

Política nacional para pessoas com doenças raras: desafios de implementação e incorporação de tecnologias no SUS – Sistema Único de Saúde

National policy for rare diseases: challenges on implementation and Health Technology Assessment in the Brazilian Unified Health System (SUS)

Marcela Simões¹, Fernanda Lessa², Maria José Delgado Fagundes³

Palavras-chave:

Avaliação de Tecnologias em Saúde, doenças raras, política de saúde, drogas órfãs

Keywords:

Health Technology Assessment, rare diseases, health policy, orphan drugs

RESUMO

A recente publicação da “Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS)”, publicadas via Portaria 199/2014, tem se demonstrado, para todos os atores envolvidos no processo político de agenda, formulação, implementação e, por hora, monitoramento, um avanço importante em direção a um sistema de saúde cada vez mais igualitário e para todos os brasileiros. Contudo, é possível debater sobre algumas questões estruturais relativas ao processo de implementação desta política, principalmente, no que concerne à incorporação de tecnologias no SUS, o impacto, sobretudo, orçamentário a ser gerado no sistema e os desafios de acesso impostos aos pacientes e seus cuidadores. Sendo assim, o objetivo deste artigo é explicitar e discutir o cenário das doenças raras no Brasil - principalmente após à publicação da Política Nacional dedicada a este tema - e no mundo, sob a ótica da Avaliação de Tecnologias em Saúde, destacando os entraves desse processo perante a necessidade de incorporação de tratamentos específicos para essas doenças no Sistema Único de Saúde brasileiro.

ABSTRACT

The recent publication of the “National Policy on Comprehensive Care for People with Rare Diseases and the Guidelines for Comprehensive Care for People with Rare Diseases within the National Health System”, published via Ordinance 199/2014, has been demonstrated for all actors involved in the political process scheduling, design, implementation, and actually, monitoring, an important advance toward a health care system will be increasingly egalitarian and for all Brazilians. However, it is possible to discuss some structural issues relating to the implementation of this policy process, especially regarding the incorporation of technology in the NHS, the impact, especially the budget to be generated in the system and access challenges imposed on patients and their caregivers. Thus, the aim of this paper is to explain and discuss the scenario of rare diseases in Brazil - especially after the publication of the National Policy on this topic - and the world from the perspective of Health Technology Assessment, highlighting the process obstacles given the need to incorporate specific treatments for these diseases in the Brazilian Unified Health System.

Recebido em: 11/11/2014 – Aprovado para publicação em: 21/11/2014

1. Graduada em Gestão de Políticas Públicas pela Universidade de São Paulo (USP) e especialista em Gestão e Economia da Saúde pela Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP). Atualmente é analista de Acesso e Inovação na Interfarma. 2. Farmacêutica, Mestre em Economia e Gestão em Saúde/ Especialista em estudos farmacoeconômicos e de economia da saúde. É professora e pesquisadora do Grupo Interdepartamental de Economia da Saúde – GRIDES/UNIFESP. 3. Advogada e Especialista em Saúde Pública, Direito Privado e Bioética. Foi gerente Geral de Monitoração e Fiscalização de Propaganda, Publicidade, Promoção e Informação de Produtos Sujeitos a Vigilância Sanitária (GGPRO/ANVISA) e membro do *Ad Hoc Expert Group* em Marketing de Alimentos e Bebidas não alcoólicas para crianças da Organização Mundial da Saúde (OMS). Hoje é Diretora da Interfarma (Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa) e professora do curso de Gestão Industrial Farmacêutica e de Assuntos Regulatórios do IPOG.

Instituição onde o trabalho foi executado: UNIFESP, Universidade Federal de São Paulo, GRIDES – Grupo interdepartamental de Economia da Saúde, São Paulo, SP, Brasil.

Conflitos de interesse: Não há conflitos de interesse a serem declarados

Autor correspondente: Marcela Simões, Rua Verbo Divino, 1488 – 7º andar – cj. 7A, Chácara Santo Antônio, São Paulo, SP, CEP: 04719-904 – Tel: 55 11 5180-3490 - E-mail: marcela.simoes@interfarma.org.br

Esse artigo de opinião é parte do trabalho de conclusão do MBA em Gestão e Economia da Saúde da aluna Marcela Simões. O tema deste trabalho foi submetido e aprovado pelo Conselho de Ética e Pesquisa (CEP) da UNIFESP - Universidade Federal de São Paulo.

