INTERFARMA

Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa

Doenças Raras: A urgência do acesso à saúde

Fevereiro de 2018

SUPERVISÃO

Antônio Britto
Presidente executivo

COORDENAÇÃO-GERAL

Octávio Nunes
Diretor de Comunicação

Selma Hirai
Coordenadora de Comunicação

Giselle Marques
Analista de Comunicação

Maria José Fagundes Delgado
Diretora

Marcela Simões
Analista de Acesso e Inovação

PROJETO

Nebraska Composição Gráfica

EDIÇÃO

Contrate 1 Ghostwriter

Tatiane R. Lima – Mtb 36439

IMPRESSÃO

Ativaonline Editora e Serviços Gráficos

TIRAGEM

500 cópias

Banco de imagens Interfarma e Pixabay

SOBRE

A INTERFARMA é a Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa, uma entidade setorial, sem fins lucrativos, que representa 51 associadas, empresas e pesquisadores que buscam promover e incentivar a pesquisa, o desenvolvimento e a inovação voltada para a produção de insumos farmacêuticos, matérias-primas, medicamentos e produtos para a saúde humana. São condições para fazer parte da entidade, realizar pesquisa, desenvolvimento e inovação e aderir ao Código de Conduta da associação.

“Ação é a chave fundamental
para todo sucesso”

Pablo Picasso

Apresentação

Cinco anos após a publicação do primeiro estudo relacionado à construção de uma Política Nacional para Doenças Raras no Brasil, a INTERFARMA - Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa - mantém sua vigília e esforço rumo à empreitada, colaborando intensamente com autoridades, cientistas, pacientes e demais interessados na causa.

A pedido da INTERFARMA, o IMS Health, atual IQVIA, e a Prospectiva Consultoria fizeram uma verdadeira due diligence para identificar peculiaridades, experiências, prioridades e avanços ocorridos no período. Para isso, eles mergulharam em dados primários e secundários das mais variadas fontes, projetos de lei e entrevistas com relevantes agentes, como as associações de pacientes. O esforço levou ao presente documento, com dois importantes vieses.

O primeiro deles é o resultado alcançado nos últimos cinco anos. A causa das doenças raras ganhou ritmo e força própria, preenchendo um espaço importante na agenda da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), do Ministério da Saúde e do Congresso Nacional. Além disso, é preciso ressaltar, em especial, a Portaria 199/14, que trouxe fôlego para uma luta iniciada há décadas.

Por outro lado, o estudo também cumpre o papel de identificar e mostrar o caminho que ainda é preciso percorrer para a adoção de uma Política Nacional forte e expressiva. Contudo, as barreiras à frente são insignificantes diante da capacidade de realização obtida pela ação conjunta dos protagonistas dessa história, isto é, pacientes, governos, cientistas, indústria, entre outros agentes. O poder de mobilização da sociedade, disposta a fazer valer seus direitos, será fundamental para o avanço das discussões e decisões em 2018, mas como todo ano eleitoral, a atenção deve ser mais dispersa após junho.

Diante disso, a INTERFARMA reforça seu compromisso para a adoção de uma Política Nacional para Doenças Raras, mantendo-se atenta e atuante em diversos fóruns, buscando esclarecer e contribuir com autoridades governamentais, parlamentares, cientistas e pacientes para a ampliação do acesso aos tratamentos.

Boa leitura!

Fernando Almeida
Presidente do Conselho

Antônio Britto
Diretor Presidente-Executivo

Prefácio

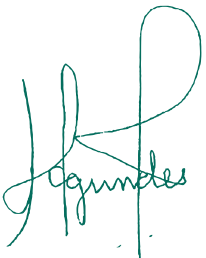
Zelar pela saúde do brasileiro é para nós, da INTERFARMA, bem mais que um compromisso escrito em uma folha de papel. É um exercício diário de empatia e resiliência para entender a realidade dos diversos atores e co-criar uma solução.

A urgência do tema é indiscutível: a Justiça é a única saída para boa parte dos 13 milhões de brasileiros com doenças raras para o acesso a tratamento. Entre 2010 e 2017, os gastos totais da União com demandas judiciais foram superiores a R$ 5,2 bilhões. Esse montante torna-se irrisório diante do custo social imposto pelas enfermidades não só ao paciente, mas também a seus familiares.

