando a judicialização, legítima e democrática alternativa de acesso à saúde.

5.5. Considerações sobre jogadores repetidos e franco-atiradores

Algumas considerações podem derivar do estudo de caso, cuja análise ora será realizada através do acionamento de fontes teóricas das mais variadas naturezas. Em um primeiro momento, vimos que embora o debate sobre a judicialização do direito à saúde tenda a generalizá-la, em um discurso segundo o qual esta reproduz desigualdades profundas, desestabilizando o sistema público (CHIEFFI & BARATA, 2009; DA SILVA & TERRAZAS, 2011; FERRAZ, 2011; WANG & FERRAZ, 2013; LIMA, 2015; DA SILVA, 2017), a combinação de perspectivas advindas da sociologia do direito, da ciência política e, especialmente, da antropologia da saúde, oferece-nos um número imenso de nuances inexploradas deste fenômeno. Com isso, buscamos desenlaçar os fios da judicialização, identificar seus distintos tipos, estilos e causas. E encontramos consonância em uma vigorosa bibliografia, dotada de evidências mais robustas, amostragens maiores e que contemplam o exame de mais variáveis (BIEHL et al., 2012; BIEHL, 2016; BIEHL & PETRYNA, 2016; SANT'ANA, 2017; AITH et al., 2013; MEDEIROS et al., 2013; OLIVEIRA et al., 2011; CASTRO, 2012).

Em síntese, os autores da (contra-)corrente liberal gostam de lembrar-nos, como se fosse o epítome do bom senso, que os advogados melhor treinados representam os mais favorecidos, de maneira que a judicialização aumentaria a capacidade destes para atravessar, distorcer ou impedir o desenvolvimento de políticas universais. Para testar a validade desta assertiva, realizamos um estudo empírico através de amostragem randômica, dentro do grupo que demanda na justiça um dos produtos mais caros do mundo (Soliris®) ao SUS, identificando o perfil socioeconômico destes indivíduos. A tarefa em mãos consistiu, em um primeiro momento, na observação deste fenômeno utilizando ferramentas teóricas do movimento de acesso à justiça (GALANTER, 1974; SANTOS, 2001b; CAPPELLETTI & GARTH, 2015).

Importa destacar a obra de Marc Galanter, *“Why the ‘Haves’ Come Out Ahead: Speculations on the Limits of Legal Change”* (1974), que equaciona sob quais condições pode um sistema jurídico ser redistributivo, destrinchando os distintos mecanismos de reprodução de desigualdades sociais na fabricação do sistema de justiça. Como observou Boaventura de S. Santos, ao prefaciá-la para a língua portuguesa, trata-se de “um texto que mostrava bem todas as potencialidades do novo campo científico emergente, a sociologia do direito” (apud. GALANTER, 2018, p. 12).

Nele, o autor desenvolve um modelo, sob o qual distingue duas tipologias de “partes” (ou seja, grupos de pessoas que apresentam demandas passíveis de serem levadas aos tribunais invocando “regras”) que seriam os “jogadores repetidos” (“*repeat players*”) e os “franco-atiradores” (“*one-shotters*”). Há quem traduza em português a expressão “*repeat player*” (ou “jogador que se repete”) como “litigante habitual”, ou mesmo, apenas como “jogador”, e “*one-shooter*” (ou “atirador de um só disparo”) como “litigante eventual”, ou então, como “participante”. Opta-se, aqui, pelo uso dos termos “jogador repetido” (JR) e “franco atirador” (FA) a fim de refletir os sentidos mais próximos daqueles literais. O conceito de JR, que se envolve em vários litígios similares ao longo do tempo, será central para a análise do estudo de caso. Pois, JRs se comportam de maneira distinta aos FAs, assim como as administrações de saúde pública se comportam de maneira distinta aos pacientes-litigantes. Para citar Galanter:

- (1) Os JRs, por já terem feito isso antes, têm conhecimento prévio; eles são capazes de estruturar a transação seguinte e construir um registro. (...)
- (2) Os JRs desenvolvem expertise e têm pronto acesso a especialistas. Eles gozam de economias de escala e têm baixos custos iniciais em qualquer caso.
- (3) Os JRs têm oportunidades para desenvolver relações informais facilitadoras com os encarregados institucionais.
- (4) O JR precisa estabelecer e manter sua credibilidade como um combatente. O interesse que tem em sua “reputação de negociador” serve como um recurso para estabelecer “compromissos” no tocante a suas posições. (...)
- (5) Os JRs podem jogar com as probabilidades. Quanto mais o caso em questão se dá para o FA, mais provavelmente ele irá adotar uma estratégia “*minimax*” (minimizar a probabilidade de perda máxima). Assumindo-se que a aposta é relativamente menor para os JRs, eles podem adotar estratégias calculadas para maximizar o ganho sobre uma longa série de casos, mesmo quando isto envolve o risco de perda máxima em alguns deles.
- (6) Os JRs podem disputar por regras bem como por ganhos imediatos. Acima de tudo, para eles vale a pena despender recursos a fim de influenciar a elaboração das regras relevantes por meio de métodos tais como o *lobby* (e sua expertise acumulada permite fazê-lo de forma persuasiva).
- (7) Os JRs também disputam as regras da própria litigância, ao passo que é improvável que um FA o faça. (...) Para um jogador qualquer, quanto maior for a aposta e quanto menor a probabilidade de repetição da disputa, é menos provável que se preocupe com as regras que incidirão em casos futuros do mesmo tipo. Considere dois pais que disputam a guarda de seu único filho, um grande contribuinte vs. a Receita Federal, um condenado encarando a pena de morte. Por outro lado, o jogador com uma aposta inferior no caso concreto e com a perspectiva de enfrentar uma série de outros casos similares (a Receita Federal, a agência de adoção, o promotor) pode ter maior interesse no estado do direito. (...) Se partirmos do princípio de que os aparatos institucionais para litigância estão sobrecarregados e que se estimula a celebração de acordos, poderíamos presumir que os JRs iriam “negociar” naqueles casos em que aguardam resultados normativos desfavoráveis. Como eles esperam litigar novamente, JRs podem optar por levar a julgamento (ou recorrer) apenas os casos que consideram como os mais prováveis para produzir normas favoráveis. (...)
- (8) Em virtude de sua experiência e expertise, JRs têm maior capacidade de discernir quais regras têm maior chance de “penetrar” e quais tendem a

permanecer como meros compromissos simbólicos. JRs podem ser capazes de concentrar seus recursos em mudanças de regras que prometem produzir uma diferença real. Eles podem compensar derrotas simbólicas com ganhos tangíveis.

(9) Dado que a penetração depende em alguma medida dos recursos das partes (conhecimento, atenção, serviços especializados, dinheiro), JRs têm mais condições de investir recursos necessários para assegurar a penetração das normas favoráveis a eles. (GALANTER, 1974, pp. 98-103)

Nesta análise, Galanter define uma posição de vantagem na configuração das partes em uma disputa judicial qualquer, ao indicar como aquelas possuidoras de certas vantagens tendem a ocupar esta posição e, com isso, tendem a ter tais vantagens reforçadas e ampliadas. Para citá-lo: “essa posição de vantagem é um dos modos pelos quais um sistema jurídico formalmente neutro em relação a ‘quem tem’ e a ‘quem não tem’ pode perpetuar e aumentar as vantagens dos primeiros” (ibid., pp. 103-104).

Uma das curiosidades do cenário brasileiro atual, transpondo este modelo de análise, é que a maior carga de litígios, aqueles realmente numerosos, tratam-se de JRs demandando FAs. Observa-se por intermédio do relatório de pesquisa dos 100 Maiores Litigantes (CNJ, 2019), que o setor público (Federal, Estadual e Municipal), bancos e telefonia representam 95% do total de processos dos 100 maiores litigantes nacionais. Desses processos, 51% têm como parte ente do setor público, 38% empresa do setor bancário, 6% companhias do setor de telefonia e 5% de outras empresas. Afora a área da saúde, no Brasil a litigância de um FA contra um JR é pouco habitual.

Retomando a hipótese de Galanter, este conclui que: “É improvável que a litigância venha a conformar de maneira decisiva a distribuição de poder na sociedade. Ela pode servir para assegurar ou solidificar compromissos simbólicos” (GALANTER, 1974, p. 150). Para que o sistema judicial exerça uma força transformadora efetiva, ele sugere que “a litigância e a realização de *lobbies* devem ser complementadas pela organização de interesses, pela provisão de serviços [jurídicos] e pela invenção de novas formas de aparatos institucionais” (id.). A riqueza desta análise, e daí sua importância para o presente estudo, está em advertir que “mudanças no nível das partes são mais propensas a gerar mudanças em outros níveis” (id.). Partes capazes de perseguir estratégias de longo prazo podem gerar pressões efetivas por reformas institucionais e regras favoráveis. Isto sugere que é preciso suspeitar-se da assumpção que é lugar-comum nos estudos sociojurídicos de que meras mudanças nas regras possuam alguma prioridade estratégica na distribuição de poder no meio social.

As implicações deste modelo para o presente estudo de caso passam pela assumpção de que o Estado é um JR e que o paciente órfão é um FA. Seguindo Marc Galanter, esta configuração de litígio apresenta uma tendência de atingir um ponto em que o JR (o Estado) logrará forjar uma regra favorável a seus interesses, ainda que este perca casos individuais por seguidas vezes. Vale lembrar, o autor FA geralmente tem pouco interesse no estado do direito, enquanto o réu JR possui bastante interesse neste.

No cenário da judicialização da saúde, o Estado usufruiria da vantagem estratégica de ser um JR sobre os pacientes FAs. Contudo, a emergência de uma nova unidade, como as associações de pacientes, poderia equilibrar os pesos na balança. Em linha com o modelo de Galanter (1974, p. 141) é sabido que para que nenhum dos litigantes usufrua de vantagens estratégicas, o ideal seria transformar os FAs “que não têm” em grupos coesos com habilidade para atuar de modo coordenado, jogar com estratégias de longo prazo, serviços jurídicos de qualidade, etc. Neste aspecto, a judicialização pode acercar-se da regulação. Pois, como nota Galanter (1974, p. 110) em sua discussão sobre o modelo de litigância em que se antagonizam dois JRs, um resultado possível destas disputas seria a “desjudicialização”, isto é, o afastamento com relação ao sistema oficial de resolução de disputas, em direção a um sistema alternativo.

Porém, isto não significa o que observamos na literatura, como reação à expansão do acesso à justiça pela emergência das associações de pacientes, que defende o uso de meios “extrajudiciais” para a busca de “soluções alternativas”, como propõe de forma dramática o relatório “Justiça Pesquisa: Judicialização da Saúde no Brasil”, elaborado pelo INSPER – Instituto de Ensino e Pesquisa, para o Poder Judiciário (CNJ, 2019). Neste conjunto de proposições analíticas, notamos apenas que “a procura por fóruns ‘alternativos’ baratos e acessíveis que emergiu do movimento de acesso à justiça se transformou num roteiro para limitar esse acesso” (GALANTER, 2018, p. 23).

Sem embargo, em se tratando de pleitos vitais, esta dissertação sugere que a melhor forma de “desjudicializar” a conflitualidade em saúde não implica em obstar o acesso à justiça com tentativas impositivas de acordo (ou melhor, de “coerciliação”), mas sim institucionalizar uma “ciência regulatória”, que permita que a negociação entre interpretações científicas divergentes sobre a política pública de assistência farmacêutica conduza à formação de consensos efetivos sobre a regulação destes assuntos (JASANOFF, 1995, p. 284). Isto é, na esfera da saúde, talvez uma ciência regulatória seja mais responsiva que a litigância, tanto a públicos especializados como a leigos, engajando a comunidade científica, em um processo de mútua acomodação.

Neste sentido, a judicialização não deixa de ser uma resposta provisória ao problema do acesso a medicamentos órfãos. Enquanto classe, por várias razões, como seu número, pacientes órfãos podem ser relativamente incapazes de se organizar. Por outro lado, através das claras lentes deste estudo de caso, observamos que no momento em que a litigância em saúde passou a envolver os pacientes órfãos (ver Tabela 3), incluindo associações de pacientes e advogados que se interessaram em patrocinar estes pleitos, surgiram discursos críticos à judicialização da saúde, cada vez mais intensos.

Enquanto as cortes ampliavam o acesso à rede de cuidados para os pacientes órfãos, as críticas tanto internas quanto externas ao campo do direito se multiplicaram, mirando uma imagem de um arranjo institucional que prejudicava a equidade em saúde e focando sobretudo em uma caricatura de advogados gananciosos, dada sua tendência de aliar-se com indústrias poderosas, que estavam se servindo dos doentes, em um esquema para obtenção de lucros ilegais, que gerou uma “epidemia de ações judiciais”.

Desta conjunção de fatores decorre o recuo por parte dos agentes públicos contra o aumento de prestações em saúde para os “que não têm cura”, como refluxo da “idade de ouro da judicialização” que durou até meados de 2016, momento em que o Eculizumabe distribuído por ordem judicial deixou de ser entregue aos pacientes.

Por esta senda, no atual cenário, ao mesmo tempo em que desfruta dos confortos de sua proteção, o JR da conflitualidade em saúde patrocina campanhas contra o sistema jurídico na tentativa de persuadir o público geral de que este está “louco” e “descontrolado” (GALANTER, 2002, p. 726). Não negamos que a litigância em saúde possa sofrer distorções e que tenda a favorecer, ao largo do tempo, as visões de administradores públicos, mas entendemos que é preciso rever algumas impressões que hoje fazem parte da “mitologia da judicialização”, como assevera João Biehl:

Os personagens que povoam o fenômeno da judicialização não podem ser subestimados ou reduzidos. Eles não são estritamente interesseiros ou seu sofrimento não pode ser feito irrelevante. Retratos em preto e branco de pacientes golpistas, advogados interesseiros, juízes desinformados ou médicos conspirando com empresas farmacêuticas podem ser heurísticamente gratificantes, ou politicamente convenientes, mas são factualmente insustentáveis – fazendo parte da mitologia da judicialização. (BIEHL, 2013, p. 3)

Neste flanco teórico, concluímos que, enquanto alguns partem da concepção da judicialização da saúde como “Robin Hood às avessas”, ao olhar através do outro lado do telescópio, vimos que a organização de doentes raros em associações de

pacientes altera o equilíbrio de poder entre estes indivíduos, de um lado, e um jogador repetido mais poderoso, de outro: o Estado. Assim sendo, corroboramos a hipótese de que pacientes-litigantes brasileiros têm conhecimento e habilidades que não são comuns à sua classe, e operam dentro do Estado, desafiando as administrações de saúde pública a cumprirem seus mandatos (BIEHL & PETRYNA, 2016, p. 179).

Neste ponto, ingressando no campo da antropologia da saúde, observamos que as associações de pacientes teriam se transformado em redes, a cada vez, responsáveis por colocar os doentes raros em contato com a sua “cura”²⁹. As histórias que trouxemos à luz iluminam o debate acerca do poder que as novas tecnologias têm para produzir subjetividades, inaugurando tensões que talvez possam marcar uma metamorfose biopolítica que abre novos espaços de problematização ética bem como a construção de cidadanias (BIEHL, 2016, p. 101), em que o que está em jogo já não é apenas a “saúde pública”, mas um novo paradigma bioconstitucional (JASANOFF, 2019). Neste aspecto, a visão do direito à vida sustentada pelo coletivo de pacientes com HPN e SHUa seria melhor sintetizada pela carta que Diego Albuquerque escreveu, a próprio punho, em sua batalha contra o MS: “meu direito de viver está sendo tirado, como uma pena de morte”. Para estes indivíduos a morte não era um destino fatal que deveria ser de qualquer forma aceito, mas algo que poderia e deveria ser objeto da ação cidadã e biomédica, a fim de reparar seus corpos doentes e tornar sua vida melhor. Em outras palavras, “esse mínimo de pertencer biopoliticamente é uma parte fundamental do campo imanente, que as pessoas inventam e habitam enquanto navegam os caprichos do mercado e da sobrevivência em nossas cidades feridas” (BIEHL, 2013, p. 432).

Ao conviver em certa medida com pessoas filiadas à organização de pacientes raros estudada na seção 5.3.1, e empresários do setor farmacêutico, necessitamos aprender a nos dirigir a membros de suas diretorias, o que de certa forma nos conduziria a um engajamento em torno de sua causa comum. No entanto, este também seria um momento de agir com cautela, pois houve tensões, sobretudo, perante aqueles que questionavam meu engajamento pessoal, agindo como “responsáveis” pelos pacientes e seus familiares, falando em seus nomes, enquanto estes nos pediam ajuda. Esta cautela reclamou uma “arte de ter cuidado”, em vista daqueles que povoam o caso

²⁹ Utilizo aqui os termos “cura” e “rede” no sentido dado por Philippe Pignarre (1999, p. 147): “Curar é colocar o paciente em *novas redes que o afetem de maneira coercitiva*. Essas redes podem ser químicas, o que é uma maneira entre outras de agir sobre os funcionamentos biológicos. Mas elas jamais o serão de maneira exclusiva, mesmo se inventamos os medicamentos modernos tentando levar em conta apenas eles. Pode-se modificar um regime de atividades biológicas, mas jamais se pode pretender estabilizá-lo infinitamente. Entre as diferentes medicinas, portanto, é somente a escolha da rede de coerção que muda.”

estudado, sem ser pacientes, tampouco familiares, mas se arrogam a “governança” da associação de pacientes, o que foi percebido como uma força no interior da entidade que visava emplacar uma lógica de funcionamento distinta, em prol de uma governança por *stakeholders*, interessados em associar-se preferencialmente à indústria e ao Estado.