Introdução

Nas últimas décadas, uma crescente demanda científica, social e política na área da saúde tem eclodido, em busca de métodos mais eficazes de prevenir, diagnosticar e tratar doenças. (Brasil, Ministério da Saúde, 2008).

Sendo assim, erigir-se o benefício conferido está em proporção com o custo que adiciona, é uma questão central para uma tomada de decisão racional, principalmente quando falamos de recursos públicos ligados à saúde, onde as escolhas são feitas todos os dias e os recursos são escassos e finitos, quer seja em termos humanos, de tempo, financeiros, físicos ou estruturais.

Essa situação se agrava quando o debate gira em torno de doenças de baixa prevalência no mundo todo, as chamadas doenças raras, o que, no cenário das indústrias, dificulta e encarece muito o processo de pesquisa e produção de novas tecnologias e tratamentos; e, do lado governamental, aumenta a dificuldade em escolher entre a melhor utilização dos recursos públicos e os melhores resultados para a saúde dos pacientes (Interfarma, 2013).

É possível justificar a importância desse debate ao destacar que não existe no mundo, tratamento efetivo e seguro para muitas das doenças raras e para aquelas em que o tratamento é existente, diversas barreiras dificultam o acesso dos pacientes aos medicamentos órfãos, aqueles específicos para o tratamento da doença.

Diante dessas questões, o objetivo deste artigo é explicitar e discutir o cenário das doenças raras no Brasil - principalmente após a publicação da Política Nacional dedicada a este tema - e no mundo, sob a ótica da Avaliação de Tecnologias em Saúde, destacando os entraves desse processo perante a necessidade de incorporação de tratamentos específicos para essas doenças no Sistema Único de Saúde brasileiro.

Acesso a serviços de saúde e novas tecnologias

A universalização do acesso à saúde, como direito social fundamental para a promoção do bem-estar e melhoria da qualidade de vida da população, tem sido uma relíquia cada vez mais buscada na sociedade atual, tendo em vista o encarecimento das intervenções em saúde e a observação de significativas disparidades socioeconômicas. (Aith *et al.*, 2014).

Segundo Campino e Sarti, 2010 (Campino e Sarti, 2010 *apud* Nita *et al.*, 2010), por um lado, o reconhecimento do direito à saúde, como direito social fundamental, constitui uma evolução das políticas públicas nacionais, contribuindo para a melhoria das condições de vida da população. Por outro, contribui para a identificação de novos papéis de atuação do Estado no campo da saúde: prevenir, tratar, prover, entre outros, que passam a compor o rol de obrigações do Governo, cujos custos são pouco a pouco integrados ao sistema de saúde brasileiro.

A associação dos pontos descritos acima dá resultado a um processo, não só brasileiro, mas mundial, de aceleração dos gastos públicos e privados em saúde. É importante ressaltar que esses custos não são somente relativos à incorporação de novas tecnologias, mas explicam-se também no empenho ético de estender a cobertura a segmentos ainda desassistidos e reduzir as desigualdades de acesso. (Barros *et al.*, 1996)

Isso torna a busca pela racionalização dos gastos em saúde uma questão essencial aos governos democráticos e formuladores de políticas públicas, onde a decisão do gestor girará, não somente em garantir a universalidade, integralidade e equidade do sistema de saúde, mas também e, principalmente, em torno de como alocar recursos escassos entre diferentes demandas em saúde e quais metodologias utilizar ao analisar diferentes desfechos em saúde existentes, prezando conjugar eficiência, eficácia e efetividade para a redução de perdas em saúde pública.

Cenário das doenças raras no Brasil

Souza, 2006 aponta que decisões e análises sobre política pública implicam em responder às seguintes questões estruturais: quem ganha o quê, por quê e que diferença faz para os cidadãos.