É essa penosa realidade que queremos contribuir para mudar. Alguns desafios podem ser velhos conhecidos de quem acompanha a questão, mas nós sempre buscamos um novo olhar para os dilemas, o que pode ser visto pela nossa intensa produção de conteúdo.

Desde 2012, a INTERFARMA investe em estudos mundiais, que são adaptados à legislação e à realidade brasileira. Nesta empreitada, que retrata a realidade nacional, firmamos parcerias, identificamos sinergias e buscamos diálogos com diferentes atores, em diferentes instâncias. Transitamos entre a ANVISA e a Comissão Nacional de Justiça, entre o Ministério da Saúde e o Congresso Nacional, entre a nossa casa e a do paciente, ainda que de forma indireta. Com informação, ética e transparência, buscarmos criar o laço mais difícil de todos: o da confiança.

Esse estudo que chega a suas mãos é parte deste esforço para pavimentar o caminho rumo a uma Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Os avanços podem ser pequenos ainda, mas, uma a uma, as barreiras para ampliar as assistências de saúde e farmacêutica de 13 milhões de pacientes estão caindo. Ampliadas por um esforço coletivo, consistente e incansável, suas vozes estão, finalmente, sendo ouvidas.



Maria José Delgado Fagundes
Diretora – INTERFARMA

Introdução

Em 30 de Janeiro de 2014, o Ministério da Saúde publicou a Portaria 199, que instituiu a Política de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde (SUS). A medida foi um passo importante para ampliar os cuidados específicos e diferenciados para os pacientes de doenças raras no Brasil. Foi também um reconhecimento ao trabalho realizado por diversos agentes da sociedade para aumentar o interesse pelo estudo, diagnóstico e tratamento de enfermidades que acometem cerca de 13 milhões de pessoas no País.

Durante muito tempo, o tema ficou restrito a pequenos círculos, passando a integrar a agenda das autoridades governamentais somente a partir da década de 1980. Com a promulgação do Orphan Drug Act – Lei de incentivo ao Desenvolvimento de Drogas Orfãs - em 1983, os Estados Unidos foram os pioneiros na criação de políticas de acesso, seguido pelo Japão (1993), Canadá (1996), Austrália (1998) e China (1999). No Brasil, a necessidade de inclusão de programas que beneficiassem esses pacientes começou a ser discutida por volta de 2000. Quatro anos depois, o Ministério da Saúde criou um grupo de trabalho para sistematizar uma proposta, que vingou em 2009. Recebida com esperança pelos pacientes, a Política Nacional de Atenção à Genética Clínica no SUS não levou em conta a diversidade e as especificidades do universo das doenças raras, deixando de ocupar uma posição mais relevante na agenda de saúde pública nacional.

Esse jogo começou a mudar com a publicação da Portaria 199 em 2014, quando o País passou a ter um conceito próprio de doença rara, o esboço de uma rede de serviços para atender de forma adequada os pacientes e mais espaço para engajamento da sociedade civil, da academia e dos tomadores de decisão. Os avanços, alcançados mesmo em um ambiente político-econômico conturbado, são reconhecidos pelas associações de pacientes e podem contribuir, como a Portaria propõe, para a redução da mortalidade, a queda da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas.

No entanto, observa-se que alguns gargalos estruturais se mantêm e precisam ser endereçados para garantir o cuidado integral, como a estruturação da rede de centros especializados, a evolução no processo de elaboração e publicação dos protocolos clínicos que definem o tratamento de doenças raras como prioritário e a superação dos desafios regulatórios relacionados aos medicamentos órfãos, que aumentam a judicialização e causam danosos custos sociais e econômicos às famílias e ao País.

Diante da delicadeza e urgência da questão, é importante ouvir quem padece com essa situação. Por isso, a visão dos pacientes, pela voz das suas representações (associações de pacientes), é destacada ao longo deste documento. Cinco associações de pacientes foram ouvidas e suas experiências serão contadas em pequenos trechos. A preservação das res-

pectivas identidades não acarreta prejuízos ao significativo testemunho.

É importante ressaltar, ainda, que a experiência de outros países joga luz a alguns desafios e pode ajudar a acelerar as discussões. A promulgação dos 14 projetos de lei em tramitação no Congresso Nacional, ao lado do aperfeiçoamento dos protocolos e diretrizes para um programa nacional de tratamento de doenças raras pelo SUS, mostram-se fundamentais para garantir o cuidado integral dos pacientes.