Ao falar em seus nomes próprios, de suas vulnerabilidades genéticas e corpos danificados, percebemos que os pacientes agiam como “cidadãos biológicos”, em um sentido derivado daquele que Adriana Petryna concebeu na Ucrânia pós-Soviética, isto é, aqueles indivíduos que foram expostos aos efeitos da radiação nuclear em Chernobyl, que passariam a reivindicar do governo ucraniano uma forma de bem-estar social baseada em critérios médicos, científicos e jurídicos que ao mesmo tempo reconhecem seu dano biológico e as compensações por força disso (PETRYNA, 2002).

Os achados apontam, assim, que os programas de assistência farmacêutica do SUS têm falhado em promover o acesso a medicamentos órfãos, falha esta que pessoas pobres e vulneráveis têm tentado corrigir em seus casos individuais, com o auxílio de associações de pacientes. Com efeito, fomos de encontro com a contracorrente liberal, que hoje prevalece nos estudos sócio-jurídicos sobre o fenômeno da judicialização da saúde. Pois, demonstramos que a demanda judicial por medicamentos órfãos tem sido protagonizada por pessoas de baixa renda ou indivíduos com idade avançada, que não vivem nas principais metrópoles do país. Ao cabo, revelamos que este é um fenômeno heterogêneo e transversal a todos os entes federados brasileiros e, ainda, demonstramos que quando os pacientes percebem que as tecnologias incorporadas ao sistema estão obsoletas, tendem a judicializar o seu acesso.

Através deste estudo de caso, somamo-nos à literatura que entende que as ações judiciais têm feito com que o Estado incorpore a tecnologia demandada para que, posteriormente, a demanda judicial seja reduzida. Pois, a decisão de incorporar o Eculizumabe, em dezembro de 2018, ainda que sob a condicionante de uso “*ad experimentum*” (ver seção), vem agregar evidências a esta hipótese. Neste sentido, corroboramos o entendimento de João Biehl e Adriana Petryna de que:

Na judicialização, não encontramos um modelo biopolítico vertical de governança em que o bem-estar da população e a normalização individual sejam objetos de conhecimento e controle, mas sim uma contestação sobre a utilidade do governo por vários *stakeholders* privados e públicos. (...)

No caso brasileiro, o mercado encontra utilidade no governo como comprador e distribuidor de medicamentos, e em comunidades específicas mobilizadas. Essas comunidades, consideradas segmentos de mercado terapêutico, usam a legislação e a jurisprudência para terem visibilidade junto ao Estado e para fazê-lo atuar de maneira biopolítica. O governo, portanto,

orienta-se menos em prol da saúde da população como um meio de alcançar produtividade e controle, e mais em fazer a triagem ou facilitar a relação de sujeitos de interesses (e com direitos) ao mercado biomédico na forma de acesso à tecnologia. (BIEHL & PETRYNA, 2011, pp. 373-380)

No domínio da ciência política, este fenômeno não pode ser entendido isoladamente em relação a conflitos e transformações mais gerais vivenciados pelo sistema político. Neste ponto, os achados estão a dizer que a transferência de responsabilidade decisória de atores políticos propriamente ditos para o poder judiciário, no estreito domínio do caso em análise, refletiria um entrelaçamento de questões político-contenciosas mais complexas a sugerir que a transferência desta e outras questões conturbadas para a arena judicial tem sido tacitamente fomentada, senão pro-ativamente advogada, por atores políticos que representam elites hegemônicas e interesses estabelecidos (HIRSCHL, 2007, p. 213). Basta recordar das declarações públicas dos responsáveis políticos que pareciam fazer tudo quanto estivesse a seu alcance para gerar maior embaraço institucional. Algumas entrevistas do então Min. Ricardo Barros a respeito do tema sugerem que este consentiu, para não dizer, fomentou a sua judicialização pelas partes envolvidas, como forma de “solucionar” os processos administrativos de compra. Ainda, questionado acerca da pressão por força do óbito de pacientes em decorrência do atraso no fornecimento, o Ministro disse não se sentir pressionado (ver seção 5.2.). Neste ponto, a judicialização da assistência farmacêutica de pacientes raros se revela um refúgio conveniente para representantes políticos que desejam reduzir os riscos decisórios para si próprios e para seus aparatos institucionais.

No domínio da sociologia do direito, verifica-se – com Boaventura de Sousa Santos (2001a, p. 162) – que “a sobredeterminação política dos limites da regulação jurídica aplica-se tanto ao caso da ineficácia como ao caso da sua materialização ou sobrecarga”. Neste contexto, os dois fenômenos mais importantes de oscilação do atual período são a desregulação e a informalização da justiça (SANTOS, 2001b, p. 276), fenômenos que nos permitem entender o estudo de caso de um ponto de vista estrutural. Pois, o processo de judicialização do acesso a medicamentos, bem como a criação de meios extrajudiciais de solução de conflitos (ver seção 6.3.), seriam parte de outro processo mais amplo, em que o Estado se desresponsabiliza financeiramente das prestações sociais ao mesmo tempo que mantém sobre elas um controle simbólico. Na companhia do sociólogo português, isto nos leva a concluir que, no período do capitalismo desorganizado em que nos encontramos, a expansão do Estado se dá menos

pela expansão material (produção de bens e serviços) que pela expansão simbólica (produção estendida de símbolos e ideias implantadas no imaginário social, como, por exemplo, a participação, a comunidade real, a autogestão) (SANTOS, 2001b, p. 288).

No caso brasileiro, talvez este seja um dos sintomas mais perturbadores da crise institucional vivida nos últimos anos. Trata-se de um processo em que o descumprimento das promessas da Carta Política de 1988, que desde sempre tem sido considerado provisório, parece se transformar em um descumprimento definitivo. Neste pano de fundo, é lícito questionar se não segue vigente o problema da falta de representatividade do espectro partidário, o não enraizamento social da Constituição e de um jogo político dependente de confrontos e negociações no âmbito do Executivo. Quanto a esse fenômeno, Faria (1989, p. 76) alertou o risco de o texto constitucional ser revogado “sociologicamente” a partir de situações de fato, abrindo assim caminho para a ampliação e interpenetração de cadeias normativas paraestatais como expressão normativa de um poder descentralizado, disperso, assimétrico e “descentralizado”.

Pode-se concluir que, ao se tratar do direito a medicamentos órfãos, via de regra, tem havido uma inversão de papéis e funções. Os painéis científicos do estado trabalham tendo como preocupação a austeridade econômica, justificando tecnicamente a inviabilização do tratamento, ao passo que os responsáveis por demandar e decidir em juízo devem ter como preocupação permanente destacar as qualidades científicas do objeto demandado. Ao ensejo, assim como João Biehl (2016), após seus muitos anos de pesquisa neste campo, de maneira bem humorada em certa feita anotou:

Enquanto examinava as tensas negociações acerca do direito constitucional à saúde no dia-a-dia, tive muitas vezes a sensação de que os papéis sociais e as posições institucionais estavam fora do lugar: o judiciário estava agindo como uma farmácia, o defensor público como um médico, o médico como um ativista, a associação de pacientes como um escritório de advocacia; o paciente-cidadão estava se convertendo em um consumidor, e burocratas preocupados com o corte de gastos haviam sequestrado o discurso sobre a equidade. (BIEHL, 2016, p. 87)

De forma análoga, nossa descrição deste objeto, ao concluir este estudo de caso, percebeu o aconselhador técnico da Pasta da Saúde como porta voz da austeridade econômica; o antropólogo como acadêmico de direito constitucional; o pesquisador farmacêutico como ativista; e os pacientes como *homines sacri* encarando a morte por graça. Por derradeiro, visualizamos neste estudo de caso as consequências de regulações jurídicas ineficazes, e também a capacidade de adaptação do discurso jurídico às condições de regulação social do capitalismo desorganizado (SANTOS, 2001a, p. 160).

Capítulo 6. Abnegação do Direito na Prática

Nos anos 1990, Boaventura de Sousa Santos (1995) apontou a necessidade de perguntarmos pelas relações entre a ciência e a virtude, pelo valor do conhecimento dito ordinário ou vulgar que criamos e usamos para dar sentido às nossas práticas e que a ciência teima em considerar irrelevante; e temos finalmente de perguntar pelo papel de todo o conhecimento científico acumulado na modernidade. Nesta fase de sua obra, o autor renunciava o fim de um ciclo do que caracterizou uma “hegemonia científica”, na qual o direito passou a constituir um “racionalizador de segunda ordem da vida social, um substituto da cientifização da sociedade” (SANTOS, 2001a, p. 119).

Atualmente, a relação entre ciência e direito talvez possa ser descrita em uma linguagem que seria mais apropriada para se narrar uma batalha épica entre as forças das luzes e um poder obscuro (JASANOFF, 1992, p. 345). No entanto, seguidos episódios revelam fracassos da ciência nos tribunais. A resposta tradicional que críticos costumam oferecer a isto lança a culpa por este fato sobre juízes iletrados e sobre experts autoproclamados dispostos a apresentar posições científicas infundadas (id.).

Mas, aos poucos, os tribunais começam a se sujeitar progressivamente à aplicação de “deferência” em muitos âmbitos, desenvolvendo princípios como aquele segundo o qual as agências gozam de discricionariedade técnica para dispor de recursos e programas como bem entendem. O resultado disto, Adrian Vermeule (2018, p. 13) argumenta, é um processo de retroalimentação potencializadora no qual a “abnegação do direito” (uma decisão de sacrifício deliberado) resulta não tanto de uma traição a este, mas como consequência lógica de seus compromissos internos, que propiciam a delegação a agências com funções diversas (VERMEULE, 2018, p. 69).

Neste sentido, há incentivos para que as agências se dediquem ao par “ciência/farsa”, decantando razões para oferecê-las aos tribunais, incessantemente demandantes de uma tomada de decisão racional, inclusive sob condições de incerteza (ibid., p. 29). Logo, para Vermeule, o papel do direito administrativo, cada vez mais modesto, passa a ser determinar, “direta ou indiretamente, a influência de vários tipos de profissionais – juristas, cientistas, funcionários públicos, ocupantes de cargos comissionados, entre outros – no seio das agências” (ibid., p. 257), onde as doutrinas centrais e normas de direito público deslocam com sucesso a autoridade de juristas a não-juristas (ibid., p. 258). Confia-se a estas agências de experts a gerência de aspectos do bem-estar da população, como saúde, educação, meio ambiente, etc., para citar os

mais evidentes. Assim sendo, “cada um desses domínios possui suas próprias formas de conhecimento e estilos de governança, com perspectivas potencialmente inconsistentes sobre o significado e o valor da vida” (JASANOFF, 2019, p. 67).

No entanto, estes escritos recentes sobre a “abnegação do direito” rumo a painéis técnicos e agências de experts (i.e., VERMEULE, 2018), por vezes, partem de uma premissa sobre o que seja a “ciência na prática”, que não passa de uma caricatura positivista, que não resistiria ao escrutínio dos avanços mais recentes no campo da sociologia da ciência. É dizer, “a visão positivista presume que a ciência crie fotografias do mundo real e que o direito apenas as queira restaurar” (JASANOFF, 1992, p. 356).

Como observam Nesson & Demers (1998), a força dissuasora do direito depende da credibilidade das sentenças, que por sua vez dependem da percepção social acerca de se estas se fundamentam em “evidências”, ainda que surjam situações que não mais poderiam ser solucionadas por juízes na forma tradicional, com referência apenas à lei ou ao precedente, uma vez que para tratar delas, o judiciário acaba diante de limites impostos pela ciência. Pois, de fato, “a ciência busca a verdade, enquanto o direito, a justiça; a ciência é descritiva, enquanto o direito é prescritivo; a ciência persegue o progresso, enquanto o direito, o processo” (JASANOFF, 1997, p. 7). Sem embargo, há casos que geram oportunidades para possíveis convergências e que apresentam os limites de cada uma destas disciplinas quando buscam “evidências” sobre fatos. Nestes termos, “uma percepção correta de tais limites pode, a seu turno, conduzir a propostas mais realistas para uma reforma do processo judicial” (JASANOFF, 1992, p. 356).

Em outras palavras, talvez a sociologia da ciência possa contribuir para integrar novas perspectivas ao processo legal, especialmente quando este tratar de conflitos sobre admissão e valoração de provas científicas em juízo. Afinal de contas, o que está em jogo na maioria destes litígios é precisamente a dimensão social da ciência: “a matriz de práticas sociais, convenções, instituições e interesses que sustentam o progresso científico e legitimam ‘fatos’ científicos em particular” (ibid., p. 346). Neste sentido, a maior contribuição da sociologia da ciência para o direito talvez seja o postulado de que instituições sociais não-científicas são, por vezes, atraídas para a construção da ciência, como quando, i.e., um programa de televisão publicita os riscos de uma droga ou um tribunal convalida um estudo epidemiológico que jamais foi publicado em literatura com revisão por pares em um “*peer review*” (ibid., p. 347). Portanto, tendo em vista que os “fatos” são socialmente construídos, quando controvérsias científicas se encontram nas mãos de um juiz, é impossível que este, ao

buscar admiti-los ou não no processo, não abandone seu papel de observador externo, tornando-se um participante na construção social da ciência (ibid., p. 357).

Em 1993, a Suprema Corte dos EUA tentou forjar um processo similar ao “*peer review*” – utilizado pela comunidade científica – para a análise de admissibilidade processual das provas científicas. Em *Daubert v. Merrel Dow Pharmaceuticals, Inc.* (1993), a corte desenvolveu a noção de “*gatekeeping*”, estipulando que o papel dos juízes é “assegurar que todo e qualquer testemunho ou evidência científicos admitidos em juízo não sejam apenas relevantes, mas também confiáveis” (NESSON & DEMERS, 1998, p. 337). No que toca à admissão de perito expert, este precedente impôs aos juízes não apenas o dever de observar a adequação de seus antecedentes acadêmicos, mas também a relevância de seu parecer para as questões discutidas nos autos, verificando se o raciocínio ou a metodologia subjacentes à perícia são cientificamente válidos e se o raciocínio ou a metodologia podem ser aplicados aos fatos adequadamente (id.). Com isso, o parecer de um expert sem “fundamentos convincentes” em um campo científico em particular não passaria de uma “crença subjetiva” ou “especulação infundada”, e, portanto, deveria ser rechaçado dos autos. Neste sentido, para Charles Nesson e John Demers (1998) as cortes têm a função de resguardar a legitimidade da informação (“*gatekeeping*”), ao admitir as provas científicas em juízo. Apenas assim o sistema jurídico seria considerado uma fonte de verdades socialmente aceitas. Dentro desta ideia, sua admissão no processo seria verificada na forma tradicional de um artigo “*peer review*” – tão extenso e compreensível como se submetido à revisão por pares em uma revista científica. Ademais, a remoção da identidade do autor da perícia científica permitiria ao juiz avaliar as credenciais do expert separadamente da avaliação da adequação das bases fundamentais em que emite seu parecer. Assim, os juízes poderiam certificar-se de que o perito é de fato um expert bem como se o seu parecer estaria adequado ao caso.

Os implantes de silicone podem causar doenças autoimunes? A Doxilamina causa defeitos congênitos quando utilizada durante a gravidez? O herbicida Glifosato, da Monsanto, causa câncer? O Tricloroetileno, vaporizado pelo chuveiro e respirado por uma grávida, causa leucemia no feto? Em questões como estas, se o juiz contradisser os cientistas, o julgamento não terá a aparência de reproduzir a verdade, falhando em sua função primordial (NESSON & DEMERS, 1998, p. 336). Em outras palavras, ao ingressar no território das “provas científicas”, surgem limitações de “teoria geral” em relação aos avanços das ciências modernas – ditas complexas – sobre o direito.

Nesta paisagem problemática, a prova científica não deve ser abordada de forma isolada em relação a outros problemas da concepção científica do direito. Pois, faz parte da cultura jurídica geral um olhar adversarial sobre a controvérsia científica. A prova tem uma “função epistêmica” no processo judicial, que implica prover ao juiz “dados cognoscitivos”, isto é, a informação da qual extrai sua decisão (TARUFFO, 2018). Neste sentido, as premissas adotadas pelos sistemas de valoração da prova científica não podem ser regidos com os mesmos princípios e esquemas cognitivos que os mecanismos judiciais de admissão probatória em geral. Como sintetiza Taruffo:

É necessário dispor de métodos e critérios rigorosamente controlados para valorar a validade científica da informação e dos experimentos que são utilizados cada vez que o juiz recorre a provas científicas para comprovar ou valorar fatos cujo conhecimento excede à cultura média normal e requer, portanto, a intervenção de *experts*. (TARUFFO, 2018, p. 9)

No presente capítulo começamos por caracterizar sucintamente alguns sinais da crise desta “deferência epistêmica”, distinguindo entre o avanço do conhecimento científico e o esvaziamento do saber jurídico. Logo em seguida, especularemos sobre o perfil de uma nova “subcultura científica” emergente nos tribunais, buscando identificar a atmosfera política de sua emergência. Este percurso analítico será balizado pelas seguintes hipóteses de trabalho: primeiro, começam a deixar de fazer sentido uma parcela significativa de premissas e conceitos jurídicos nascidos no século XIX e consolidados na primeira metade do século XX, que permitem que se resguarde acriticamente determinadas opiniões tidas como “juízos científicos” (FARIA, 2001, p. 232); segundo, a síntese que há que operar entre o saber jurídico e as ciências modernas tem como polo catalisador as ciências naturais, o que propicia, por outro lado, que sejam questionadas as crenças que sustentam a dogmática; terceiro, as biociências recusam esperar até que o direito resolva os conflitos de valores que suas práticas geram com a consequente revalorização do que se convencionou chamar “ciência regulatória”; quarto, esta síntese não visa a cientifização do direito, mas tão-só que este reverta o quadro de esvaziamento de seu papel que até agora observamos; quinto, à medida que se der esta síntese, será preciso repensar a existência de ferramentas geradoras de dispositivos de “verdade judicial” como o e-NATJus.