As formulações de políticas públicas específicas para as Doenças Raras, não só no Brasil, como no mundo, é um movimento bastante moderno que, sem dúvida alguma, deve-se, em grande parte, à atuação social efetiva dos pacientes e seus cuidadores.

No Brasil, esse movimento gerou, de forma bastante pluralista e com participação social, a publicação da Portaria Nº 199, de 30 de Janeiro de 2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde (SUS).

Conceitos de doenças raras e drogas órfãs e a política nacional

Doenças raras

O conceito de doença rara não é unânime no mundo. Em comum, entre todos os conceitos existentes, existe apenas a definição de que pertencem ao grupo das doenças de difícil diagnóstico e que afetam uma pequena parcela da população (Interfarma, 2013).

As doenças raras são caracterizadas por serem crônicas, progressivas, degenerativas, incapacitantes e que necessitam de um tratamento contínuo (Boy e Schramm, 2009). Essas condições afetam a qualidade de vida dos portadores da doença e de seus familiares/cuidadores, que acabam se tornando social, econômica e psicologicamente vulneráveis, principalmente por enfrentarem a falta de um tratamento adequado e preconceitos (Souza *et al.*, 2007).

Segundo dados da Associação das Indústrias Farmacêuticas de Pesquisa – Interfarma, 75% das doenças raras se manifestam no início da vida e afetam, sobretudo, crianças de 0 a 5 anos, contribuindo ainda, de forma significativa, para a morbimortalidade nos primeiros 18 anos de vida (Interfarma, 2013).

São caracterizadas por uma ampla diversidade de sinais e sintomas, que variam não só de doença para doença, mas também de pessoa para pessoa na mesma condição. Além disso, manifestações relativamente frequentes podem simular doenças comuns, o que dificulta o diagnóstico preciso e eleva o sofrimento clínico e psicossocial do paciente (Interfarma, 2013).

É importante destacar que 95% das doenças raras não possuem tratamento e demandam serviços especializados de reabilitação que promovam a melhoria da qualidade de vida dos pacientes. Isso porque somente 2% das doenças raras podem se beneficiar de medicamentos órfãos capazes de interferir na evolução da doença. Outros 3% contam com tratamentos já estabelecidos para as doenças “comuns” ou prevalentes, que ajudam a atenuar os sintomas (Interfarma, 2013).

Quanto ao perfil epidemiológico, analisando os vários conceitos adotados no mundo, é possível situar as doenças raras na faixa daquelas que possuem prevalência máxima variável de 0,5 a 7 pessoas por 10.000 habitantes (Interfarma, 2013).

O Brasil, após a publicação da Portaria Nº 199, considera doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos ou 6,5 pessoas para cada 10.000 habitantes.

Segundo dados mundiais da Organização Mundial da Saúde – OMS, entre 6% e 8% aproximadamente da população mundial sofrem com alguma doença rara. Isso equivale a aproximadamente 420 a 560 milhões de pessoas. No Brasil, 13 milhões de pessoas são estimadas com doença rara (Interfarma, 2013).

Outra abordagem relevante ao discutir doenças raras é que até o início dos anos 80, os pacientes com doenças raras não faziam parte da agenda das autoridades governamentais e da indústria farmacêutica e que a atuação de organizações de pacientes e movimentos sociais ao redor do mundo, inclusive no Brasil, não apenas deu voz às necessidades dessas pessoas, como contribuiu para que as doenças raras passassem a ser consideradas um problema de saúde pública (Interfarma, 2013).

Drogas órfãs

Segundo a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) um medicamento é “um produto farmacêutico, tecnicamente obtido com finalidades profiláticas, curativas, paliativas ou para fins de diagnóstico” (ANVISA, 2003). Pode-se dizer, portanto, que é aquele produto destinado à prevenção, tratamento e controle dos sintomas de determinadas doenças.

Segundo Ekdon (2006), a produção de um medicamento deve necessariamente atender as três premissas básicas: ser produzido de uma forma que possibilite sua utilização, atender a uma necessidade terapêutica e ser lucrativo do ponto de vista econômico.