A Portaria 199/14

Desde 2014, o Brasil possui sua própria definição de doenças raras. Recebem esse nome as enfermidades com prevalência de até 65 pessoas a cada 100 mil habitantes.

São objetivos da Portaria:

- Garantir a universalidade, a integralidade e a equidade das ações e serviços de saúde em relação às pessoas com doenças raras, com consequente redução da morbidade e mortalidade;
- Estabelecer as diretrizes de cuidado às pessoas com doenças raras em todos os níveis de atenção do SUS;
- Proporcionar a atenção integral à saúde das pessoas com doença rara na Rede de Atenção à Saúde (RAS);
- Ampliar o acesso universal e regulado das pessoas com doenças raras na RAS;
- Garantir às pessoas com doenças raras, em tempo oportuno, acesso aos meios diagnósticos e terapêuticos disponíveis conforme suas necessidades;
- Qualificar a atenção às pessoas com doenças raras.

As Doenças Raras e os Medicamentos Órfãos

Recebem esta denominação aquelas enfermidades com baixa prevalência em uma população. A quantidade pode variar de acordo com a legislação vigente em cada país. Com um sistema de saúde público e universal, o Brasil optou por uma definição ampla: até 65 pessoas a cada 100 mil habitantes, uma concepção diferente da adotada, por exemplo, pelos Estados Unidos e pela União Europeia.

Doenças Raras de acordo com alguns países

EUA
Até 66 pessoas/100.000 indivíduos

União Europeia
Até 50 pessoas/100.000 indivíduos

Brasil
Até 65 pessoas/100.000 indivíduos

Esse dado, aparentemente irrelevante, é a principal diretriz para definição do escopo e da amplitude das políticas oficiais voltadas para essas doenças. Pode facilitar ou dificultar, no caso do Brasil, discussões mais aprofundadas sobre a necessidade de se adotar regras específicas em relação ao registro sanitário, fixação de preço e incorporação de tecnologias no sistema de saúde.

Doenças Raras em números

6-8%
População
420-560 milhões de indivíduos

75%
crianças e jovens

80%
origem genética

20%
causas infecciosas, virais e degenerativas

7-8 mil
doenças raras no mundo

95%
tratamento com medicamentos paliativos e serviços de reabilitação

3%
tratamento cirúrgico ou medicamentos regulares que atenuam sintomas

2%
tratamento com medicamentos órfãos, capazes de interferir na progressão

13 milhões de brasileiros
Mais do que a população da cidade de São Paulo, duas vezes a do Rio de Janeiro, quatro vezes a de Salvador e nove vezes a de Porto Alegre

O Cenário no Brasil

A voz do paciente:

"Agora eu percebo uma boa vontade: há três senadores envolvidos, ANVISA, CONITEC, INTERFARMA e a sociedade civil. Todo mundo sentado conversando."

Universalizar o atendimento a pacientes com doenças raras passa inevitavelmente por uma política que atue tanto no cuidado e tratamento, quanto na ampliação da oferta de medicamentos órfãos. Os efeitos da Portaria 199/14 estão, até o momento, restritos a uma das vertentes, visto que inúmeros entraves regulatórios continuam dificultando a entrada dos medicamentos no SUS e o acesso dos pacientes.

Redes de Serviço

A Portaria 199/14 propôs a criação de dois tipos de serviços: os de Atenção Especializada em Doenças Raras e os de Referência em Doenças Raras, que se diferenciam em relação ao tratamento ofertado, equipe e custeio.

Cada serviço precisa ser credenciado por gestores locais antes de ser habilitado pelo gestor federal. O tempo médio entre uma etapa e outra gira em torno de 1 ano e 2 meses. A manutenção dos serviços oferecidos possui dependência direta dos repasses governamentais.