Esta “deferência epistêmica” reflete também uma “crise de identidade epistemológica em que hoje se debate a própria reflexão sobre o direito” (FARIA, 2001, p. 235). Isto é, entre ser “ ‘tecnologia de controle, organização e direção social’, o que

implica uma formação unidisciplinária, meramente informativa, despolitizada e adestradora” (id.), ou então, pelo contrário, “constituir-se como ‘atividade verdadeiramente científica’, de natureza problematizadora, eminentemente especulativa e sobretudo crítica” (id.). Ao ensejo, José Eduardo Faria leciona que, na primeira concepção, “a organização ‘científica’ do saber jurídico extrai todos os seus critérios de ‘ordem’ a partir, basicamente, da racionalidade formal do sistema normativo” (ibid., p. 236). Neste contexto, “o que se tem é apenas um conjunto de discursos aparentemente unitários, porém de cientificidade duvidosa” (ibid., p. 243). Por outro lado, conforme a segunda concepção, em todas as etapas de elaboração legislativa e de interpretação e aplicação do direito, os atores jurídicos são influenciados, de maneira decisiva, por princípios meta-jurídicos, filosóficos e sociais (ibid., p. 240). Seguindo a trilha deste sociólogo do direito, “parte-se, aqui, da tese de que as funções de organização, reprodução e consenso cumpridas pelas leis não podem ser concebidas à margem do saber que as constitui” (ibid., p. 241). Assim, podemos refletir sobre como as formas jurídicas influenciam e ao mesmo tempo são influenciadas pelo imaginário judicial sobre ciência e tecnologia e, em especial, sobre artefatos biomédicos.

No Brasil, um dos mecanismos adotados pelo poder judiciário para controlar os distintos pontos de vista científicos, especialmente com relação a casos que envolvem a biomedicina, foi a criação de “enunciados interpretativos”, em conformidade a dispositivos legais substantivos, que dispõem sobre a incorporação de tecnologias em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Magistrados, membros do ministério público, advogados públicos e, no caso específico das Jornadas de Direito da Saúde, gestores públicos, começam, então, a elaborar suas próprias “regras” para além dos conceitos positivados no direito sanitário, com o objetivo de arbitrar a conflitualidade em saúde. Da figura tradicional de legislador negativo (restrito a analisar a compatibilidade de uma determinada regra e a Constituição), o poder judiciário passa a regulador e legislador positivo (criador de regras sanitárias). Desse processo, sua legitimidade bem como a sua identidade epistemológica saem esgarçadas.

6.1. Considerações sobre admissão e valoração de provas científicas

Sheila Jasanoff (2011, p. 9) concebe o conceito de “atraso” ou “lentidão” jurídica (no original, em inglês, “*law’s lag*”) para condensar um senso particular de relação hierárquica entre ciência e direito, visto que este corre sempre atrás dos desenvolvimentos técnico-científicos, de forma que “o progresso da humanidade

indiscutivelmente se situa na ciência, enquanto o direito deve constantemente superar princípios antiquados para conferir àquela o devido respeito” (JASANOFF, 2019, p. 69). Esta relação se torna mais crítica à medida que o imaginário sociopolítico se reconfigura à medida que surgem cortes no DNA, indivíduos encomendam “sob medida” futuras gerações mais atléticas ou dotadas de formas particulares de beleza, através da biologia molecular (TESTA, 2011, p. 85; RAJAN, 2011, p. 196); isto para não falar na invasão da esfera pública por quimeras ainda maiores, como o “oncorato” (camundongo manipulado geneticamente para desenvolver câncer), o milho híbrido e a ovelha Dolly; ou então, no domínio da indústria farmacêutica sobre tecidos humanos, sintetizadores de genes e embriões congelados, que “podem ser vistos como potencial de desenvolvimento ‘natural’ da pessoa humana ou ‘pluripotencialidade’ técnica que os torna recurso valioso para a pesquisa de terapias gênicas” (POTTAGE, 2009, pp. 4-5). E seguem irrompendo questões ainda mais complexas: na era de criaturas fabricadas em laboratórios, quem é o que conta como sujeito humano? Um cérebro reproduzido *in vitro* possui direitos sobre a informação gerada nele? Afinal de contas, quais são as autoridades que determinam como proteger estas novas formas de vida?

Nesse diapasão, as interações entre direito e biologia ao redor deste tipo de questões foram contribuindo para definir uma nova ordem – aquela que Sheila Jasanoff (2019, p. 68) denomina de “soberania da ciência”. Sob este regime, a ciência passa a decidir quando e como a pesquisa científica deverá ser regulada, reivindicando autonomia política em relação a outras instituições sociais – notadamente, o direito –, o que presume uma clara demarcação entre a busca da verdade na epistemologia científica e no processo judicial, divisão esta sustentada pela prática de experts (ibid., p. 69). Nesta nova ordem, a ciência passa a traçar as fronteiras do que se deseja como “avanço da humanidade”, relegando ao direito uma posição subalterna.

No Brasil, há pouco a arena pública foi invadida por discussões que acompanhavam uma tendência internacional na qual o sistema jurídico foi instado a delegar aos cientistas a resolução de disputas judiciais. Naquele momento, alguns setores sociais usaram o direito como forma de controlar processos sociopolíticos que alterariam, em sua outra face, compreensões que tocam em temas bioéticos delicados. Durante este período, o STF decidiu que as pesquisas com células-tronco embrionárias não violavam o direito à vida, tampouco a dignidade da pessoa humana, em Ação Direta de Inconstitucionalidade (ADI 3510) ajuizada com o propósito de impedir essa linha de estudos científicos. Por sua vez, na Arguição de Descumprimento de Preceito

Fundamental 54 (ADPF 54), ajuizada em 2004 pela Confederação Nacional dos Trabalhadores na Saúde (CNTS), questionou-se a constitucionalidade da interpretação do crime de aborto, frente à possibilidade de mulheres grávidas de feto anencéfalo voluntariamente interromperem a gestação. Em seu desfecho, em 2012, a decisão foi aclamada como um significativo progresso em matéria de concretização do direito à saúde reprodutiva de mulheres. Os julgamentos destes casos emblemáticos foram permeados por conceitos científicos e por assessorias especializadas, de modo que a tomada de decisão pelo STF foi construída no âmbito de imaginários que, por vezes, tomaram a forma de lições de genômica humana com incursões pela biologia molecular.

Por sua vez, no interior da ideia de “judicialização da saúde” encontram-se novos conflitos, cada vez mais recorrentes, que requerem um saber crescentemente interdisciplinar, antidogmático e antiformalista dos atores envolvidos. Em um campo permeado por um “ensino jurídico atado aos paradigmas dogmáticos tradicionais de inspiração kelseniana” (FARIA, 2001, p. 234), as reivindicações dos novos direitos “exigem dos juristas, cada vez mais, novos graus de especialização funcional e técnica em seu discurso e em sua formação profissional. Especialização que requer saberes não só extradogmáticos, senão extrajurídicos” (FARIA, 2001, p. 232).

No caso da luta pelo acesso a drogas órfãs, o desafio posto para o âmbito judicial é ainda maior, dada a própria constituição deste “objeto fronteiro” (HUYARD, 2008, p. 464), bem como a ausência de pessoal adequadamente treinado, permitindo sua inundação por “subculturas científicas” (JASANOFF, 1997, p. 8). Neste caso, um fator complicador em relação à legitimidade dos tribunais se apresenta ao desafiar terceiros, em tese, melhor capacitados, como a CONITEC. Com efeito, os contendores não descartam a possibilidade de recorrer a um arsenal de efeitos retóricos para fazer prevalecer suas preferências ideológicas, enquanto a busca pelos fatos e o diálogo entre razões são vitimados por dinâmicas manipuladoras do rito adversarial. Nesta dimensão, uma primeira dificuldade a ser mencionada é como os juízes devem fazer para valorar os achados de uma investigação científica sem que se ponham, com isso, a avaliar suas conclusões ou sua credibilidade (NESSON & DEMERS, 1998).

Vale lembrar, Boaventura de Sousa Santos (2001a, p. 119) fala no direito como “um substituto da cientifização da sociedade”. Adrian Vermeule (2018, p. 69) argumenta sobre um processo político no qual a “abnegação do direito” (uma decisão de sacrifício deliberado) resulta não de uma traição a este, mas como consequência lógica de seus compromissos internos. Enquanto, Sheila Jasanoff (2019, p. 68) define uma

nova ordem, que denomina de “soberania da ciência”, provocando uma reavaliação do senso comum no que tange a compreensão do fenômeno da “ciência em juízo”.

No caso da judicialização da saúde, as demandas judiciais podem potencialmente contornar os critérios estritos usados em análises de comitês especializados e painéis científicos estatais. Para minimizar os efeitos disfuncionais do esgarçamento epistemológico do direito, o Estado brasileiro tem se valido de sutis estratégias de “informatização” e “qualificação” dos julgamentos sobre o direito à saúde para que os juízes cite “evidências técnicas” em suas decisões. A criação de Enunciados, Núcleos de Apoio Técnico e canais de comunicação com a CONITEC possui esta finalidade. Em nossa visão, contudo, estas medidas se apoiam em uma série de presunções tácitas que devem ser explicitadas e desafiadas, pois há boas razões para que os tribunais se mantenham cépticos quanto ao valor excessivo atribuído a pareceres concebidos por painéis científicos que pertencem às partes envolvidas nestas disputas. Em outras palavras, como observam João Biehl e Adriana Petryna (2011, p. 379):

(...) o Estado e seus representantes estão colocando em circulação coletivos epistêmicos que surgem de um uso estratégico da medicina baseada em evidências. Esses coletivos virtuais (que ocupam o lugar de uma população com reconhecidas necessidades que já não mais existem) entram em conflito com as posições de sujeito articuladas por pacientes e famílias desesperadas em suas redes temporárias médico-jurídicas e de ativistas.

Em síntese, os fatores institucionais que afetam o uso de evidências científicas, seja por painéis técnicos estatais, ou membros do poder judiciário, sobretudo, quando se tem por objeto artefatos de biomedicina, não são apenas técnico-administrativos, mas eminentemente econômico-políticos, tema que merece análises mais complexas e abrangentes, a partir dos estudos de ciência e tecnologia. A escolha entre as diferentes possibilidades institucionais raramente é feita com base apenas em motivos de ordem técnica. Em contrapartida, são escolhas estratégicas e dependem, acima de tudo, do poder político e da disponibilidade de argumentos técnicos.

6.2. Enunciados do CNJ: um caso de “lentidão do direito”

Desde 2014 o Conselho Nacional de Justiça (CNJ) tem realizado a Jornada Nacional da Saúde para debater a judicialização do direito à saúde e apresentar Enunciados para sua aplicação, que contemplam imaginários tecnológicos que formam parte de sua moldura interpretativa, determinando o desfecho de casos concretos. A primeira jornada aprovou 45 Enunciados; enquanto a segunda, 22, nas temáticas de

Saúde Pública, Saúde Suplementar e Biodireito. Estes Enunciados constituem fontes interessantes para análise do papel desempenhado pela biotecnologia no *estilo* de raciocínio dos operadores do sistema de justiça. Conforme veremos na presente seção, estes imaginários judiciais possuem consequências mais severas conforme as diferentes classes de cidadãos, que se transformam em agentes involuntários das dinâmicas do *bioconstitucionalismo* (JASANOFF, 2011).

Merece atenção especial o Enunciado n. 59: cânone interpretativo que preconiza que nos pleitos por medicamentos sejam observadas diretrizes da Medicina Baseada em Evidências (MBE)³⁰, o que implicitamente exige evidências numericamente robustas para a valoração de material probatório que embase a demanda judicial por medicamentos órfãos, ignorando peculiaridades clínicas e epidemiológicas deste objeto. Por outro lado, na contramão deste Enunciado n. 59, é achado geralmente reconhecido no debate científico internacional que o ensaio clínico de medicamentos destinados ao tratamento das doenças raras inviabiliza o emprego da MBE. Afinal, formar conjuntos manipuláveis estatisticamente conforme demanda a MBE é um “ideal louvável”, mas quase impossível, em se tratando de raras. A debilidade da MBE em relação a medicamentos órfãos é eloquentemente debatida em muitas publicações científicas (ARAÚJO, 2014; VEGTER et al., 2010; PICAVER et al., 2012; KRUEER & STEINER, 2008), que podem ser resumidas neste trecho de Krueer e Steiner, em estudo que propõe desenhos alternativos de “pequenos ensaios clínicos” para este grupo de patologias:

Com raízes na epidemiologia, a MBE possui vocação particular para detectar diferenças entre grandes coortes. Contudo, estas diferenças podem ser obscurecidas se os grupos recrutados são heterogêneos ou se o tamanho da amostragem disponível é inadequado. Ambos os problemas são particularmente salientes no estudo de desordens raras. (...) O “*gold standard*” da MBE é o ensaio clínico prospectivo randomizado, duplo cego, com controle de placebo. Este tipo de desenho é o mais significativo. Como tal, este representa um ideal louvável. Contudo, quando aplicado a desordens genéticas raras, este constructo com frequência não passa disto: um ideal. Por muitas das razões já assinaladas, incluindo o número limitado de sujeitos de pesquisa disponíveis para o estudo (limitando o seu poder [*estatístico*]), a dificuldade em se obter grupos de intervenção bem pareados por conta de variação relativa de idade, heterogeneidade fenotípica e considerações éticas envolvendo o uso de placebos no grupo de controle quando há tratamentos que potencialmente aumentam a qualidade de vida, é difícil, e muitas vezes praticamente impossível, aplicar tais critérios rigorosos. Este descompasso clássico entre a conceptualização de ensaios e a sua implementação clínica junto a pacientes reais é ampliado no campo da medicina genética e das doenças raras. (...) Adaptações devem ser feitas quando se aplica a MBE às doenças raras. (KRUEER & STEINER, 2008, pp. 198-200)

³⁰ Enunciado 59 - As demandas por procedimentos, medicamentos, próteses, órteses e materiais especiais, fora das listas oficiais, devem estar fundadas na Medicina Baseada em Evidências.

Em suma, os autores alertam que a MBE precisa ser redimensionada quando se fala em enfermidades raras, devido à inerente escassez de sujeitos de pesquisa constituindo pequenos “pools” que desafiam pesquisadores do ensaio clínico. Ou então, na precisa síntese de Oliveira e colaboradores (2011, p. 166), a “pouca evidência científica” é fato corriqueiro quando se trata de doenças raras. Portanto, o referido Enunciado n. 59 evidencia o que Sheila Jasanoff (2011, p. 9) concebe a título de “atraso” ou “lentidão” jurídica. Neste sentido, a exigência de material probatório forjado na MBE em contexto de causas relativas ao fornecimento de medicamentos constitui uma barreira jurisdicional ao direito à saúde dos portadores de raras, tendo em vista que este modelo de análise foi desenhado originalmente para doenças prevalentes.

Poderíamos referir, ainda, o Enunciado n. 12³¹, que exige seja comprovada a “inefetividade do tratamento oferecido pelo SUS” e que o relatório médico apresentado pelo demandante faça referência ao registro do fármaco pleiteado na ANVISA. Mas os problemas não param por aí: em 2018, o Comitê de Saúde do CNJ em Santa Catarina aprovou dois Enunciados ainda mais inadequados para tratar do tema, exigindo que drogas órfãs possuam “respostas claras” e sejam “custo-efetivas”³². Vimos que, diferentemente dos medicamentos comuns, é bastante improvável que níveis de precisão estatística sejam obtidos em estudos de candidatos a medicamentos para doenças raras.

Com isso, novos critérios de segurança e eficácia foram moldados pela biomedicina, provocando um câmbio de padrões de análise, cujas bases para a aprovação passam a buscar não mais “desfechos clínicos significativos”, mas o efeito da substância sobre um “desfecho clínico substituto” (sobre os “*surrogate endpoints*” ver seção 2.1.). Em contrapartida, exige-se que o candidato a medicamento órfão seja estudado com maior intensidade no período pós-mercado, para verificar e descrever seu verdadeiro benefício clínico ou seu efeito sobre a mortalidade ou a morbidade irreversível (DALLARI, 2015, p. 259).

³¹ Enunciado 12 – A inefetividade do tratamento oferecido pelo SUS, no caso concreto, deve ser demonstrada por relatório médico que a indique e descreva as normas éticas, sanitárias, farmacológicas (princípio ativo segundo a Denominação Comum Brasileira) e que estabeleça o diagnóstico da doença (Classificação Internacional de Doenças), tratamento e periodicidade, medicamentos, doses e fazendo referência ainda sobre a situação do registro na Anvisa (Agência Nacional de Vigilância Sanitária).

³² Enunciado 20 - A judicialização da Saúde não se limita apenas à assistência farmacêutica (fornecimento de medicamentos), cabendo ao perito judicial, ao NATJUs ou a outro profissional técnico, informar a importância da adoção de políticas de cuidados paliativos, especialmente nos casos de doenças raras e irreversíveis e quando não existir resposta clara e objetiva quanto à eficiência, à efetividade e à segurança do tratamento medicamentoso indicado pelo médico assistente.

Enunciado 21 - Deve-se evitar a obstinação terapêutica com tratamentos fúteis (sem benefícios, em que a morte é inevitável) sem custo-utilidade (comparação entre a intervenção pretendida e o seu respectivo efeito) e que não tragam benefícios e qualidade de vida ao paciente e/ou à respectiva família.