O conceito de droga órfã, assim como o de doença rara, não é unânime. As duas melhores definições para fins desse trabalho são as descritas por Wiest (2010) e pela Eurordis (2014).

Segundo Wiest (2010), “O primeiro estabelece que esta designação será atribuída ao fármaco utilizado para o diagnóstico, prevenção e tratamento de uma debilidade crônica que necessita de acompanhamento contínuo e que atinge menos de 5 a cada 10.000 pessoas. O segundo critério declara que será considerada órfã a droga utilizada para diagnosticar, prevenir e tratar doenças debilitantes, graves e crônicas que não possuem incentivos específicos para serem produzidas por não apresentarem retorno financeiro que justifique a sua produção por parte da indústria farmacêutica”.

A EURORDIS (2014) conceitua as drogas órfãs como “produtos médicos destinados à prevenção, diagnóstico ou tratamento de doenças muito graves ou que constituem um risco para a vida e que são raras. Estes medicamentos são designados como “órfãos” porque, em condições normais de mercado, a indústria farmacêutica tem pouco interesse no desenvolvimento e comercialização de produtos dirigidos para o pequeno número de doentes afectados por doenças muito raras”.

Wiest (2010) apresentou dados de produção de medicamentos órfãos. Entre 1967 e 1983, estimou-se que 58 novas drogas foram desenvolvidas para o tratamento das doenças raras. Já entre 1983 e 2007, período no qual entrou em vigor o *Orphan Drug Act* (ODA), a *Food and Drugs Administration* (FDA) listou 1793 produtos em fase de desenvolvimento, com a designação para esse fim e 322 medicamentos aprovados para a comercialização, proporcionando uma alternativa para o tratamento de 238 doenças diferentes.

Segundo a Interfarma, (2013), existem hoje, em fase de pesquisa e desenvolvimento no mundo todo, 480 drogas órfãs.

Política Nacional Para Doenças Raras (Portaria 199/2014)

Essa política é, sem dúvida, um grande passo do Sistema Único de Saúde (SUS) em direção à igualdade de acesso, ao acolhimento de pessoas com doenças raras, à redução de morbimortalidade e das manifestações secundárias e à melhoria da qualidade de vida de pessoas portadoras de doenças raras, por meio de ações de prevenção, diagnóstico/detecção precoce e atendimento multiprofissional e organizado de forma transversal com as redes já existentes no sistema.

Reconhece, como princípios, as pessoas com doenças raras e a necessidade de oferta de cuidado integral, garante o controle social, prevê a oferta de cuidados com ações de

habilitação/reabilitação das pessoas com doenças raras e assegura o financiamento tripartite para sua implementação.

Além disso, é uma grande oportunidade de evitar os custos elevados decorrentes da judicialização, na qual o Estado perde seu poder de barganha devido à urgência da compra determinada pela ação judicial e que, em 2013, alcançou R\$ 553 milhões, representando um crescimento de 50,32%, em relação a 2012 (Interfarma, 2013).

Entretanto, apresenta alguns desafios, muitas vezes estruturais, que podem se materializar em dificuldades para pacientes e cuidadores, no momento da implementação da política, principalmente, nos níveis estadual e municipal. Para este artigo, em especial, o tema de acesso a novas tecnologias e tratamentos medicamentosos quando existentes, foi escolhido para ser explicitado e debatido.

Para isso, os conceitos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS), incorporação de novas tecnologias no SUS e gestão em saúde precisam ser esclarecidos, como segue.

Avaliação de tecnologias em saúde e a avaliação econômica

A Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) é uma área multidisciplinar de estudos que tem como objetivo fornecer aos tomadores de decisão informações quanto ao possível impacto e consequências de uma nova tecnologia ou de mudanças em uma tecnologia estabelecida.

O papel da ATS é fornecer aos gestores uma análise hierarquizada das opções de políticas de saúde, com um entendimento das implicações econômicas, ambientais, sociais, políticas e legais para a sociedade (*Nacional Information Center On Health Services Reserch & Health Care Technology*, 1998).