SERVIÇOS DE ATENÇÃO ESPECIALIZADA E DE REFERÊNCIA EM DOENÇAS RARAS NO SUS

Categoria	Serviço de atenção especializada em doenças raras	Serviço de referência em doenças raras
Tratamento	Uma ou mais doenças raras	Mínimo dois grupos do eixo de doenças raras de origem genética; ou Mínimo dois grupos do eixo de doenças raras de origem não genética; ou Mínimo um grupo para cada eixo.
Equipe mínima	Ao menos um enfermeiro, um técnico de enfermagem, médico e/ou, responsável técnico médico	Ao menos um enfermeiro, um técnico de enfermagem, um médico geneticista, um médico especialista, um neurologista, um pediatra, um clínico geral, um psicólogo, um nutricionista, um assistente social, um responsável técnico médico (qualquer um dos tipos médicos citados)
Custeio (equipe/mês)	R$ 11.650,00 + R$ 5.750,00 (por serviço adicional dentro do mesmo estabelecimento)	Máximo de R$ 41.480,00
Unidades credenciadas	0	10
Unidades habilitadas	0	7

Fonte: Portaria 199/2014, Diário Oficial da União (DOU) e relatório das entidades estaduais (CIB) e municipais (Secretarias de Saúde) para credenciamento dos centros.

Desde a publicação da Portaria 199/14, observa-se uma clara limitação geográfica dos Serviços de Referência. Há somente sete hospitais habilitados, localizados nos estados de São Paulo, Pernambuco, Goiás, Rio de Janeiro, Paraná e Rio Grande do Sul, além do Distrito Federal.

Além de não compreenderem todas as regiões do País, as instituições habilitadas não se encontram, em alguns casos, na capital daquele estado, o que dificulta o acesso dos pacientes.

LOCALIZAÇÃO DOS SERVIÇOS DE REFERÊNCIA EM DOENÇAS RARAS

Fonte: Diário Oficial da União (DOU) e relatório das entidades estaduais (CIB) e municipais (Secretarias de Saúde) para credenciamento dos centros.

HOSPITAIS HABILITADOS COMO SERVIÇOS DE REFERÊNCIA EM DOENÇAS RARAS

Local	Associação	Especialidade	Pacientes	Credenciamento	Habilitação	Tempo (em meses)
Curitiba, PR	Hospital Pequeno Príncipe	• Anomalias Congênitas • Deficiência Intelectual • Erros Inatos do Metabolismo • Aconselhamento genético	2.640/ano	29/01/2016	17/10/2016	9
Recife, PE	Associação de Assistência à Criança Deficiente-AACD	• Erros Inatos de Metabolismo • Doenças Raras Inflamatórias • Doenças Raras Infecciosas	1.670/ano	18/03/2015	19/10/2016	19
Anápolis, GO	Associação de Pais e Amigos dos Excepcionais	• Anomalias Congênitas ou de manifestação Tardia • Deficiência Intelectual Associada a Doenças Raras • Erros Inatos de Metabolismo • Doenças Raras Infecciosas	130 cadastrados atualmente	04/12/2014	19/10/2016	22
Santo André (SP)	Ambulatório de Especialidade da FUABC/Faculdade de Medicina ABC/ Santo André	• Deficiência Intelectual associada a Doenças Raras • Erro Inato de Metabolismo (EIM) • Doenças Raras Inflamatórias • Doenças Raras Autoimunes	1.680/ano	19/02/2016	29/11/2016	9
Rio de Janeiro (RJ)	Instituto Nacional de Saúde da Mulher, da Criança e do Adolescente Fernandes Figueira (IFF)	• Anomalias Congênitas ou de manifestação Tardia • Deficiência Intelectual associada a Doenças Raras • Erro Inato de Metabolismo (EIM)	Dados não disponíveis	23/10/2015	28/12/2016	14
Brasília (DF)	Hospital de Apoio de Brasília	• Anomalias Congênitas ou de manifestação Tardia • Deficiência Intelectual associada a Doenças Raras • Erro Inato de Metabolismo (EIM) • Doenças Raras Inflamatórias • Doenças Raras Autoimunes	1.400/ano	24/05/2016	29/12/2016	7
Porto Alegre (RS)	Hospital das Clínicas de Porto Alegre	• Anomalias Congênitas ou de manifestação Tardia • Deficiência Intelectual associada a Doenças Raras • Erro Inato de Metabolismo (EIM)	Dados não disponíveis	08/05/2015	29/12/2016	19

Até o momento, a estrutura dos centros não foi efetivada de maneira satisfatória por alguns fatores:

a) atraso na elaboração e publicação de protocolos clínicos (PCDT para definir as doenças raras consideradas prioritárias.

b) atraso no credenciamento de centros, impedindo o repasse de verbas para o funcionamento.