É um sonho quase impossível obter “respostas claras” de candidatos a medicamentos órfãos, visto que é após a sua comercialização que pode ser considerado “bem sucedido”, através de Estudos de Segurança Pós-autorização e de Estudos de Eficácia Pós-autorização. Neste sentido, um estudo que revisou os arranjos regulatórios de drogas órfãs de 35 países concluiu que:

Os critérios-padrão de ATS e standards para avaliação de evidência científica que requerem análises formais de custo-efetividade e ensaios clínicos randomizados costumam não ser aplicados de forma estrita aos medicamentos órfãos, tendo em vista a típica escassez de dados sobre a eficácia clínica e a carga da doença, a dificuldade de diagnóstico, a falta de profissionais de saúde capacitados e grupos de pacientes de tamanho reduzido. Por conta da pouca evidência, um nível mais alto de incerteza sobre a eficácia clínica, a segurança, a custo-efetividade incremental e o impacto orçamentário são aceitos para drogas órfãs em grande parte dos países. (GAMMIE et al., 2015, p. 17)

Portanto, estes Enunciados do CNJ são preocupantes para os doentes raros. Através deles, sempre se poderá lançar mão do argumento de que cuidados paliativos são pontualmente mais indicados, ao arrepio do paradigma científico vigente. Em síntese, regras gerais estão sendo feitas e aplicadas para lidar com eventos patológicos muito distintos, orientando-se pela aplicação dos cânones da MBE.

Destarte, cumprirá ao juiz verificar, quando da valoração de pleito judiciais, se estes Enunciados permitem que a prova científica cumpra efetivamente sua *função epistêmica* (TARUFFO, 2018), sendo necessário, em particular, que sejam interpretados à luz do saber que os constitui, nesse caso, a “ciência dos pequenos ensaios clínicos”. Seria salutar, igualmente, maior participação crítica de várias partes, cientistas de diversas especialidades, médicos, farmacêuticos, industriais e, enfim, dos pacientes, para a elaboração e, sobretudo, a revisão de tais Enunciados.

6.3. Entre togas brancas e carimbos milagrosos: o nascimento do e-NATJus

Para além destes Enunciados, vem crescendo o número de consultas feitas por juízes à CONITEC, por força do acordo de cooperação técnica firmado entre o Conselho Nacional de Justiça (CNJ) e o Ministério da Saúde (MS), para dar suporte a decisões em demandas relacionadas à saúde, através de um banco de dados com informações técnicas para subsidiar os magistrados em ações judiciais desta esfera.

A plataforma digital e-NATJus tem por objetivo oferecer “fundamentos científicos” para as decisões dos magistrados no julgamento de demandas de saúde. O banco de dados nacional abriga pareceres técnico-científicos e notas técnicas, emitidos

pelos Núcleos de Apoio Técnico (NAT-JUS), Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS), selecionados pela CONITEC, além de julgados na área da saúde. Em síntese, como assentou o último relatório do CNJ sobre a judicialização da saúde:

O NAT-Jus, a partir da Medicina baseada em evidências, elabora notas técnicas bastante úteis aos juízes, que tomam decisões com um pouco mais de segurança. Existe demanda para os pareceres, segundo o coordenador. No entanto, a demanda por pareceres do órgão ainda é menor do que se imaginava, pois “ainda não entrou na rotina das varas”. Uma das possibilidades de melhora no acesso a pareceres por juízes se dará por meio do e-NAT-Jus, plataforma em desenvolvimento pelo CNJ, alimentado por pareceres de NAT- Jus do país inteiro, para que se formem consultas diretas ao sistema, sem que o magistrado precise pedir para o NAT-Jus do seu próprio tribunal. (CNJ, 2019, p.102).

Atualmente, a CONITEC disponibiliza endereço de e-mail para que juízes possam solicitar informações técnicas. O número total de questionamentos feitos por membros do sistema de justiça à CONITEC, entre 2012 e 2017, foi de 548 – sendo 280, por meio físico, para subsidiar inquéritos civis do Ministério Público e a defesa da União em processos judiciais, e 268, por e-mail, para subsidiar decisões de magistrados³³. A prevalência de consultas para a defesa da União não é de surpreender. Vale lembrar, a CONITEC é a assessora do MS, que nestas demandas figura como parte responsável por cumprir uma eventual condenação judicial.

Ademais, como visto em profundidade na seção 3.6., um estudo detalhado a respeito da referida Comissão, considerando suas atribuições legais, descreveu certo descompasso entre seus relatórios de recomendação e o que deve ser observado pela CONITEC (YUBA et al., 2018). Este achado por si só poderia comprometer a legitimidade do e-NATJus, à medida que a maior parte das recomendações da CONITEC não se coadunam com o que o arcabouço legal determina.

Mas não para por aí: nas demandas que tratam de produtos que já foram analisados e não incorporados por recomendação da referida Comissão, o poder judiciário irá solicitar justamente a esta informações técnicas para subsidiar sua decisão. Neste sentido, a racionalidade que subjaz este mecanismo é incapaz de atender não só ao princípio do contraditório, mas também da *imparcialidade* (SUNSTEIN, 1994), ao inviabilizar o acesso aos tratamentos demandados judicialmente por doentes raros.

Com efeito, aperfeiçoa-se um jogo de espelhos articulado pela capacidade da dogmática de regular as condições de produção de verdades. Este casamento entre

³³ Informação obtida por meio de pedido de acesso à informação perante o MS (n.º 25820006542201710).

racionalidades positivistas gera um circuito fechado (ver Figura 1) no qual os dispositivos³⁴ vão desde o discurso econômico até o biomédico, passando pelo jurídico, e cujo efeito é excluir, isolar e, finalmente, desqualificar, outros discursos científicos sobre as doenças raras. Com isso, o sistema jurídico está a devolver ao sistema político o embasamento de sua sentença, liberando os juízes para ignorar as opiniões científicas exteriores trazidas pelas partes no processo.

Figura 1. Circularidade da Expertise no e-NATJus

Fonte: Elaboração própria.

Esta circularidade da referência em relação à expertise técnica ilustra bem a tese do “interesse na preservação hegemônica”, ao manter formalmente aberta a porta da política de assistência farmacêutica através da jurisdição, enquanto simultaneamente desloca o poder de efetivar os resultados da abertura desta arena decisória, em tese, mais sensível às minorias de saúde, para organismos técnicos profissionalizados, sobre os quais os membros do sistema político possuem acesso desproporcional e influência decisiva (HIRSCHL, 2007, p. 217).

³⁴ Utilizamos aqui o termo “dispositivo de saber” no sentido que Foucault (2010) dá a esse termo.

Em outras palavras, este tipo de expansão dos tribunais de cúpula confirmaria a tese de Willis Guerra (2018, p. 181) visto que suas instâncias decisivas estariam não mais no centro do sistema jurídico, migrando para sua periferia, onde aquelas se acoplam com o sistema da política. Renuncia-se o sistema jurídico como sistema autônomo, que forçosamente deveria ponderar a constitucionalidade das abordagens convencionais em ATS para o grupo de doenças raras, à luz do direito à equidade constitucional nas políticas de saúde.

Se, por um lado, o poder judiciário deveria ser especialmente relutante a interferir em casos nos quais um painel de especialistas de uma organização estatal se aprofundou na literatura científica, por outro, não importa o que um painel de experts diga a respeito da análise científica de uma instância decisória qualquer, os tribunais têm uma tarefa independente de assegurar que suas decisões cumpram com o direito (JASANOFF, 1995, p. 292). A extensão desta limitação sobre o comportamento estatal envolve o conteúdo de quais “boas razões” (SUNSTEIN, 1994) os tribunais aceitarão como fundamentos legítimos para a ação governamental impedindo que o governo se apoie em epistemologias que desfavoreçam membros de grupos minoritários.

Finalmente, diante da judicialização, o Estado brasileiro possui dois cenários: imagine-se uma hipótese em que aquele institui o fornecimento de medicamento órfão para certa indicação através de sua incorporação (hipótese da “universalização do acesso”); e aquela em que somente alguns pacientes lograrão obtê-lo (hipótese da “racionalização do acesso”). Porém, como visto no Capítulo 3, esta “medida racional” não encontra amparo constitucional diante dos princípios da universalidade e da integralidade, ainda que tenha sido “legitimada” através de procedimentos formais de incorporação de novas tecnologias ao sistema público de saúde. Logo, naquele segundo cenário, parte dos pacientes órfãos ficaria à margem do sistema público, e aqueles que se obstinassem apenas chegariam a acessar o tratamento medicamentoso após o escalonamento de algumas barreiras burocráticas, que por vezes se conectam com barreiras de informação ou de renda, como, e.g., possuir um diagnóstico preciso, para, finalmente, ingressar com uma ação judicial, momento em que começariam as barreiras para acessar à justiça. Por sua vez, a perspectiva do acesso à justiça apresenta barreiras outras, que precisam ser pessoalmente superadas por pacientes que litigam por medicamentos órfãos na arena judicial. De toda forma, no caso da hipótese da “racionalização do acesso”, apenas aquela parcela de pacientes-

litigantes disposta a assumir os custos de transação deste cenário institucional comprometeriam o orçamento público.

No entanto, quando a litigância atinge um certo volume, que prejudica a economia de escala, gerando uma sobrecarga sistêmica no poder judiciário, e duplicidade de trabalho institucional, provavelmente passa a ser viável a criação de alternativas regulatórias à judicialização (POSNER, 2011, p. 17). Neste momento, a inserção de uma nova organização na arquitetura regulatória, como a CONITEC, passa a apresentar benefícios plausíveis que podem superar os custos de sua instituição. Porém, se a criação da CONITEC visa dissuadir necessidades de saúde canalizadas pela judicialização, de modo que somente após um procedimento de incorporação ao SUS poderá um produto ou serviço ser alcançado pelo conceito de assistência integral, o feixe de sua sistemática não poderia se aperfeiçoar sem o E-NATJus.

O E-NATJus faz com que o judiciário passe a constituir uma “instância final” do processo administrativo. Isto permite inferir como, aos poucos, os tribunais começam a se sujeitar involuntariamente à aplicação de “deferência” no âmbito do direito à saúde. Nesta perspectiva, é possível identificar como o poder judiciário produz conjuntamente com a CONITEC o resultado que testemunhamos em nosso estudo de caso. Observamos, ademais, como o Estado administrativo rebaixa os tribunais e os juízes a um estatuto inferior, à condição de funcionários marginais, como retrata a metáfora de Adrian Vermuele (2018, p. 15): “situados em províncias periféricas e encarregados de patrulhar os limites mais exteriores da autoridade administrativa que, por isso mesmo, já não são nem os atores centrais, nem os guardiões dos princípios”. Isto é, o conflito epistêmico entre a jurisdição constitucional e as ciências biomédicas se finaliza, não por uma conquista destas sobre aquela, não por uma épica derrota judicial:

(...) senão por uma rendição sopesada, deliberada, voluntária e unilateral, uma abdicação pelo Direito de sua autoridade. O próprio Direito decidiu inclinar-se ante o Estado administrativo, colocar-se a si mesmo — na imagem de Francis Bacon— “*under the throne*”. (VERMEULE, 2018, p. 17)

Conforma-se, portanto, uma “abnegação do direito”, isto é, uma decisão de sacrifício deliberado de seus operadores principais. Esta hipótese é corroborada pela criação de um corpo de Enunciados interpretativos do direito à saúde, que tende a produzir efeitos dissuasivos sobre a judicialização, e que têm gerado, na prática, um sistema regulatório misto, que disponibiliza em paralelo meios administrativos e judiciais para incidir nos mesmos riscos, como um tipo de “*common law* sanitário”.

Verificamos, contudo, que esta regulação judicial tende a criar regras a partir de casos não-representativos, sem distinguir os diversos estilos, formas e tipos de litigância. Assim como muitos dos Relatórios de Recomendação da CONITEC não poderiam ser publicados na forma de um artigo científico em uma revista especializada, muitos dos Enunciados gerados pelo CNJ não podem ser aplicados a casos atípicos, como tende a ser aquele dos doentes raros. Mais importante que isso, a disponibilidade cognitiva de casos não-representativos pode estar conduzindo o olhar de juízes às questões erradas. Em resultado, regras gerais estão sendo elaboradas e aplicadas para lidar com eventos patológicos muito distintos.

Mas não para por aí: ao atrasar a incorporação de uma droga órfã benéfica na rede pública, a CONITEC pode aumentar dramaticamente o risco de morte das pessoas acometidas por doenças raras, além de propiciar oportunidades para que os compradores públicos sejam intimidados, extorquidos ou mesmo subornados, fomentando uma “economia da corrupção” (ROSE-ACKERMAN, 1975). Pior que isso, ao inviabilizar a entrada na rede pública de medicamentos com eficácia comprovada, por agências de países que contam com um parque industrial biomédico de ponta, esta Comissão faz com que pacientes raros sejam presas fáceis não só para ensaios clínicos que lhes fornecerão placebos sem qualquer eficácia, mas também para os verdadeiros charlatões, aumentando os riscos sanitários que incidem sobre esta minoria de saúde.

Neste sentido, a instituição constitucionalmente estabelecida para garantir o direito à saúde, o SUS, cada vez mais tem contado, em seu interior, com centros de poder novos, como a CONITEC, relativamente autônomos; centros que, como vimos, caracterizam-se por estilos administrativos específicos, clientela próprias e tendências distintas de tomadas de decisões, desenvolvendo rivalidades de objetivos e diferenças de orientação com outros centros de poder, como a ANVISA, e jurisprudências *inter corporis* peculiares, como o E-NATJus, passando a deter de fato prerrogativas políticas semi-independentes, com relação ao que foi estabelecido pela Carta Política de 1988.

CONSIDERAÇÕES FINAIS

Se, em todo Estado moderno, existe uma linha que assinala o ponto em que a decisão sobre a vida torna-se decisão sobre a morte, e a biopolítica pode deste modo converter-se em tanatopolítica, tal linha não mais se apresenta hoje como um confim fixo a dividir duas zonas claramente distintas; ela é, ao contrário, uma linha em movimento que se desloca para zonas sempre mais amplas da vida social, nas quais o soberano entra em simbiose cada vez mais íntima, não só com o jurista, mas também com o médico, com o cientista, com o perito, com o sacerdote.

Giorgio Agamben

Partilhando o desafio de questionar o impacto dos arranjos regulatórios nas pessoas com doenças raras, o estudo ora apresentado se dedicou a compreender de que modo a emergência do mercado transnacional de medicamentos órfãos estaria afetando as arquiteturas regulatórias nacionais e as demandas por cuidado em saúde de indivíduos com doenças raras em países da periferia ou da semiperiferia global.

Nossa hipótese, a priori, foi que os diversos ambientes regulatórios adotados pelos Estados nacionais podem decorrer ou (i) de alianças políticas que representam interesses hegemônicos, associados a estratégias da indústria farmacêutica para impor uma agenda de desregulação do setor biomédico; ou (ii) de engajamentos dos movimentos de organizações de pacientes, que afetam os diversos paradigmas em que é concebida a saúde de pessoas com doenças raras, como um direito.

Os dados permitem afirmar que em alguma medida ambas as hipóteses se cumpriram. Pois, a expansão do acesso a drogas órfãs no Sul Global estaria associada à interação entre pressões que vêm “de baixo”, na forma de demandas ajuizadas por pacientes-litigantes, sob uma narrativa que liga os medicamentos órfãos ao direito à vida, e pressões que vêm “de cima”, exercidas por empresas farmacêuticas situadas no hemisfério norte. A pressão de pacientes-litigantes contribui para forjar um procedimento para a gestão de tecnologias em saúde; enquanto, a pressão de organizações privadas canaliza estas pressões para o uso de expertise técnica no âmbito deste procedimento. Neste sentido, os achados aqui apresentados coincidem com perspectivas de autores que entendem que o direito emerge das relações sociais, em lugar de ser imposto de cima para baixo e, ao mesmo tempo, com outros que entendem que o direito serve aos interesses de elites hegemônicas. Ao invés de ver estas alternativas como auto-excludentes, é possível enfatizar tanto as pressões exercidas por pacientes-litigantes, como aquela exercida por elites hegemônicas, e especialmente o papel do conflito entre ambas no curso do desenvolvimento jurídico-institucional.

Conforme visto na Parte II, a arquitetura regulatória de Estados Unidos, França e UE estão relacionadas *per se*. Inspirados nos ativistas norte-americanos, alguns movimentos de pacientes franceses adotaram o discurso que ligava os medicamentos órfãos às doenças raras, conduzindo a UE a promover uma política regulatória similar à dos EUA. Atualmente, há inúmeros procedimentos especiais para a introdução de medicamentos órfãos no mercado comum europeu, que incluem o “uso compassivo”, a “aprovação condicional” e os “caminhos adaptativos”. A regulação de medicamentos órfãos e ensaios clínicos na França e nos EUA têm um papel econômico similar, vez que representam o primeiro passo da indústria farmacêutica para entrar nestes mercados.

Nestes países centrais, o tema é observado sob o prisma da natureza globalizada da indústria de medicamentos órfãos e como uma maneira eficiente de fomentar seu parque industrial biotecnológico, visto que aqueles são, em geral, produzidos por um único fabricante, e destinados a um único comprador, que dificilmente será o consumidor. Pois, nestes países, onde são produzidos, tendem a ser cobertos ou pelo Estado (UE) ou por compradores coletivos de seguros privados (EUA).

Por outro lado, fabricantes de drogas órfãs assumem posturas distintas quando se tratam de mercados periféricos ou semiperiféricos. Nesse caso, a questão que subjaz é: como se pode, dentro da arquitetura regulatória, vender um produto ao maior preço possível, pelo maior tempo estimado? Enquanto goza do período de exclusividade de mercado em países do hemisfério norte, o fabricante pode, v.g., beneficiar-se da judicialização das prescrições de medicamentos órfãos para indicações sem alternativa terapêutica em países periféricos, que garantam o direito fundamental à saúde.