Atualmente a ATS, preconizada por órgãos internacionais, é centrada no modelo da medicina baseada em evidências para coleta sistemática de informações sobre as propriedades das novas tecnologias: segurança, eficácia, efetividade e validade para diferentes cenários de prestação de serviço. Também considera uma ampla gama de atributos e os impactos micro e macro econômico, sendo o efeito da incorporação de uma nova tecnologia nos custos em saúde em nível nacional um exemplo de impacto macroeconômico. (Brasil, Ministério da Saúde, 2008)

A avaliação econômica, um dos pilares da ATS, pode ser definida como “uma ferramenta imprescindível na gestão pública de incorporação de novas tecnologias em saúde, uma vez que a alocação de recursos em uma tecnologia significa a indisponibilidade dos mesmos para outras tecnologias. Assim, cada decisão de incorporação possui um custo de oportunidade que deverá ser sistematicamente analisado por meio da avaliação econômica” (Rego, 2013).

Para o tema que está sendo debatido neste trabalho, o conceito de farmacoeconomia também precisa ser definido. Segundo Nita *et al.*, (2010), é a determinação da efi-

ciência (relação entre custo e efeitos) de um tratamento farmacológico e sua comparação com outras opções (de tratamento), a fim de selecionar a alternativa com relação custo-efeito mais favorável.

Os conceitos de avaliação econômica e de farmacoeconomia são muito próximos, porém é importante observar que a avaliação econômica não deve ser restrita à indústria farmacêutica, tampouco ao setor da saúde e a avaliação no setor saúde em geral deve buscar outros elementos além da estrita avaliação econômica (Nita *et al.*, 2010).

Gestão em saúde e a incorporação de tecnologias no SUS

A incorporação de uma nova tecnologia deve atender aos seguintes requisitos: 1) ser segura, 2) ser eficaz, 3) oferecer alguma vantagem humanística, por exemplo, melhora de qualidade de vida ou tempo de sobrevida, se comparada às tecnologias disponíveis, 4) ser eficiente no sentido econômico da palavra, ou seja, otimizar o benefício com o mínimo recurso (Nita *et al.*, 2010).

Portanto, evidências de segurança e eficácia não são suficientes para a incorporação de novas tecnologias por muitos sistemas de saúde nos países desenvolvidos, e também pelo SUS no Brasil. Assim, no gerenciamento da assistência à saúde, as análises econômicas podem fornecer informações que auxiliem na identificação da forma mais eficiente de utilização dos recursos disponíveis, porque tratam da relação entre os custos e os benefícios dos tratamentos (Campino e Sarti, 2010 *apud* Nita *et al.*, 2010).

Pode-se ainda verificar se esse gasto adicional é aceitável, considerando os parâmetros vigentes, porém, para o decisor essa informação pode não ser suficiente (Campino e Sarti, 2010 *apud* Nita *et al.*, 2010).

Nesse contexto, outros aspectos que merecem destaque são a definição de critérios em que a tecnologia deverá ser incorporada e o estabelecimento de protocolos para a efetivação da incorporação. Além disso, é preciso avaliar o impacto orçamentário do custo adicional por paciente, considerando-se o contingente da população que demandará tal tratamento (Nita *et al.*, 2010).

Dentre as análises econômicas, a de custo-efetividade é frequentemente utilizada, inclusive no Brasil. Segundo Nita *et al.*, (2010), a análise de custo-efetividade mensura o custo em unidades monetárias dividido por uma unidade natural; por exemplo, anos de sobrevida após determinada intervenção em saúde ou redução de eventos cardiovasculares. Essa análise é a melhor opção quando são comparadas duas ou mais intervenções para um mesmo desfecho em saúde.

No SUS, o órgão responsável pela incorporação de tecnologias é, atualmente, a CONITEC, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. A CONITEC, antes denominada de CITEC (Comissão para Incorporação de Tecnologias

em Saúde), foi criada com a Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011, que dispõe sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

É um órgão colegiado de caráter permanente, integrante da estrutura regimental do Ministério da Saúde. Tem por objetivo assessorar o Ministério nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração pelo SUS de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (CONITEC, 2014).

A CONITEC é vinculada à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) do Ministério da Saúde, que é responsável pela incorporação de tecnologias no SUS e assistida pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS).