Há, pelo menos, dez hospitais credenciados entre novembro de 2015 e dezembro de 2017 aguardando habilitação do Ministério da Saú-

A voz do paciente:

"O país concentra 46 hospitais universitários e atrai uma grande quantidade de pacientes com doenças raras vindos de outras regiões. Estima-se que 5% da população do estado tenha uma doença rara, mas São Paulo não possui um centro habilitado junto ao Ministério da Saúde."

de: dois na Bahia, dois no Rio de Janeiro, um no Ceará, um em Goiás e quatro em São Paulo – dos quais dois estão localizados na Capital.

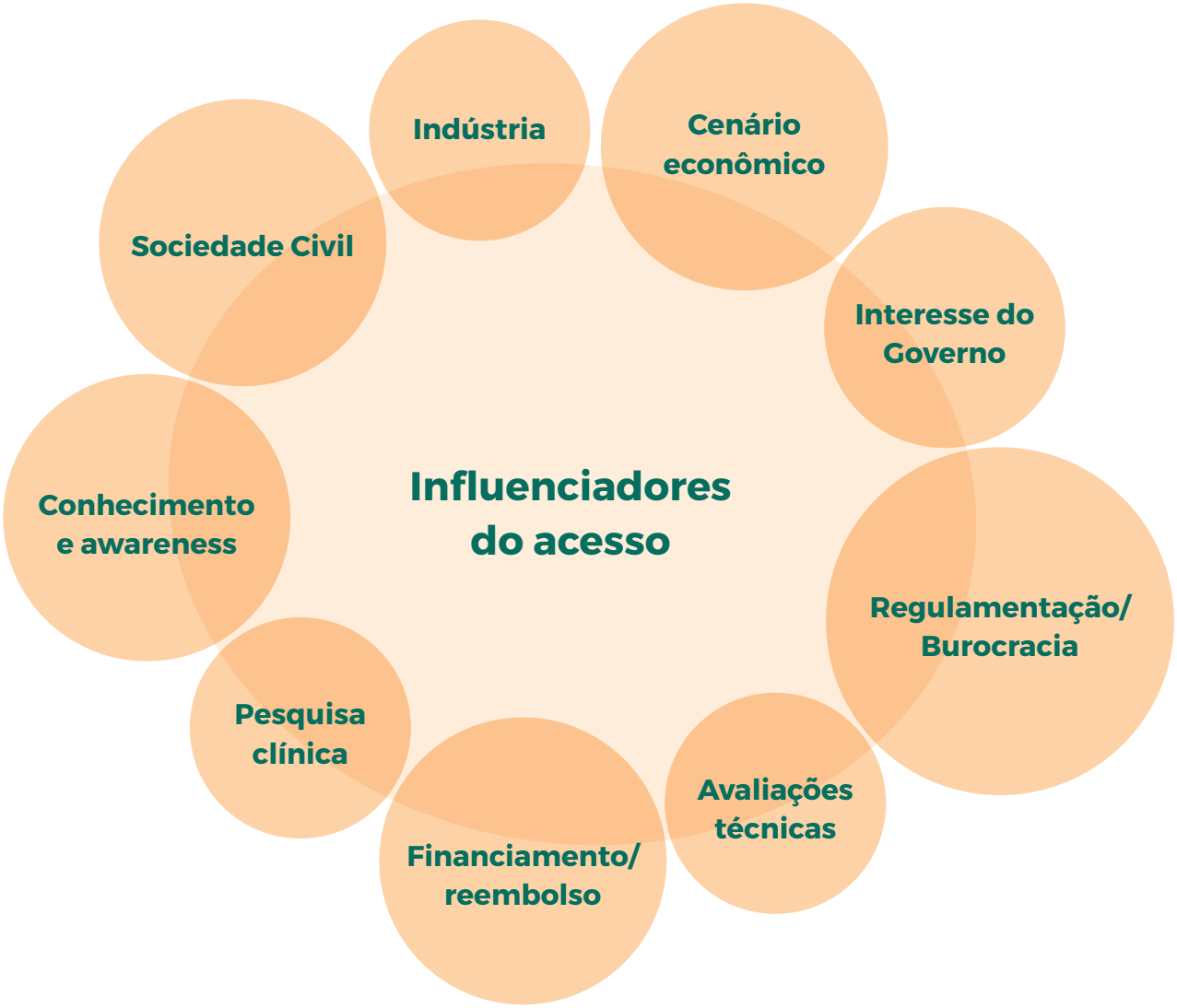
A extensão territorial do País, a dificuldade de atendimento especializado, o atraso no tratamento, o agravamento dos quadros clínicos com maior utilização de serviços hospitalares, os gastos previdenciários, os atrasos no treinamento, habilitação e credenciamento de serviços geram custo financeiro e desgaste emocional, culminando na obtenção de medicamentos por via judicial.