Passando ao exame específico do contexto nacional, é inegável que ao menos em âmbito federal as instituições têm sido afetadas pela pressão exercida por grupos de pacientes-litigantes, que acompanham de perto a prática organizacional destas organizações, demandando transparência em seus procedimentos para a incorporação de tecnologias em saúde.

Sem prejuízo do anterior, as pressões pontuais destes atores afetariam não só as organizações governamentais, mas também práticas negociais de empresas farmacêuticas. Ao longo prazo, isto poderá implicar no deslocamento de um modelo insular de discricionariedade administrativa formalmente responsiva apenas a burocratas ou legisladores, para uma “*accountability* legalizada” sujeita ao direito e a uma administração fiscalizada pela população (EPP, 2009, p. 225).

Sem embargo, à luz da esperança de pacientes-litigantes no direito e nas instituições, em face do pessimismo notado em parte da literatura, observamos um esgotamento das capacidades analíticas da sociologia do direito na abordagem de como o direito surge com uma força imaginativa potente nestas batalhas judiciais, a fim de enfrentar a abnegação do direito no Estado administrativo. Assim sendo, as famílias de pacientes que demandam o Eculizumabe na justiça definitivamente constituem “redes temporárias médico-jurídicas e de ativistas” (BIEHL & PETRYNA, 2011, p. 379). Neste sentido, o grupo focal estudado poderia ser descrito como o que Latour (2017, p.119) chama de “aliados”: grupos que antes não se relacionavam com a produção científica, mas são forçados a se interessar por ela. Com efeito, eles talvez possam contribuir para tecer aquilo que Latour chama de “rede”. A metáfora da rede serve para descrever algo “que multiplica o número de aliados”. Nessa perspectiva, os “acoplamentos” entre ciência e direito ensejados por essas “coletividades temporárias” têm a ver com o que Latour chama de nós ou vínculos: nós obtidos através do que os cientistas interrogam; vínculos com colegas cujo papel é colocar os nós à prova, mas também produzir conexões com suas próprias questões, fazendo-as integrar novos nós.

Em outras palavras, se os pacientes-litigantes não expressam, ao menos, uma demanda pela criação de novos nós, pode-se dizer que eles se engajam, ou então, acreditam que deveriam se enredar neles. Assim, a luta destes coletivos terapêuticos pela vida talvez possa contribuir para a reconstrução da teia que prende doentes raros a “centrais de cálculo” (LATOUR, 2011), especialmente, o MS, a CONITEC e a ANVISA. E ainda que haja esforços para retratar a judicialização da saúde como estímulo ao uso irracional de medicamentos, na prática, ocorre precisamente o contrário. Uma vez que os pacientes-litigantes se engajam, ou se enredam, nas práticas institucionais, a gama de opções válidas para as organizações governamentais diminui; além disso, a intervenção da indústria farmacêutica neste debate oferece aos pacientes-litigantes ferramentas significativas para desafiar o Estado administrativo.

Neste sentido, a CONITEC, em seu Relatório de Recomendação n. 412, de dezembro de 2018, tratou de uma droga altamente judicializada, o Galsulfase para a terapia de reposição enzimática, em pacientes com diagnóstico confirmado de Mucopolissacaridose tipo VI. Inicialmente o pedido de incorporação do tratamento foi negado. Contudo, após a Consulta Pública n. 52, realizada em outubro de 2018, em que foram recebidas 2.380 contribuições da sociedade civil, sendo 128 contribuições técnico-científicas e 206 contribuições sobre experiência ou opinião de pacientes, a

CONITEC alterou sua recomendação inicial, considerando que as evidências científicas em relação às doenças raras devem ser analisadas de modo distinto:

Após apreciação das contribuições encaminhadas pela Consulta Pública, verificou-se a necessidade de inclusão de outros estudos nas análises, apresentados pelo demandante, considerando que as evidências científicas em relação às doenças raras devem ser analisadas de modo diferente quando comparadas às doenças de alta prevalência. De maneira geral priorizam-se os Ensaio Clínicos Randomizados para essas últimas; no entanto, este tipo de desenho pode ser mais difícil de ser conduzido naquelas populações, trazendo a necessidade de realizar uma busca mais abrangente em relação ao desenho dos estudos que irão compor a análise dos resultados.

Ainda, diante desta falta de dados sobre a eficácia, verificou-se a necessidade de acompanhamento destes pacientes para que os resultados do tratamento sejam monitorados e documentados. Adicionalmente, a empresa fabricante encaminhou à CONITEC uma nova proposta de preço de R\$ 3.986,60 (três mil novecentos e oitenta e seis reais e sessenta centavos), o que representa uma redução de aproximadamente 25% do preço proposto para incorporação. Frente a esta discussão, o plenário da CONITEC entendeu que houve argumentação suficiente para alterar sua recomendação inicial. (BRASIL, 2018a, p. 33)

Vê-se, no caso do Galsulfase, que o mecanismo que exerce pressão jurídica sobre as organizações governamentais não é apenas a responsabilização política do gestor público, tampouco a demanda por indenizações em face da administração faltosa, mas o “dano à legitimidade pública das instituições” (EPP, 2009, p. 228). Com isso, algumas posições éticas, antes impensáveis, começam a ganhar certa legitimidade. Trata-se da legitimidade da vida, ou *biolegitimidade*, “entendida como o valor atribuído à vida como bem supremo” (FASSIN, 2010, p. 201). Destaque-se, sobretudo, a legitimidade dos movimentos de pacientes organizados que conquistaram o direito de intervir nos debates técnicos de que eram excluídos. Isto envolve um sem-número de questões problemáticas, mas cumpre aqui frisar a formação de novas identidades individuais e coletivas, bem como de práticas emergentes, que no interior da judicialização da saúde, faz com que grupos de pacientes se encontrem para compartilhar experiências, fazer *lobbies* por sua doença, educar seus cuidadores e familiares, engajando desde seus lares e assim por diante. Ou seja, constituem aquilo que Paul Rabinow (1992, p. 244) denomina “biossociabilidade”.

Nessa perspectiva, se a deliberação democrática deve ser uma “República de Razões”, como defende o jurista Cass Sunstein (1994), as diferenças biológicas entre os indivíduos não conformam “boas razões” para tratar cidadãos com doenças raras de maneira distinta a cidadãos afetados por doenças prevalentes. Disto se segue que o

direito não deve fazer das diferenças biológicas uma fonte de produção sistêmica de danos a certos indivíduos, muito menos, deve atribuir estes danos à “natureza”.

Pois, “mesmo quando as diferenças são biológicas, e não produzidas pelo direito, são as práticas jurídicas que transformam as diferenças biológicas em fonte de desvantagem social” (SUNSTEIN, 1994, p. 261). Com efeito, o STF forçosamente deveria ponderar a constitucionalidade das abordagens convencionais em ATS realizadas pela CONITEC para o grupo de doenças raras, à luz do direito à equidade constitucional nas políticas de saúde. Afinal, por uma imposição do princípio da imparcialidade (ou igualdade de tratamento), a discriminação contra membros de minorias sanitárias pela lei enseja uma forte presunção de sua inconstitucionalidade.

Como vimos na Parte III desta dissertação, em que passamos do plano da análise “macrojurídica” à análise “micropolítica” desta problemática, por meio de um estudo empírico através de amostragem randômica, dentro do grupo que demandou na justiça um dos medicamentos mais caros do mundo ao SUS, pacientes-litigantes pobres lutam na justiça para acessar este insumo farmacêutico, com base em conhecimentos e habilidades incomuns à sua classe social, desafiando as administrações de saúde pública. Neste ponto, parte de nossa hipótese confirma-se com um suporte empírico significativo, tendo em vista a variável independente das organizações de doentes raros.

Dentre os achados instigantes do estudo de caso realizado, demonstramos a concentração dos processos judiciais segundo a comarca onde foram distribuídos, os agentes ajuizadores, o IDH do endereço do autor e sua idade quando veio a óbito: os 14 municípios com menor IDH (abaixo de 0.8) geraram 77% das demandas judiciais pelo Soliris®. Vale dizer, a maioria destas ações foram distribuídas na Seção Judiciária do Distrito Federal, em que pese os pacientes residissem em 13 estados diferentes. Portanto, o potencial explicativo do cruzamento de dados da comarca onde foi distribuído o processo com indicadores de desenvolvimento local é limitado, tendo em vista as estratégias adotadas pelos agentes ajuizadores das ações ao eleger um foro em detrimento de outro.

Em conclusão, os achados apontam que os programas de assistência farmacêutica do SUS têm falhado em promover o acesso a medicamentos órfãos, falha esta que pessoas vulneráveis vêm tentando corrigir em seus casos individuais, com o auxílio de associações de pacientes. Com efeito, fomos de encontro com a contracorrente liberal, que hoje prevalece nos estudos sociojurídicos sobre o fenômeno da judicialização da saúde. Pois, os dados sugerem que a demanda judicial por

medicamentos órfãos inclui pessoas de baixa renda ou indivíduos com idade avançada, que não vivem nas principais metrópoles do país. Ao cabo, revelamos, ainda, que este é um fenômeno heterogêneo e transversal a todos os entes federados brasileiros.

No caso do Soliris®, vimos que apesar de a CONITEC ter desaconselhado sua incorporação no SUS para o tratamento de pacientes com HPN, impingindo uma morte lenta àqueles que foram submetidos a “tratamentos convencionais”, em crises que chegaram a durar meses, a recalcitrância da comunidade de doentes órfãos fez com que, em 06 de dezembro de 2018, esta droga fosse incorporada no SUS (BRASIL, 2018b). Ao cabo, suas histórias de luta individual se tornaram histórias de sucesso coletivo.

Portanto, este achado presta uma corroboração empírica a respeito da hipótese de que a litigância pelo direito à saúde pode ser um corretivo extremamente necessário quando os canais administrativos falham (BIEHL, 2016). Em outras palavras, a judicialização da assistência farmacêutica não se caracteriza como “fonte de privilégios”, pois as obrigações impostas a autoridades sanitárias por meio de decisões judiciais acabam por criar políticas que garantem direitos não apenas àqueles que buscaram a via judicial. As vitórias individuais na esfera judicial estariam produzindo efeitos coletivos, ao estimular a reforma de procedimentos administrativos embasados por epistemologias de cientificidade duvidosa.

Por derradeiro, contrariamente à ambivalência atribuída ao problema da judicialização, nossa percepção é que um movimento enérgico de pacientes-ativistas, através da litigância massiva, estaria forçando as agências estatais a encarar problemas sanitários que geralmente foram deixados de lado, de forma que a macrolitigância de direitos fundamentais pode forjar, aos poucos, reformas regulatórias em outros poderes.

REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

- ABRAHAM, John. Sociology of pharmaceuticals development and regulation: a realist empirical research programme. *Sociology of Health & Illness* vol. 30 No 6. 2008.
- ABRAHAM, J. SMITH, H. Lawton. LAWTON SMITH, Helen (Eds.) *Regulation of the Pharmaceutical Industry*. Hampshire, UK: Palgrave Macmillan, 2003.
- ACKERMAN, Bruce & HASSLER, William T. *Clean Coal/Dirty Air: or How the Clean Air Act Became a Multibillion-Dollar Bail-Out for High-Sulfur Coal Producers*. New Haven: Yale University Press, 1981.
- ADRIANCE, Sam. Fighting for the “Right to try”. *Unapproved drugs: Law as Percussion*. 124 *Yale L. J. F.* 148, 2014.
- AGAMBEN, Giorgio. *Homo Sacer: o poder soberano e a vida nua 1*. Trad. Henrique Burigo. Belo Horizonte: Editora UFMG, 2002.
- AITH, Fernando Mussa Abujamra. BUJDOSO, Yasmim. NASCIMENTO, Paulo Roberto do. DALLARI, Sueli Gandolfi, Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. *São Paulo. Revista de Direito Sanitário*. v. 15, n. 1 . mar/jun 2014.
- AITH, Fernando Mussa Abujamra. CUNHA, Ana Carolina Navarrete M. F.; CASTELLARO, Felipe Angel Bocchi; SOARES, Darnise Francinne Lopes; DALLARI, Sueli Gandolfi. Política de regulação de drogas e medicamentos no Brasil: panorama normativo e institucional. In: *Centro de Estudos e Pesquisas de Direito Sanitário (CEPEDISA). Regulação de medicamentos no mundo globalizado / Drugs regulation in a globalized world / Fernando Aith, Sueli Gandolfi Dallari*. – São Paulo: Cepedisa; 2014.
- AITH, Fernando Mussa Abujamra.
- _____. *Teoria Geral do Direito Sanitário Brasileiro: volume 1*. São Paulo: Universidade de São Paulo, 2006. Tese para obtenção do título de Doutor em Saúde Pública.
- _____. *Curso de Direito Sanitário – a proteção do direito à saúde no Brasil*. São Paulo: Quartier Latin, 2007.
- _____. O direito à saúde e a política nacional de atenção integral aos portadores de doenças raras no Brasil. IN: *Jornal Brasileiro de Economia da Saúde*. Dezembro 2014. Edição Especial – Doenças Raras. Supl. (1): 4-12.
- ALMEIDA, Amanda. Ministro da Saúde orienta pacientes a entrarem na Justiça contra Anvisa. *União X União. Agência O Globo*. 14/03/2018. Disponível em: <https://blogs.oglobo.globo.com/poder-em-jogo/post/ministro-da-saude-orienta-pacientes-entrarem-na-justica-contr-anvisa.html> Acesso em: 22/09/2018
- ARAÚJO, Denizar Vianna. Limitações dos métodos de ATS para decisão de incorporação de tecnologias para doenças raras. *Brazilian Journal of Health Economics - J Bras Econ Saúde*. Edição Especial Doenças Raras. Dez. 2014: 24-30.
- BALMACEDA, C.; ESPINOZA, M. Nuevas moléculas registradas en chile durante el año 2014. In: *Value in Health* 18 (2015) A805–A881.
- BENDIX, Reinhard. Max Weber. *An Intellectual Portrait*. Trad. María Antonia Oyuela de Grant. Revisão técnica. Juan José Llach. Buenos Aires: Amorrortu Editores, 1960.
- BIEHL, João.
- _____. *Judicialização de Base: Perfil dos Demandantes do Direito a Medicamentos e Lições para as Políticas de Saúde no Brasil*. Texto apresentado no Terceiro Encontro Latinoamericano sobre o Direito à Saúde e Sistemas de Saúde promovido pelo Instituto Banco Mundial em Brasília no dia 3 de junho de 2013.
- _____. The judicialization of biopolitics. *American Ethnologist*, v. 40, n. 3, 2013, pp. 419-36.

_____. “Patient-Citizen-Consumers: judicialization of health and metamorphosis of biopolitics”. In: Lua Nova, 98: 77-105, 2016.

BIEHL, João. PETRYNA, Adriana. Tratamentos jurídicos: os mercados terapêuticos e a judicialização do direito à saúde. In: História, Ciências, Saúde – Manguinhos. Rio de Janeiro: Mar 2016, vol.23, no.1, p.173-192.

BIEHL, João. AMON, Joseph A. SOCAL, Mariana P. PETRYNA, Adriana. Between the court and the clinic: Lawsuits for medicines and the right to health in Brazil. *Health and Human Rights*, Vol. 14, No. 1, Junho 2012, pp. 36-52.

BERGALLO, Paola. Courts and Social Change: Lessons from the Struggle to Universalize Access to HIV/AIDS Treatment in Argentina. *Texas Law Review*, 2011. Vol. 89:1611.

BENÍTEZ, Alejandra; HERNANDO, Andrés; VELASCO, Carolina. Encuesta de Presupuestos Familiares y gasto en salud: una primera mirada. Santiago de Chile: Centro de Estudios Públicos. Puntos de Referencia. N° 484, julio 2018.

BERNAIN, Gina Raineri. Antecedentes legales sobre enfermedades raras. In: Revista Chilena de Enfermedades Respiratorias 2017; 33: 12-13.

BIOMARKERS DEFINITION WORKING GROUP. 2001. Biomarkers and surrogate endpoints: Preferred definitions and conceptual framework Clinical. Pharmacology & Therapeutics 69: 89–95.

BLOGSPOT HPN - Hemoglobínúria Paroxística Noturna (PNH - Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria) Disponível em:

<http://hemoglobinuriaparoxisticanoturna.blogspot.com/2010/04/1-encontro-brasileiro-de-paciente-com.html> Acesso em: 17/02/2019.

BRASIL.

____ ADVOCACIA GERAL DA UNIÃO - AGU. Intervenção judicial na saúde pública. Panorama no âmbito da Justiça Federal e apontamentos na seara das justiças estaduais. Brasília. Advocacia Geral da União, Consultoria Jurídica Ministério da Saúde. 2012. Disponível em: <

<http://portalsaude.saude.gov.br/portalsaude/arquivos/Panorama.pdf>>. Acesso em: 13 out. 2013.

CÂMARA DOS DEPUTADOS.

Discursos e Notas Taquigráficas – DETAQ. Protesto contra a suspensão, pelo Ministério da Saúde, do fornecimento de medicamentos destinados ao tratamento de portadores de doenças raras. Relator: Deputado Padre João (PT-MG). Acesso em: 15/02/2019. Disponível em:

<https://www.camara.leg.br/internet/sitaqweb/TextoHTML.asp?etapa=3&nuSessao=014.4.55.O&nuQuarto=14&nuOrador=1&nuInsercao=0&dtHorarioQuarto=14:52&sgFaseSessao=PE%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20&Data=27/02/2018&txApelido=PADRE%20JO%20C3%83O&txFaseSessao=Pequeno%20Expediente%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20%20&dtHoraQuarto=14:52&txEtapa=Com%20reda%20C3%A7%C3%A3o%20final>

Doenças raras mataram 16 brasileiros em dez meses. Acesso em: 01/10/2018.