Incorporação de medicamentos no Brasil e as drogas órfãs

A oferta de medicamentos órfãos pelo SUS depende da sua incorporação em um protocolo clínico que, por sua vez, depende de uma avaliação técnica e econômica de viabilidade. Porém, os critérios empregados pelo Governo para avaliar a disponibilização de medicamentos órfãos pelo sistema público – baseados em custo-efetividade – têm, na maioria dos casos, excluído os pacientes da possibilidade de obter esse tipo de tratamento, sendo que, nesses casos, que hoje são a maioria no Brasil, o processo de judicialização, onde o paciente recorre ao Poder Judiciário para obter o tratamento, é o mais comum. (Aith *et al.*, 2014)

Segundo a Interfarma, (2013), a legislação brasileira estabelece que os medicamentos destinados a doenças de baixa prevalência sejam analisados, para efeitos de incorporação no SUS, pelos mesmos parâmetros usados para os de grande prevalência. Se na teoria esses parâmetros são justificáveis para planejar e priorizar os gastos públicos, na prática têm funcionado como um enorme obstáculo para os pacientes com doenças raras. Isso porque, por se destinar a poucas pessoas e não ter seu custo de desenvolvimento diluído entre grandes grupos populacionais, os medicamentos órfãos acabam sendo mais caros que os convencionais para o Estado. Além disso, a maioria dessas drogas não conta com outro medicamento com a mesma função que permita a realização de uma análise comparativa de custo-efetividade, como determina a legislação.

Wiest (2010) também discute essa questão, relatando que a implicação de se utilizar a mesma forma de avaliação para o caso das doenças raras é que, uma vez desenvolvido o tratamento e verificada a sua eficácia, será extremamente difícil avaliar a sua efetividade, já que a maioria destes medicamentos não consegue transpor de forma plena a fase experimental. Isto ocorre devido a população de pacientes ser extremamente restrita, dificultando a realização de testes

seguros de efetividade, o que causa uma demora considerável na autorização do medicamento para comercialização.

Política pública eficiente: debate sobre protocolos clínicos e impacto orçamentário

Protocolos clínicos e a CP nº 20

Existem determinadas ferramentas utilizadas pelo Ministério da Saúde que tendem a limitar o crescimento abrupto de suas despesas. Uma delas está relacionada aos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT's), que definem a doença, sua prevalência no Brasil, tratamentos disponíveis no mercado e no sistema público, entre outros.

Esses PCDT's, no caso das doenças raras, acabam por definir parâmetros para identificar os pacientes elegíveis ao uso das drogas órfãs, entretanto, segundo Fagundes, (2014), informações do Ministério da Saúde em 2011 apontavam 26 protocolos clínicos para tratamentos medicamentosos ligados às doenças raras no âmbito do SUS, o que ofereceria, através do sistema, 45 medicamentos aos pacientes.

Mais recentemente, na Consulta Pública nº 20, publicada em 09 de Setembro de 2014 e que propõe a "Priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras", a Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos e Secretaria de Atenção à Saúde do Ministério da Saúde, foi informado o levantamento de 35 PCDT's em doenças raras, sendo elas:

- Acromegalia
- Anemia Aplástica
- Angioedema Hereditário
- Aplasia Pura Adquirida Crônica da Série Vermelha
- Artrite Reativa – Doença de Reiter
- Artrite Reumatoide
- Deficiência da Biotinidase
- Deficiência de Hormônio do Crescimento – Hipopituitarismo
- Dermatomiosite e Polimiosite
- Diabetes Insípido
- Distonias Focais e Espasmo Hemifacial
- Doença de Crohn
- Doença de Gaucher
- Doença de Paget – Osteíte deformante
- Doença de Wilson
- Doença Falciforme (que em algumas regiões é rara)
- Esclerose Lateral Amiotrófica
- Espongilite Ancilosante
- Fenilcetonúria
- Fibrose Cística