Disponível em: <http://www2.camara.leg.br/atividade-legislativa/comissoes/comissoes-permanentes/cdhm/noticias/doencas-raras-mataram-quinze-brasileiros-em-10-meses>

Relatório da Comissão Parlamentar de Inquérito de Medicamentos. Relator: Deputado Ney Lopes, 2010.

CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA.

Comitê de Saúde do Conselho Nacional de Justiça em Santa Catarina – COMESC. Disponível em:

<https://www.mpsc.mp.br/programas/comesc?ancora#enunciados> Acesso em: 17/01/2019.

Justiça em números 2016: ano-base 2015/Conselho Nacional de Justiça – Brasília: CNJ, 2016. Acesso em 22 de janeiro de 2017. Disponível em <http://www.cnj.jus.br/programas-e-acoas/pj-justica-em-numeros>

Pedido de Providências 0002150-61.2012.2.00.0000. Decisão proferida em 6 de agosto de 2013. Disponível em: <http://www.cnj.jus.br/acompanhamentoprocessualportal/faces/jsf/consultarandamentoprocessual/ConsultarProcesso.jsp> . Acesso em: 22 jan. 2019.

____ MINISTÉRIO DA SAÚDE – MS.

Audiência Pública da Subcomissão Especial sobre Doenças de 13 de dezembro de 2017.

“Ministério da Saúde vai disponibilizar software para controlar ações judiciais”. Disponível em:

http://portalarquivos2.saude.gov.br/images/pdf/2017/julho/28/1-a-27-07-2017-S-Codes_judicializacao_com-edicao.pdf Acesso em: 17/01/2019.

Supremo Tribunal Federal – STF. Recursos Extraordinários 566.471/RN e 657.718/MG, de Relatoria do Ministro Marco Aurélio.

____ COMISSÃO NACIONAL DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO SUS – CONITEC.

Rev. Saúde Pública; 46(2):398-9, 2012

Relatório de Recomendação Nº 142/2015, 2015.

Relatório de Recomendação Nº 412/2018, 2018a.

Relatório de Recomendação Nº 413/2018, 2018b.

____ FUNDAÇÃO DE AMPARO À PESQUISA DO ESTADO DE SÃO PAULO – FAPESP. Revista Pesquisa FAPESP. “Remédios na Justiça”. Edição 252, fev. 2017. Acesso em: 07/08/2018. Disponível em:

<http://revistapesquisa.fapesp.br/2017/02/13/folheie-a-edicao-252/>

____ MINISTÉRIO PÚBLICO FEDERAL. Procuradoria da República do Rio Grande do Sul - Núcleo de Saúde. Audiência pública para discussão de uma Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. Porto Alegre, RS: Ministério Público Federal, 2012. Disponível em: <http://www.prrs.mpf.gov.br/home/audiencias/genetica-clinica/ata_aud_genetica-clinica_11-06.pdf>. Acesso em: 22 dez. 2017.

BRITO, Renata Janaina de Sousa. A Judicialização do direito à saúde: uma revisão bibliográfica da produção científica nacional. Monografia submetida ao curso de Ciências Sociais, habilitação Sociologia, da Universidade de Brasília para a obtenção do grau de Bacharel em Sociologia. Brasília, 2011.

BONILLA, Carlos Ernesto Lucio. Aspectos bioéticos de la regulación de medicamentos en Colombia. Tese de Doutorado em Direito. Menção: Bioética y Derecho. Universidad de Barcelona, 2017.

BOURDIEU, Pierre. Os usos sociais da ciência: Por uma sociologia clínica do campo científico. Trad. Denice Barbara Catani. São Paulo: Editora UNESP, 2004.

CAETANO, Rosângela, et al. Incorporação de novos medicamentos pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do SUS, 2012 a junho de 2016. Ciência & Saúde Coletiva, 22(8):2513-2525, 2017.

CALABRESI, Guido. BOBBITT, Philip. Tragic Choices. (The Fels lectures on public policy analysis.) Nova Iorque: Norton & Company, 1978.

CAPPELLETTI, Mauro. GARTH, Bryant. Acesso à Justiça. Trad. Ellen Gracie Northfleet. Reimpressão. Porto Alegre: Sergio Antonio Fabris Editor, 2015.

CARDOSO, João Vitor.

_____. Bricolagem Constitucional: uma contribuição inexplorada de Mark Tushnet para a teoria do direito. In: *Revista de Estudos Constitucionais, Hermenêutica e Teoria do Direito (RECHTD)*.10(3):362-364, setembro-dezembro, 2018.

_____. A Súmula n.º 11 importa, na realidade? In: *Anuario de Derecho Constitucional Latinoamericano*, Año XXIV. Bogotá: Fundación Konrad Adenauer, 2018.

_____. Acesso à justiça no Brasil: legislação, jurisprudência e análise comparativa com o sistema interamericano de direitos humanos. In: *Derecho de Acceso a la justicia: aportes para la construcción de un acervo latinoamericano*. 1ed. Santiago de Chile: Centro de Estudios de Justicia de las Américas – CEJA, Gráfica LOM, p. 69-118, 2017. CARRERA-ACOSTA L. DEL CARMEN, D. FLORES-BENITES, V. BARRAGAN, M. ESPINOZA, DH. Financiamiento de Enfermedades Huérfanas y Raras en Latinoamérica. In: *Value in Health* 20 (2017): A853-A943.

CARLSSON, P. Health technology assessment and priority setting for health policy in Sweden. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, v. 20, n. 1, p. 44-54, 2004.

CASTILLO-RIQUELME, Marianela; ESPINOZA, Manuel Antonio S. Evaluación de Tecnologías Sanitarias. Editorial. In: *Rev. Méd. Chile* vol.142 supl.1 Santiago jan. 2014

CASTRO, Marcus Faro de. Dimensões Políticas e Sociais do Direito Sanitário Brasileiro. In: *Brasil. Direito sanitário e saúde pública*. Ministério da Saúde, Secretaria de Gestão do Trabalho e da Educação na Saúde, Departamento de Gestão da Educação na Saúde; Márcio Iorio Aranha (Org.) – Brasília: Ministério da Saúde, 2003.

CAMARGO, Ricardo; RIED, Nicolas. Towards a genealogy of pharmacological practice. *Medicine Health Care and Philosophy* (2016) 19: 85–94.

CAMARGO, Ricardo. & RIED SOTO, Nicolás. Biopolítica y verdad: El caso de Marchiafava-Bignami en el dispositivo judicial chileno. *Revista Chilena de Derecho y Tecnología*. Vol. 6, Núm. 2, 2017.

CID PEDRAZA, C., PRIETO TOLEDO L. (2012). El gasto de bolsillo en salud: el caso de Chile, 1997 y 2007, *Rev Panam Salud Pública*. 2012;31(4)310–16.

CHILE. Ministério da Saúde. Informe Final: Estudio del gasto catastrófico y del gasto de bolsillo en salud para el período 1997-2012. Santiago de Chile, 2015. ISBN: 978-956-348-085-6

CHIEFFI, Ana Luiza; BARATA, Rita de Cássia Barradas.

Judicialização da política pública de assistência farmacêutica e equidade. *Caderno Saúde Pública*, v.25, n.8, p.839-1849, 2009.

Ações judiciais: estratégia da indústria farmacêutica para introdução de novos medicamentos. *Revista de Saúde Pública*, v.44, n.3, p.421-9, 2010.

COLUCCI, Cláudia. Judicialização na saúde faz desigualdade avançar, dizem especialistas. *Folha de São Paulo*. Disponível em: <https://www1.folha.uol.com.br/seminariosfolha/2014/03/1432517-judicializacao-na-saude-faz-desigualdade-avancar-dizem-especialistas.shtml> Acesso em: 04/03/2019.

CORSI, Giancarlo. Sociologia da Constituição. In: *Revista da Faculdade de Direito da Universidade Federal de Minas Gerais*, n. 39, 2001 (pp. 169-189).

CORTÉS, Fanny. Las enfermedades raras. In: *Rev. Med. Clin. Condes* - 2015; 26(4) 425-431

COUTINHO, Diogo Rosenthal. MIZIARA, Nathália Molleis. Participação social, transparência e accountability na regulação sanitária da Anvisa. In: *Centro de Estudos e Pesquisas de Direito Sanitário (CEPEDISA). Regulação de medicamentos no mundo globalizado / Drugs regulation in a globalized world / Fernando Aith, Sueli Gandolfi Dallari. – São Paulo: Cepedisa; 2014.*

CAPUCHO, H. C. et al. Incorporação de Tecnologias em Saúde no Brasil: novo modelo para o Sistema Único de Saúde. *Boletim do Instituto de Saúde*, v. 13, n. 3, p. 215-222, julho-2012.

CANTARINI, Paola. O princípio da proporcionalidade como resposta à crise autoimunitária do direito. In: Congresso Internacional da Associação Brasileira de Pesquisadores em Sociologia do Direito (ABraSD), 9., 2018, São Paulo. *Sociedades pós- constitucionais: a sociologia do direito após 30 anos de Constituição cidadã*. São Paulo: USP; ABraSD, 2018.

DALLARI, Sueli Gandolfi.

_____. *Direito Sanitário*. In: BRASIL. *Direito sanitário e saúde pública*. Ministério da Saúde, Secretaria de Gestão do Trabalho e da Educação na Saúde, Departamento de Gestão da Educação na Saúde. Brasília: Ministério da Saúde, 2003.

_____. Basta! Nenhuma inconstitucionalidade é conveniente! *Revista de Direito Sanitário*, São Paulo v.19 n.1, mar./jun. 2018.

_____. Fornecimento do medicamento pós-estudo em caso de doenças raras: conflito ético. Brasília: *Revista Bioética*. vol. 23, n. 2, 2015.

DA SILVA, Luís Virgílio Afonso. O judiciário e as políticas públicas: entre transformação social e obstáculo à realização dos direitos sociais. In: *O processo para solução de conflitos de interesse público*. Salvador: JusPODIVM, 2017.

DA SILVA, Virgílio Afonso da; TERRAZAS, Fernanda Vargas. 2011. Claiming the right to health in Brazilian courts: the exclusion of the already excluded? *Law & Social Inquiry*, v. 36, no. 4, p. 825-853.

DE LA JARA, Jiménez, Jorge, Gabriel Bastías, Jaime Burrows, Jaime Cerda, Camilo Cid, Karin Froimovich, Ulises Nancuante, Sebastián Pavlovic y Andrés Romero. 2012. “Acceso a medicamentos de alto costo y enfermedades de baja frecuencia”. Departamentos de Salud Pública, Escuela de Medicina, Pontificia Universidad Católica de Chile.

DENNIS, Claire. A Comparison of the Pre-Market Orphan Drug Legal Frameworks in the United States and the European Union. In: *Wisconsin International Law Journal*. Vol.35, N.º 1, 2017.

DIVERSITAS – Núcleo de Estudos das Diversidades, Intolerâncias e Conflitos. Disponível em: <http://diversitas.fflch.usp.br/node/2954> Acesso em: 19/06/2019.

DRUMMOND, Michel F. Challenges in the economic evaluation of orphan drugs. In: *Eurohealth*, vol. 14, No. 2, 2008.

DRUMMOND, Michel F. WILSON, David A. KANAVOS, Panos. UBEL, Peter. ROVIRA, Joan. Assessing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 23(1), p. 36-42, 2007.

DOOMS, Marc. M. Rare diseases and orphan drugs: 500 years ago. In: *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2015) 10:161.

DUMIT, Joseph. Illnesses you have to fight to get: Facts as forces in uncertain, emergent illnesses. *Social Science & Medicine* 62 (2006) 577–590.

DWORKIN, Ronald.

_____. *Conferencias de Ronald Dworkin en Chile*. Colección Estudios, n. 2. Santiago de Chile: Corporación Nacional de Reparación y Reconciliación, 1994.

_____. *Sovereign virtue: the theory and practice of equality*. Estados Unidos da América: Harvard University Press, 2000.

_____. *A matter of principle*. Oxford: Oxford University Press, 2001.

ELGIN, Ben. BLOOMFIELD, Doni. CHEN, Caroline. When the Patient Is a Gold Mine: The Trouble With Rare-Disease Drugs. *Bloomberg*, de 24 de maio de 2017.

Disponível em: <https://www.bloomberg.com/news/features/2017-05-24/when-the-patient-is-a-gold-mine-the-trouble-with-rare-disease-drugs> Acesso em: 19/04/2019.

ESTADOS UNIDOS DA AMÉRICA.

_____. Departamento de Saúde e Serviços Sociais. Administração de Comida e Drogas. Report: Complex Issues in Developing Drugs and Biological Products for Rare Diseases and Accelerating the Development of Therapies for Pediatric Rare Diseases Including Strategic Plan: Accelerating the Development of Therapies for Pediatric Rare Diseases, 2014.

_____. U.S. FOOD & DRUG ADMIN., RARE DISEASES: COMMON ISSUES IN DRUG DEVELOPMENT: GUIDANCE FOR INDUSTRY 11 (2015), <http://www.fda.gov/downloads/Drugs/GuidanceComplianceRegulatoryInformation/Guidances/UCM458485.pdf>.

_____. The Food and Drug Modernization Act of 1997. Title 21 Code of Federal Regulations Part 314 Subpart H Section 314.500.

EPP, Charles R. Making rights real: activists, bureaucrats, and the creation of legalistic state Chicago, Londres: The University of Chicago Press, 2009.

FARIA, José Eduardo.

_____. A Crise Constitucional e a Restauração da Legitimidade. Porto Alegre: Fabris, 1985.

_____. O Brasil Pós-Constituinte. Rio de Janeiro: Graal, 1989.

_____. El poder judicial frente a los conflictos colectivos. In: COURTIS, Christian. Desde otra mirada: textos de teoría crítica del Derecho. Buenos Aires: Editorial Universitaria de Buenos Aires, 2001.

FARHANG, Sean. Legislating for Litigation: Delegation, Public Policy, and Democracy, 106 Calif. L. Rev. 1529 (2018).

FERRAZ JR., Tercio Sampaio. Agências reguladoras: legalidade e constitucionalidade. Revista Tributária e de Finanças Públicas, v. 35, p. 143-158, 2000.

FERRAZ, Octavio Luiz Motta.

_____. The Right to Health in the Courts of Brazil: Worsening Health Inequities ?. Health and Human Rights, 11, 2: 33–45, 2009.

_____. Harming the Poor Through Social Rights Litigation: Lessons from Brazil. Texas Law Review. Vol. 89: 1643: 1643-1668, 2011.

Federación Colombiana de Enfermedades Raras. Una nueva esperanza para las víctimas de enfermedades raras en Colombia [internet] [acceso: 7 de julio de 2015]. Disponible en: <http://www.fecoer.org/una-nueva-esperanza-para-las-victimas-de-enfermedades-raras-en-colombia/>

FASSIN, Didier. El irresistible ascenso del derecho a la vida. Razón humanitaria y justicia social. Revista de Antropología Social 2010, 19, pp. 191-204.

FRANCO, Pedro. Orphan Drugs: the regulatory environment. In: Drug Discory Today. Volume 18, numbers 3/4, fev.2013.

FRANCO, Túlio Batista. MERHY, Emerson Elias. Trabalho, produção do cuidado e subjetividade em saúde: textos reunidos. São Paulo: Hucitec Editora, 2013.

FREY, Klaus. OLIVEIRA, Vanessa Elias de. XIMENES, Salomão Barros. BITTENCOURT, Lúcio Nagib. LOTTA, Gabriela Spanghero. Gestão e poder local Políticas públicas em perspectiva comparada: proposta de um framework para a análise de experiências locais. In: Revista do Serviço Público Brasília 68 (1) 9-36 jan/mar 2017.

FISS, Owen M.

_____. Between Supremacy and Exclusivity. In: 57, Syracuse Law Review, 187, 2007.

_____. The Bureaucratization of the Judiciary. Faculty Scholarship Series. 1216, 1983.

FOUCAULT, Michel.

_____. Em defesa da sociedade: curso no Collège de France (1975-1976). Trad. Maria Ermantina Galvão. 2ª ed. São Paulo: Editor WMF Martins Fontes, 2010.

_____. História da sexualidade I: A vontade de saber, tradução de Maria Thereza da Costa Albuquerque e J. A. Guilhon Albuquerque. Rio de Janeiro, Edições Graal, 1988.

_____. Microfísica do Poder. 5ª ed. Org. e trad. Roberto Machado. Rio de Janeiro: Edições Graal, 1985.

FURROW, Barry R. GREANEY, Thomas L. JOHSON, Sandra H. JOST, Timothy S. SHWARTZ, Robert L. Bioethics: Health Care Law and Ethics. Sixth Edition. United States: WEST PUBLISHING CO., 2008.

GALANTER, Marc.

_____. “Why the ‘Haves’ Come Out Ahead: Speculations on the Limits of Legal Change”, Law and Society Review, Volume 9:95, No.1, pp. 95-160, 1974.

_____. “The Turn Against Law: The Recoil Against Expanding Accountability”. Texas Law Review, v. 81, pp. 285-304, 2002.

_____. Por que “quem tem” sai na frente: especulações sobre os limites da transformação do direito. Trad. Ana Carolina Chasin. São Paulo: FGV Direito SP, 2018.