- Hiperplasia Adrenal Congênita
- Hipoparatiroidismo
- Hipotireoidismo Congênito
- Ictioses Hereditárias
- Imunodeficiências Primárias com Deficiência de Anticorpos
- Insuficiência Adrenal Primária (Doença de Addison)
- Insuficiência Pancreática Exócrina
- Lúpus Eritematoso Sistêmico
- Miastenia Gravis
- Mielodisplasia e Neutropenias Constitucionais – Uso de Fatores Estimulantes de Crescimento de Colônias de Neutrófilos
- Osteogênese Imperfecta
- Púrpura Trombocitopênica Idiopática
- Síndrome de Guillain-Barré
- Síndrome de Turner
- Síndrome Nefrótica Primária em Crianças e Adolescentes

Apesar disso, apenas um protocolo, para tratamento de Gaucher, incorpora medicamento órfão. Os outros incluem somente medicamentos convencionais, que amenizam os sintomas das doenças, mas não interferem na sua evolução. (Fagundes, 2014). Já de acordo com o levantamento realizado pela Interfarma, 14 doenças contam com drogas aprovadas pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária e comercializadas no país (Interfarma, 2013).

Além disso, os PCDT's apresentados como já disponíveis não trazem, no texto de descrição da doença, a classificação de doença rara e também não seguem o padrão de prevalência que está sendo utilizado na Política Nacional para Pessoas com Doenças Raras (Portaria 199), colocando obstáculos, em última instância, à sua garantia de assistência.

Outro ponto importante a ser destacado é que, algumas doenças como Pompe, Homocistinúria, Fabry, e todas as formas de Mucopolissacaridoses – sendo essas as mais judicializadas e penosas para o sistema de saúde - não foram incluídas em nenhum protocolo clínico a ser priorizado pelo Ministério da Saúde.

Impacto orçamentário e a ATS (Avaliação de Tecnologias em Saúde)

É bastante claro que o caso das doenças raras é um tema especial para o Estado, que, como já dito anteriormente, acaba por lidar com o binômio entre universalidade e integralidade do sistema e a escassez de recursos, ainda mais em tecnologias de alto custo, como no caso das drogas órfãs.

Apesar disso, o monitoramento e o aprimoramento da política pública por meio de indicadores médicos, sociais e econômicos podem ser utilizados para definir uma es-

cala de priorização dos medicamentos, utilizando critérios como a prevalência da doença, número de pessoas que possam ser beneficiadas; taxas de cura versus aumento da sobrevida, impactos na produtividade dos pacientes, custos sociais indiretos derivados da mobilização de parentes para cuidar dos pacientes, e aumento da precisão diagnóstica, que ajuda a evitar que pacientes não elegíveis se submetam a tratamento. Isso porque, dispondo de informações mais precisas, não só clínicas, mas também de qualidade de vida, o governo pode se programar e fazer melhores acordos de compra de medicamentos, com base no volume (Fagundes, 2013).

Com relação às drogas órfãs, estudo da Interfarma concluiu que, em termos percentuais, as despesas com todos os tipos de medicamento, em 2011 eram de R\$ 11,5 bilhões, onde as drogas órfãs representariam pouco mais de 2,5 % do total, porém, com o grande potencial de ampliar de forma concreta o número de pacientes assistidos (Interfarma, 2013).

Conclusão

Implementar uma Política Pública para pessoas com doenças raras é um desafio e tanto para o Estado brasileiro, que é o único país do mundo com mais de 200 milhões de habitantes a instituir e manter um sistema único de saúde, universal e integral. Independentemente disso, para que uma política pública seja eficiente, eficaz, efetiva e atenda de fato aqueles que dela necessitam, múltiplos fatores, como estes destacados nesse artigo, precisam ser levados em consideração. Para isso, a participação política, presente na formulação da Portaria 199, precisa ser contínua. O monitoramento com indicadores sociais precisa estar presente, junto a aqueles de impacto orçamentário e avaliação de tecnologias já utilizados pelo Ministério da Saúde/CONITEC. Os passos de implementação precisam ser transparentes e debatidos com a sociedade civil organizada e especialistas no tema das doenças raras e, idealmente, alinhados com os padrões e modelos internacionais, já que é um desafio não só brasileiro, mas mundial.