GAMMIE, Todd. LU, Christine Y. BABAR, Zaheer Ud-Din. Access to Orphan Drugs: A Comprehensive Review of Legislations, Regulations and Policies in 35 Countries. In: PLoS One. 2015; 10(10): e0140002.

GOODMAN CS. HTA 101: Introduction to Health Technology Assessment. Bethesda, MD: National Library of Medicine (US); 2014.

GUERRA FILHO, Willis Santiago.

_____. Immunological theory of law, Saarbrücken: Lambert 2014.

_____. Sobre a migração das cortes constitucionais do sistema jurídico para o sistema político. In: Congresso Internacional da Associação Brasileira de Pesquisadores em Sociologia do Direito (ABraSD), 9. São Paulo. Sociedades pós- constitucionais: a sociologia do direito após 30 anos de Constituição cidadã. São Paulo: USP, 2018.

GIBSON, Shannon; TIGERSTROM, Barbara von. Orphan drug incentives in the pharmacogenomic context: Policy responses in the US and Canada, July J. L. & BIOSCIENCES 263, 264 (2015).

HARLOW, Carol. RAWLINGS, Richard. Law and Administration. Third Edition. Cambridge: Cambridge University Press, 2009.

HEREDIA E.; RIBEIRO A. Impact of using External Reference Pricing (ERP) and Health Technology Assessment (HTA) as part of cost-containment policies: comparison of prices in Latin America. Value in Health 20 (2017) A853–A943.

HERNÁNDEZ-VÁSQUEZ, A.; RUBILAR-GONZÁLEZ, J.; PISFIL-BENITES, N. Financiamiento de enfermedades raras o huérfanas: una tarea pendiente. Rev Peru Med Exp Salud Publica. 2014;31(2):393.

HIRSCHL, Ran.

_____. Towards juristocracy: the origins and consequences of the new constitutionalism. Estados Unidos da América: Harvard University Press, 2007.

_____. Comparative Matters: the Renaissance of Comparative Constitutional Law. Reino Unido: Oxford University Press, 2014.

HÜBNER MENDES, Conrado. A global constitution of rights: The ethics, the mechanics and the geopolitics of comparative constitutional law. In: O. VILHENA; U. BAXI; F. VILJOEN (ed.), Transformative constitutionalism: Comparing the apex courts of Brazil, India and South Africa. Pretoria, Pretoria University Press, 2013.

HUYARD, Caroline. How did uncommon disorders become ‘rare diseases’? History of a boundary object. Sociology of Health & Illness Vol. 31 No. 4 2009 ISSN 0141–9889, pp. 463–477 doi: 10.1111/j.1467-9566.2008.01143.x

- INAHTA – International Network of Agencies for Health Technology Assessment. Acessado em: <http://www.inahta.org/> Disponível em: 01/09/2018.
- INSPER – Instituto de Ensino e Pesquisa. Judicialização da Saúde no Brasil: Perfil das Demandas, Causas e Proposta de Solução. Relatório Analítico Propositivo. Conselho Nacional de Justiça – CNJ. Série Justiça Pesquisa, 2019.
- INTERFARMA – Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa. Doenças Raras: A urgência do acesso à saúde. Brasil: Ativaonline Editora e Serviços Gráficos, 2018. Acesso em: 07/08/2018. Disponível em: <https://www.interfarma.org.br/public/files/biblioteca/doencas-raras--a-urgencia-do-acesso-a-saude-interfarma.pdf>
- JASANOFF, Sheila.
- _____. Science at the Bar. Law, Science, and Technology in America. Cambridge: Harvard University Press, 1995.
- _____. Procedural Choices in Regulatory Science. Technology In Society. Vol. 17. N.3. pp.279-293, 1995.
- _____. Law's Knowledge: Science for Justice in Legal Settings. In: American Journal of Public Health; 2005; 95, S1; ProQuest Central, 2005.
- _____. Just Evidence: The Limits of the Science in the Legal Process. In: Journal of Law, Medicine & Ethics, 2006.
- _____. Reframing Rights: Bioconstitucionalism in the Genetic Age. Cambridge: The MIT Press, 2011a.
- _____. Genome-sequencing anniversary. A living constitution. Science. 2011b; 331(6019):872.
- _____. The Ethics of Invention: technology and the human future. New York: Norton & Company, Inc., 2016.
- _____. Can Science Make Sense of Life? Cambridge: Polity Press, 2019.
- JAPIASSU, Hilton. Interdisciplinaridade e patologia do saber. Rio de Janeiro: Imago Editora Ltda., 1976.
- KASTLER, Florian. The regulatory framework of clinical trials in France and in the European Union. In: Centro de Estudos e Pesquisas de Direito Sanitário (CEPEDISA). Regulação de medicamentos no mundo globalizado / Drugs regulation in a globalized world / Fernando Aith, Sueli Gandolfi Dallari. – São Paulo: Cepedisa; 2014.
- KAKKAR, A Kumar; DAHIYA, N. Drug Development Research 2014 Jun; Vol. 75 (4), pp. 231-234.
- KESSLER, Daniel P. Regulation vs. Litigation: Perspectives from Economics and Law. Chicago: University of Chicago Press, 2011.
- KESSELHEIM, Aaron S. MYERS, Jessica A. SOLOMON, Daniel H. WINKELMAYER, Wolfgang C. LEVIN, Raisa. AVORN, Jerry. The Prevalence and Cost of Unapproved Uses of Top-Selling Orphan Drugs. In: PLoS ONE 7 (2): e31894. Fev./2017. Vol. 7. Issue 2, 2012.
- KRUER, MC. STEINER, RD. The role of evidence-based medicine and clinical trials for rare genetic disorders. In: Clin Genet 2008; 74: 197-207, 2008.
- KOMMERS, D. 1975. The Value of Comparative Constitutional Law. J. Marshall J. Prac. & Proc., 685(975-1976):685-696.
- KOERNER, Andrei. Ativismo Judicial? Jurisprudência constitucional e política no STF pós-88. Novos Estudos. CEBRAP. 96, julho, 2013, pp. 69-85.
- KUHN, Thomas S. Scientific Paradigms. In: Penguin modern sociology Readings. Sociology of Science. Ed. Barry Barnes. Reino Unido, Middlesex: Penguin Books Ltd., 1972.

- L'ABBATE, Solange. *Análise institucional e saúde coletiva no Brasil*. 1ª ed. São Paulo: Hucitec, 2013.
- LAKATOS, Eva Maria. MARCONI, Marina de Andrade. *Fundamentos de metodologia científica*. 5. ed. - São Paulo: Atlas, 2003.
- LATOUR, Bruno.
- _____. *Ciência em ação: como seguir cientistas e engenheiros sociedade afora*. Trad. Ivone C. Benedetti. 2ª Ed. São Paulo: Editora Unesp, 2011.
- _____. *Reagregando o social*. Salvador: Edufba, 2012; Bauru, São Paulo: Edusc, 2012.
- _____. *A esperança de Pandora: ensaios sobre a realidade dos estudos científicos*. Trad. Gilson César Cardoso de Sousa. São Paulo: Editora Unesp, 2017.
- LAUDE, Anne. TABUTEAU, Didier.
- _____. *Sécurité des patients, sécurité des consommateurs: convergences et divergences*. Paris: Presses Universitaires de France, 2009.
- _____. *Essais Cliniques, quels risques?* Paris: Presses Universitaires de France, 2007.
- LECA, Antoine. *Droit Pharmaceutique*. 8a édition. Bordeaux: LEH Édition, 2015.
- LEFORT, Claude.
- _____. *A Invenção Democrática – Os limites da dominação totalitária*. Trad. Isabel Marva Loureiro. São Paulo: Editora Brasiliense, 1983.
- _____. *Pensando o político: ensaios sobre democracia, revolução e liberdade*. Trad. Eliana M. Souza – Rio de Janeiro: Paz e Terra, 1991.
- LIMA, Fernando Rister de Sousa. *Saúde e Supremo Tribunal Federal*. Curitiba: Juruá, 2015.
- LORENCE, Annie. *Les évolutions suite aux décisions de la loi de sécurité sanitaire. Conséquences en France*. In: Colloque RARE 2013, Med. Sci. 2014/4, vol. 30, H.S., n. 1.
- LOIRAT, Chantal. FRÉMEAUX-BACCHI, Véronique. *Atypical hemolytic uremic syndrome*. Orphanet Journal of Rare Diseases 2011, 6:60.
- LUHMANN, Niklas.
- _____. *A Constituição como Aquisição Evolutiva* [Tradução realizada a partir do original (“Verfassung als evolutionäre Errungenschaft”. In: *Rechtshistorisches Journal*. Vol. IX, 1990, pp. 176 a 220), cotejada com a tradução italiana de F. Fiore (“La costituzione come acquisizione evolutiva”. In: ZAGREBELSKY, Gustavo. PORTINARO, Pier Paolo. LUTHER, Jörg. *Il Futuro della Costituzione*. Torino: Einaudi, 1996), por Menelick de Carvalho Netto, Giancarlo Corsi e Raffaele DeGiorgi. Notas de rodapé traduzidas da versão em italiano por Paulo Sávio Peixoto Maia (texto não revisado pelo tradutor).]
- _____. *Organización y decisión. Autopoiesis, acción y entendimiento comunicativo*. Trad. Darío Rodríguez Mansilla. Santiago de Chile: Instituto de Sociología, 1997.
- LUZZATTO, Lucio. HOLLAK, Carla E. M.; COX, Timothy M.; SCHIEPPATI, Arrigo; LICH, Christoph; MERLINI, Giampaolo; SCHAEFER, Franz; REMUZZI, Giuseppe. *The Lancet*, Vol. 385, 28/fev./2015.
- LUZZATTO, Lucio; HYRY, Hanna; SCHIEPPATI, Arrigo. COSTA, Enrico; SIMOENS, Steven; SCHAEFER, Franz; ROOS, Jonathan; MERLINI, Giampaolo; KÄÄRIÄINEN, Helena; GARATTINI, Silvio; HOLLAK, Carla; REMUZZI, Giuseppe. *Outrageous prices of orphan drugs: a call for collaboration*. *The Lancet*, 20, Julho de 2018. [http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736\(18\)31069-9](http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736(18)31069-9)
- MACEDO, Eloisa Israel de; LOPES, Luciane Cruz; BARBERATO-FILHO, Silvio. 2011. *A technical analysis of medicines request-related decision making in Brazilian courts*. *Revista de Saúde Pública*, v. 45, no. 4, p. 706- 713, Aug.

- MACHADO, Marina Amaral de Ávila et al. 2011. Judicialization of access to medicines in Minas Gerais State, Southeastern Brazil. *Revista de Saúde Pública*, São Paulo, v. 45, no. 3, p. 590-598, June.
- MALAMBO-GARCÍA, Dacia I; LÓPEZ-SALEME, Rossana. MORA-GARCÍA, Gustavo J.; RAMOS-CLASON, Enrique; MAZENETT-GRANADOS, Enrique; HERRERA-MALAMBO, Diego; GÓMEZ-CAMARGO, Doris. Frecuencia de enfermedades huérfanas en Cartagena de Indias, Colombia. *Revista Salud Pública*. 18 (6): 858-870, 2016.
- MAJONE, Giandomenico. Temporal Consistency and Policy Credibility: Why Democracies Need Non-Majoritarian Institutions. European University Institute, Working Paper RSC No 96/57, 1996.
- MARQUES, S. B.; DELDUQUE, M. C.. A Judicialização da política de assistência farmacêutica no Distrito Federal: diálogos entre a política e o direito. *Revista Tempus Actas de Saúde Coletiva*, 2009.
- MANRÍQUEZ, Francisca Andrea B. Participación de agrupaciones de pacientes en la toma de decisiones en el contexto de la Ley Ricarte Soto. Profesor(a) Guía: Margarita Bernal Silva. Tesis presentada a la Escuela de Psicología de la Pontificia Universidad Católica de Chile para optar al grado académico de Magíster en Psicología de la Salud, 2018.
- MEDEIROS, Marcelo; DINIZ, Debora; SCHWARTZ, Ida Vanessa Doederlein. A tese da judicialização da saúde pelas elites: os medicamentos para mucopolissacaridose. *Ciência e Saúde Coletiva*, Rio de Janeiro, v. 18, n. 4, p. 1079-1088, 2013.
- MÉCHIN, Hubert. Évaluation des essais cliniques: Intégration des perspectives du marché dans la stratégie de conduite de l'essai clinique. In: LAUDE, Anne. TABUTEAU, Didier. *Essais Cliniques, quels risques?* Paris: Presses Universitaires de France, 2007.
- MELO, DG; GERMANO, CMR; PORCIÚNCULA, CGG; PAIVA, IS; NERI, JICF, et al. Qualificação e provimento de médicos no contexto da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde (SUS). *Interface (Botucatu)*. 2017; 21(Supl.1):1205-16.
- MERTON, Robert K. The Institutional Imperatives of Science. In: *Penguin modern sociology Readings. Sociology of Science*. Ed. Barry Barnes. Reino Unido, Middlesex: Penguin Books Ltd., 1972.
- MERHY, Emerson Elias. Gestão da produção do cuidado e clínica do corpo sem órgãos: novos componentes dos processos de produção do cuidado em saúde. Disponível em: <http://www.uff.br/saudecoletiva/professores/merhy/artigos-25.pdf> Acesso em: 22/07/2018.
- MIZIARA, Nathália Molleis. COUTINHO, Diogo Rosenthal. Problemas na política regulatória do mercado de medicamentos. *Rev. Saúde Pública* 2015;49;35.
- MIKAMI, Koichi. Orphans in the Market: The History of Orphan Drug Policy. In: *Social History of Medicine*. Vol. 0, nº 0, pp. 1-22.
- MORAES, Claudia. Escolhas Perigosas: "Com a judicialização da saúde, Estado age como um Robin Hood ao contrário". *Consultor Jurídico – CONJUR*. Disponível em: <https://www.conjur.com.br/2016-out-23/entrevista-elival-silva-ramos-procurador-geral-sao-paulo> Acesso em: 05/04/2019.
- NERLING, Marcelo Arno. O processo administrativo na cidade constitucional: Direitos fundamentais e garantia de organização da Administração Pública. Tese de Doutorado apresentada ao Programa de Estudos Pós-Graduados em Direito da PUC-SP, 2003. Orientação: Prof. Dr. Willis Santiago Guerra Filho.

- NESSON, Charles. & DEMERS, John. Gatekeeping: An Enhanced Foundational Approach to Determining the Admissibility of Scientific Evidence. In: Hastings Law Journal, Vol. 49. pp. 335-341, 1998.
- NICOD, Elena; KANAVOS, Panos. Scientific and social value judgments for orphan drugs in health technology assessment. Reino Unido: International Journal of Technology Assessment in Health Care, 32:4 (2016), 218–232.
- NOVOA, Fernando S.; CABELLO, Juan Francisco A. Ética de la equidad y justicia en el acceso al diagnóstico, tratamiento y rehabilitación de los pacientes con enfermedades raras. Revista Medica Clínica Las Condes - 2015; 26(4) 527-532
- NUNES, João Arriscado. “Saúde, direito à saúde e justiça sanitária”. In: Revista Crítica de Ciências Sociais [Online], 87 | 2009, colocado online no dia 15 Outubro 2012, criado a 30 Setembro 2016. URL : <http://rccs.revues.org/1588> ; DOI : 10.4000/rccs.1588
- NUNES, João Arriscado. MATIAS, Marisa. As organizações de pacientes como atores emergentes no espaço da saúde: o caso de Portugal. In: RECIIS – R. Eletr. de Com. Inf. Inov. Saúde. Rio de Janeiro, v.1, n.1, p.107-110, jan.-jun., 2007.
- OLIVEIRA, Cláudio Roberto Cordovil.
 ____Judicialização: o império das meias verdades. Disponível em: <http://academiadepacientes.com.br/2017/12/01/judicializacao-o-imperio-das-meias-verdades/> Acessado em: 17/01/2019.
- ____Doente raro, fuja da Medicina Baseada em Evidências (MBE)! Disponível em: <http://academiadepacientes.com.br/2017/09/02/doente-raro-fuja-da-medicina-baseada-em-evidencias-mbe/> Acessado em: 17/01/2019.
- OLIVEIRA, Cláudio Roberto Cordovil. MELAMED, Clarice. MACHADO, Rejane. Políticas da Expertise: doenças raras e gestão das tecnologias em saúde pelo SUS. Revista Brasileira de Ciência, Tecnologia e Sociedade, v. 2, n.2, p.150-186, jul./dez.2011.
- OLIVEIRA, Cláudio Roberto Cordovil. GUIMARÃES, Maria Cristina Soares. MACHADO, Rejane. Doenças raras como categoria de classificação emergente: o caso brasileiro. DataGramaZero Revista de Informação v. 13 n.1 fev/12.
- OLIVEIRA, Patrícia de Almeida e. Avaliação de Tecnologias em Saúde como Instrumento para Garantia dos Direitos Humanos. Dissertação apresentada ao Programa de Pós-Graduação Stricto Sensu da Faculdade de Direito da USP. Orientação Sueli Gandolfi Dallari. São Paulo, 2012.
- OLIVEIRA, Vanessa Elias de; NORONHA, Lincoln N. Judiciary-Executive relations in Policy Making: the Case of Drug Distribution in the State of São Paulo. Brazilian Political Science Review. (2011) 5 (2).
- OYOLA-GARCÍA A, LITUMA-AGUIRRE D, HONORIO-MORALES H; Comisión Sectorial Enfermedades Raras o Huérfanas. Financiamiento de enfermedades raras o huérfanas. Rev. Peru Med Exp Salud Publica. 2014;31(4):808-9.
- PEDONE, Luiz. Formulação, implementação e avaliação de políticas públicas. Brasília: Fundação Centro de Formação do Servidor Público – FUNCEP, 1986.
- PAREJO, Luciano Alfonso. Transformación y ¿reforma? del Derecho Administrativo en España. In: Innovación y Reforma en el Derecho Administrativo 2.0. Ed. Javier Barnes. Sevilla: Global Law Press-Editorial Derecho Global, 2012.
- PEREIRA DA SILVA, Vasco Manuel Pascoal Dias. Em busca do acto administrativo perdido. Reimp. Coimbra: Edições Almedina, 2016.
- PEREIRA, José Gilberto; PEPE, Vera Lúcia Edais. Acesso a medicamentos por via judicial no Paraná: aplicação de um modelo metodológico para análise e monitoramento das demandas judiciais. Rev. Direito Sanitário. São Paulo, v. 15, n. 2, p. 30-45, 2014.