Dedicatória

Dedico esse artigo ao professor Dr. Denizar Vianna. Suas reflexões e orientações na construção desse trabalho sempre foram de grande valor profissional e acadêmico.

Referências bibliográficas

- Agência Nacional de Vigilância Sanitária, ANVISA. RDC nº 16, de 02 de Março de 2007. Disponível em www.anvisa.gov.br. Acessado em 24/11/2014.
- Aith, F. Et al. Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. Revista de Direito Sanitário, São Paulo v.15 n.1, p. 10-39, mar./jun. 2014.

- Barros, Maria Elizabeth et al., Política de Saúde no Brasil: Diagnóstico e Perspectivas. Instituto de Pesquisa Econômica Aplicada - IPEA. Fevereiro de 1996. Disponível em http://www.ipea.gov.br/agencia/images/stories/PDFs/TDs/td_401a.pdf.
- Boy, R.; e Schramm, F.R. Bioética da proteção e tratamento de doenças genéticas raras no Brasil: o caso das doenças de depósito lisossomal. Caderno de Saúde Pública do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, 2009.
- Brasil, Ministério da Saúde. Secretaria-executiva. Área de Economia da saúde e desenvolvimento. Avaliação econômica em saúde: desafios para a gestão no sistema único de saúde - Brasília: Editora do Ministério da Saúde, 2008.
- Brasil, Ministério da Saúde. Portaria 199, de 30 de Janeiro de 2014. Disponível em http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html. Acessado em 30/04/2014.
- Conitec - Ministério da Saúde [site na Internet]. Disponível em <http://conitec.gov.br>. Acessado em 11/11/2014.
- Ekdon, L. V. Price setting orphan drugs: identifying the influential factors on the price setting of orphan drugs. Dutch Steering Committee on Orphan Drugs. Amsterdam: 2006.
- Eurordis. Disponível em <http://www.eurordis.org/pt-pt/medicamentos-orfaos>. Acessado em 30/04/2014.
- Fagundes, M.J.D. Doenças Raras: agora temos uma Política Nacional. 2014. Disponível em http://www.interfarma.org.br/noticias_detalhe.php?id=368. Acessado em 11/11/2014.
- Interfarma. Doenças Raras: Contribuições para uma Política Nacional. Edições Especiais Saúde, volume V. São Paulo, Março de 2013.
- Nacional Information Center On Health Services Reserch & Health Care Technology (NICHSR). Introduction to health care technology assessment [S.l.: s.n]. 1998. Disponível em: <http://nlm.nih.gov.nichsr/ta101/ta10103.htm>.
- National policy for rare diseases: challenges on implementation and Health Technology Assessment in the Brazilian Unified Health System (SUS).
- Nita, Marcelo Eidi et al. Avaliação de tecnologias em saúde: evidência clínica, análise econômica e análise de decisão. Porto Alegre. Artmed, 2010.
- Rego, Victor. Eficiência no SUS como alternativa à judicialização das políticas públicas de saúde: a criação da CONITEC e a utilização de triagem administrativa na concessão de medicamentos. Trabalho de conclusão de curso em Direito - Universidade de São Paulo. Ribeirão Preto, 2013.
- Souza, Celina. Políticas Públicas: uma revisão da literatura. Sociologias, Porto Alegre, ano 8, nº 16, jul/dez 2006, p. 20-45. Disponível em <http://www.scielo.br/pdf/soc/n16/a03n16>. Acessado em 24/11/2014
- Souza, M. V. Et al. Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas. Ciência e Saúde Coletiva, v 15, n.suppl 3, 2007.
- Villela, Wilza Vieira; Monteiro, Ana Lucia. A criação do Programa Nacional de DST e AIDS como marco para a inclusão da ideia de direitos cidadãos na agenda governamental brasileira. Revista Psicologia Política, vol.9, n.17, 2009.
- Wiest, Ramon. A economia das Doenças Raras: Teoria, Evidências e Políticas Públicas. Porto Alegre, 2010. Disponível em <https://www.lume.ufrgs.br/bitstream/handle/10183/28146/000765843.pdf?sequence=1>. Acessado em 24/11/2014.