PEREIRA, Januária Ramos et al. 2010. Situation of lawsuits concerning the access to medical products by the Health Department of Santa Catarina State, Brazil, during the years 2003 and 2004. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 15, no. 3, p. 3.551-3.560.

PETRYNA, Adriana.

Biological Citizenship: The Science and Politics of Chernobyl-Exposed Populations. *Osiris*, Vol. 19, 2004, pp. 250-265.

_____. Experimentalidade: Ciência, Capital e Poder no Mundo dos Ensaio Clínicos. *Horizontes Antropológicos*. Porto Alegre, ano 17. N. 35. P. 127-160, jan./jun., 2011.

PIERO, Sergio de. Organizaciones de la sociedad civil: tensiones de una agenda en construcción. 1ª ed. 1ª reimp. Buenos Aires: Paidós, 2005.

PICAVET, Eline. CASSIMAN, David. SIMOENS, Steven. Evaluating and improving orphan drug regulations in Europe: A Delphi policy study. In: Volume 108, Issue 1, November 2012 (pp. 1-9).

PIGNARRE, Phillipe; STENGERS, Isabelle. *Capitalist Sorcery: breaking the sepll*. Trad. Andrew Goffey. Londres: Palgrave Macmillan, 2011.

PIGNARRE, Philippe.

_____. El gran secreto de la industria farmacéutica. Trad. Irene Agoff. Barcelona: Editorial Gedisa, 2005.

_____. O que é o medicamento?: um objeto estranho entre ciência, mercado e sociedade. Trad. Paulo Neves. São Paulo: Ed. 34, 1999.

PMF Pharma. El fármaco más caro del mundo es Soliris, de Alexion Pharmaceuticals. Disponível em: <http://www.pmfarma.es/noticias/11309-el-farmaco-mas-carro-del-mundo-es-soliris-de-alexion-pharmaceuticals.html> Acesso em: 17/02/2019.

POTTAGE, Alain. Law, Anthropology, and the Constitution of the Social: Making Persons and Things. London School of Economics and Political Science. Inglaterra: Cambridge Studies in Law and Society, 2009.

POSNER, Richard A. Regulation (Agencies) versus Litigation (Courts): An Analytical Framework. In: KESSLER, Daniel P. Regulation vs. Litigation: Perspectives from Economics and Law. Chicago, Londres: University of Chicago Press, 2011.

QUIRLAND-LAZO, Camila; CASTAÑEDA-CARDONA, C.; CHIRVECHES CALVACHE, MA; AROCA, AI; OTÁLORA-ESTEBAN, M; ROSSELLI, D. Modelos de atención en salud en enfermedades raras: revisión sistemática de la literatura. *Revista Gerenc Polít Salud*. 2018; 17(34): 1-7. https://doi.org/10.11144/Javeriana.rgp_s17-34.mase

QUIRLAND-LAZO C; PAREDES FERNANDEZ D; LENZ ALCAYAGA R. Limitaciones de las evaluaciones económicas en salud en la asignación de recursos para medicamentos para enfermedades raras: un scoping review. *Value in Health* 20 (2017) A853–A943.

RABINOW, Paul. “Artificiality and Enlighrenment: From Sociobiology to Biosociality”. In: *Zone 6: Incorporations*. J. Crary, Sanford Kwinter (eds.). New York: Zone Publications, 1992.

RABEHARISOA, Vololona. CALLON, Michel. FILIPE, Angela Marques NUNES, João Arriscado. PATERSON, Florence. VERGNAUD, Frédéric. From ‘politics of numbers’ to ‘politics of singularisation’: Patients’ activism and engagement in research on rare diseases in France and Portugal. In: *BioSocieties*. Vol. 9, 2, 194-217, 2014.

RABEHARISOA, Vololona; CALLON, Michel.

_____. Le pouvoir des malades. L’Association française contre les myopathies et la Recherche. Paris: Press des Mines, 1999.

_____. Research “in the wild” and the shaping of new social identities. In: *Tehnology in Society* 25 (2003) 193-204.

RABEHARISOA, Vololona.

_____. The struggle against neuromuscular diseases in France and the emergence of the “partnership model” of patient organization. In: *Social Science & Medicine* 57 (2003).

_____. From representation to mediation: The shaping of collective mobilization on muscular dystrophy in France. *Social Science & Medicine* 62 (2006).

RABEHARISOA, Vololona. MOREIRA, TIAGO. AKRICH, Madeleine. Evidence-based activism: Patients’ organisations, users’ and activist’s groups in knowledge society. *Papiers de Recherche du CSI. Centre de Sociologie de L’Innovation*, N. 033, 2013.

RAJAN, Kaushik Sunder. Two Tales of Genomics: Capital, Epistemology, and Global Constitutions of the Biomedical Subject. In: JASANOFF, Sheila. *Reframing Rights: Bioconstitucionalism in the Genetic Age*. Cambridge: The MIT Press, pp. 193-216, 2011.

RIGAL, Loïc. Le droit des médicaments orphelins en Europe. Thèse de doctorat de droit public. Dirigée par le Pr. Nicolas Mathey et e Pr Jérôme Peigné. Paris: Université Paris Descartes. École doctorale Sciences juridiques, politique, économiques et de gestion, 2017.

RIVIÈRE, Philippe. Bajo el sol de “Big Pharma”. Histórias de corrupção común. In: Selección de artículos de *Le Monde Diplomatique*. Medicamentos: derecho o mercancía? Salud y comercio, laboratorios, patentes farmacêuticas y multinacionales. Santiago de Chile: Editorial Aún Creemos en los Sueños, 2006.

RODRÍGUEZ-GARAVITO, César. “Beyond the Courtroom: the impact of judicial activism on socioeconomic rights in Latin America”, *Texas Law Review*, 2011. Disponível em: www.texasrev.com/wp-content/uploads/Rodriguez-Garavito-89-TLR-1669.pdf

ROSE-ACKERMAN, Susan. The Economics of Corruption. *Journal of Public Economics* 4 (1975) 187-203.

ROSE, Nikolas & NOVAS, Carlos. Biological citizenship. In: ONG, Aihwa; COLLIER & Stephen J. (eds.) *Global Assemblages: Technology, Politics, and Ethics as Anthropological Problems*. Reino Unido: Blackwell Publishing, Oxford, 2004.

ROMERO, Luiz Carlos, Judicialização das políticas de assistência farmacêutica: o caso do distrito federal. Brasília: Consultoria Legislativa do Senado Federal, 2008.

SABATIER, Paul A. *Theories of the policy process*. California: Westview Press, 2007.

SANT'ANA, Ramiro Nóbrega. A judicialização como instrumento de acesso à saúde: propostas de enfrentamento da injustiça na saúde pública. 2017. 455 f. Tese [Doutorado] - Instituto CEUB de Pesquisa e Desenvolvimento, Centro Universitário de Brasília, Brasília, 2017.

SANTANA, Rafael Santos; LUPATINI, Evandro de Oliveira; LEITE, Silvana Nair. Registro e incorporação de tecnologias no SUS: barreiras de acesso a medicamentos para doenças da pobreza? *Ciência & Saúde Coletiva*, 22(5):1417-1428, 2017.

SANTOS, Boaventura de Sousa.

_____. Um discurso sobre as ciências. 7ª Ed. Porto: Edições Afrontamento, 1995.

_____. Para um novo senso comum: a ciência, o direito e a política na transição paradigmática. 3ª Ed. São Paulo: Cortez, 2001a.

_____. El Estado y el derecho en la transición pós-moderna: por un nuevo sentido común sobre el poder y el derecho. In: COURTIS, Christian. *Desde otra mirada: textos de teoría crítica del Derecho*. Buenos Aires: Editorial Universitaria de Buenos Aires, 2001b.

SANTOS, Carla Carlos. Gonçalves, Silmara. Análise descritiva de mandados judiciais impetrados contra a Secretaria de Saúde do Distrito Federal para fornecimento de

- medicamentos [Monografia]. Brasília: Curso de Especialização em Gestão de Instituições de Saúde, Fundação de Ensino e Pesquisa em Ciências da Saúde, 2006.
- SARLET, Ingo Wolfgang. A eficácia dos direitos fundamentais 8. Ed. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2007.
- SCHAUER, Frederick. Internet Privacy and the Public-Private Distinction. *Jurimetrics*, Vol. 38 (pp. 555- 564), 1998.
- SCHUBERT, Jörg, et al. Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH). DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie e.V., 2012.
- SCHULZE, Clenio Jair. O papel do Conselho Nacional de Justiça na judicialização da saúde. In: Para Entender a Gestão do SUS – 2015. Disponível em: http://www.conass.org.br/biblioteca/pdf/colecao2015/CONASS-DIREITO_A_SAUDE-ART_10B.pdf Acesso em: 22/01/2019.
- SILVA, AS. MEGA, Pires. RABELO, T. Consulta Pública como instrumento de diálogo e negociação entre indústria e governo. *Value in Health* 20 (2017) A853–A943.
- SHAVELL, Steven. A Model of the Optimal Use of Liability and Safety Regulation. *The RAND Journal of Economics*, Vol. 15, No. 2 (Summer, 1984), pp. 271-280.
- SOARES, Jussara Calmon Reis de Souza; DEPRÁ, Aline Scaramussa. Ligações perigosas: indústria farmacêutica, associações de pacientes e as batalhas judiciais por acesso a medicamentos. *Physis Revista de Saúde Coletiva*, Rio de Janeiro, 22 [1]: 311-329, 2012.
- SOCIAL SCIENCE & MEDICINE, Vol. 62. Introduction: Patient organization movements and new metamorphoses in patienthood. Editorial, 2006.
- STUWE, Louisa. Judicialization of on-list medicines in Brazilian municipalities: Examining inadequacies of the Brazilian National Health System's pharmaceutical assistance program. Paris: École des Hautes Études en Santé Publique, 2012.
- STENGERS, Isabelle.
- _____. Including Nonhumans in Political Theory: Opening the Pandora's Box? In: *Political Matter: Technoscience, Democracy, and Public Life*. – Braun, Bruce; Whatmore, Sarah J. (eds). Minneapolis, London: University of Minnesota Press, 2010.
- _____. No tempo das catástrofes – resistir à barbárie que se aproxima. São Paulo: Cosac Naify, 2015.
- _____. The Cosmopolitical Proposal. In: *Making Things Public: Atmospheres of Democracy*, pp. 994-1003. Ed. Bruno Latour et. al. Cambridge: MIT Press, 2005.
- SUNSTEIN, Cass R.
- _____. Paradoxes of the Regulatory State. *The University of Chicago Law Review*, vol. 57:407, 1990.
- _____. The Partial Constitution. Estados Unidos: Harvard University Press, 1993.
- _____. (más) SIMPLE: El futuro del gobierno. Trad. Guillermo Frutos y Javier Frutos. Madrid, Barcelona, Buenos Aires, São Paulo: Marcel Pons, 2014.
- TABUTEAU, Didier. Éditorial. *Les tribunes de la santé* n. 39. Dossier Le lobbying, 2013.
- TARUFFO, Michele.
- _____. Conocimiento científico y estándares de prueba judicial. En: *Boletín Mexicano de Derecho Comparado*, nueva serie año XXXVIII, n.º 114, p. 1297, 2005.
- _____. La función epistémica de la prueba. In: Mosmann, M. Victoria – Panigadi, Mariela (coordinadoras) “Problemática de la prueba”. Buenos Aires: Ed. Astrea, 2018
- TESTA, Giuseppe. More than Just a Nucleus: Cloning and the Alignment of Scientific and Political Rationalities. In: JASANOFF, Sheila. *Reframing Rights: Bioconstitucionalism in the Genetic Age*. Cambridge: The MIT Press, pp. 85-104, 2011.

- THAMER, Mae; BRENNAN, Niall; SEMANSKY, Rafael. A Cross-National Comparison of Orphan Drug Policies: Implications for the U.S. Orphan Drug Act. Duke University Press: Journal of Health Politics, Policy and Law, Vol. 23, No. 2, April 1998.
- THORNHILL, Chris. Niklas Luhmann y la sociología de la constitución. In: Niklas Luhmann y el legado universalista de su teoría. Aportes para el análisis de la complejidad social contemporánea. Ed. Hugo Cadenas, Aldo Mascareño y Anahí Urquiza, pp. 119-151. Santiago de Chile: RIL editores, 2012.
- TRUBEK, David M.; GALANTER, Marc. Acadêmicos Auto-Alienados: reflexões sobre a crise norte-americana da disciplina “Direito e Desenvolvimento” (1974). In: Revista Direito GV.V. 3 N. 2 | P. 261 - 304 | JUL-DEZ 2007.
- TUSHNET, Mark. The Possibilities of Comparative Constitutional Law. The Yale Law Journal, Vol. 108. p. 1225-1309, 1999.
- UNGER, Roberto Mangabeira. Saúde: questão de consciência. Folha de São Paulo. São Paulo, domingo, 24 de janeiro de 2010. Disponível em: <https://www1.folha.uol.com.br/fsp/opiniaofz2401201009.htm> Acesso em: 04/02/2019.
- VALENZUELA, Hernan Cuevas; MAYRHOFER, Michaela Th. The sick as biological citizens? How patient-user organizations reconfigure the field of health and illness. Österreichische Zeitschrift für Politikwissenschaft 42 (3) : 311-327, 2013.
- VARGAS, Mateus. JOTA: Após judicializações, ministério publicará editais para compra de medicamentos: Decisão ocorre em meio a imbróglis para compra de mais de R\$ 100 milhões em drogas para doenças raras. Disponível em: https://www.jota.info/paywall?redirect_to=//www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/apos-judicializacoes-ministerio-publicara-editais-para-compra-de-medicamentos-07032018 Acesso em: 04/02/2019.
- VIEIRA, Fabiola Sulpino; ZUCCHI, Paola. 2007. Distorções causadas pelas ações judiciais à política de medicamentos no Brasil. Revista de Saúde Pública, São Paulo, v. 41, n. 2, p. 214-222.
- VENTURA, Nubia Regina. O direito à saúde e a priorização da tutela coletiva. Dissertação de Mestrado. Orientador: Professor Dr. Camilo Zulefatto. Universidade de São Paulo. Faculdade de Direito, 2016.
- VENTURA, Miriam; SIMAS, Luciana; PEPE, Vera Lúcia Edais and SCHRAMM, Fermin Roland. Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde. Physis [online]. 2010, vol.20, n.1, pp.77-100. ISSN 0103-7331. <http://dx.doi.org/10.1590/S0103-73312010000100006>.
- VELÁSQUEZ, German. Medicamentos: ¿derecho o mercancía? In: Le Monde Diplomatique. Santiago: La editorial Aún Creemos en los Sueños, 2006. (pp. 15-25)
- VEGTER, Stefan. ROZENBAUM, Mark H. POSTEMA, Roelien. TOLLEY, Keith. POSTMA, Maarten J. Review of Regulatory Recommendations for Orphan Drug Submissions in the Netherlands and Scotland: Focus on the Underlying Pharmacoeconomic Evaluations. In: Clinical Therapeutics/Volume 32, Number 9, 2010.
- VERMEULE, Adrian. La Abdicación del Derecho. Del imperio del Derecho al Estado administrativo. Trad. Luciano Parejo Alfonso. Valencia: Editorial Tirant lo Blanch, 2018.
- VIEIRA, Fabiola Sulpino. Evolução do Gasto com Medicamentos do Sistema Único de Saúde no Período de 2010 a 2016. Texto para Discussão 2356. Instituto de Pesquisa Econômica Aplicada – Ipea. Rio de Janeiro: Ipea, 2018.
- WANG, Daniel Wei Liang; FERRAZ, Octavio Luiz Motta. Atendendo os mais necessitados? Acesso à justiça e o papel dos Defensores e Promotores Públicos no litígio sobre direito à saúde na cidade de São Paulo. In: SUR – Revista Internacional de Direitos Humanos. Jun./2013. 18 ed. (167-189)

WEBER, Max. Economia e sociedade: fundamentos da sociologia compreensiva / Max Weber; tradução de Regis Barbosa e Karen Elsabe Barbosa; Rev. Téc. de Gabriel Cohn - Brasília, DF: Editora Universidade de Brasília: São Paulo: Imprensa Oficial do Estado de São Paulo, 1999.

WELLMAN-LABADIE, Olivier. ZHOU, Youwen. The US Orphan Drug Act: Rare disease research stimulator or commercial opportunity? In: Health Policy 95, 2010.

YIN, Robert K. Estudo de caso: planejamento e métodos. Trad. Daniel Grassi. 2a ed. Porto Alegre: Bookman, 2001.

YUBA, Tania Yuka. NOVAES, Hillegonda Maria Dutilh. SOÁREZ, Patrícia Coelho de. "Challenges to decision-making processes in the national HTA agency in Brazil: operational procedures, evidence use and recommendations." In: Health Research Policy and Systems. 16:40. <https://doi.org/10.1186/s12961-018-0319-8>, 2018