Para as associações de pacientes, a Portaria 199/2014 representou um avanço na teoria, pois apresenta, na prática, falhas na implantação efetiva das medidas, como atrasos nos protocolos, atrasos nas certificações de hospitais de referência por problemas burocráticos, atrasos na capacitação de equipes e carência de especialistas, inclusive geneticistas. Esses grupos que prestam relevante assistência a pacientes e seus familiares clamam por capacitação das equipes de avaliação e controle, além de mais transparência nas decisões. Destacam, ainda, a variedade de fatores que pode influenciar, positiva ou negativamente, neste processo.

SERVIÇOS NA ESPERA PELA HABILITAÇÃO DO MINISTÉRIO DA SAÚDE

Cidade	Hospital	Entidade	Credencia-mento
Salvador	Hospital Universitário Professor Edgard Santos – HUPES	Comissão Intergestores Bipartite da Bahia	19/11/2015
Salvador	Associação de Pais e Amigos dos Excepcionais - APAE	Comissão Intergestores Bipartite da Bahia	17/02/2016
São Paulo	Hospital das Clínicas da FMUSP	Secretaria Municipal da Saúde de São Paulo	18/03/2016
São Paulo	Instituto do Coração/ Hospital das Clínicas da FMUSP	Comissão Intergestores Bipartite do Estado de São Paulo	27/04/2016
Rio de Janeiro	Hospital Universitário Clementino Fraga Filho	Comissão Intergestores Bipartite do Estado do Rio de Janeiro	30/05/2016
Goiânia	Hospital Geral de Goiânia Dr. Alberto Rassi	Comissão Intergestores Bipartite do Estado de Goiás	24/06/2016
Ribeirão Preto	Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina de Ribeirão Preto da Universidade de São Paulo	Comissão Intergestores Bipartite do Estado de São Paulo	14/07/2016
Campinas	Hospital das Clínicas da UNICAMP	Comissão Intergestores Bipartite do Estado de São Paulo	16/12/2016
Fortaleza	Hospital Universitário Walter Cantídio da UFC	Comissão Intergestores Bipartite do Estado do Ceará	07/07/2017
Rio de Janeiro	Hospital Universitário Gaffrée e Guinle da UNIRIO	Comissão Intergestores Bipartite do Estado do Ceará	09/11/2017

Fonte: Relatórios das entidades estaduais (CIB) e municipais (Secretarias de Saúde) para credenciamento dos centros.



O custo médio de cada criança tratada nos centros públicos europeus, organizados a partir de planos nacionais, corresponde a 33% do custo de tratamento em um programa não integrado.

A experiência internacional reforça que a estruturação da rede de serviços especializados é uma importante evolução, mas também coloca em destaque a fragilidade e a morosidade brasileira nos cuidados com as doenças raras. Em 2001, a Itália criou uma rede nacional de centros de assistência gratuita para prevenção, diagnóstico e tratamento das doenças raras. Quatro anos depois, a França aprovou um plano nacional de estruturação de centros de referência em hospitais-escola, totalizando 131 unidades distribuídas pelo país. A Alemanha conta com 16 centros de pesquisa, enquanto Noruega, Dinamarca e Suécia investem em clínicas multidisciplinares. De acordo com relatório de 2009 da EURORDIS, que congrega associações de pacientes de 49 países e representantes de 544 doenças raras, o custo médio de cada criança tratada nos centros públicos europeus, organizados a partir de planos nacionais, corresponde a 33% do custo de tratamento em um programa não integrado.

A voz do paciente:

"Então, toda essa morosidade faz com que os hospitais que querem se cadastrar desanimem."

Acesso ao Medicamento Órfão

De acordo com o Ministério da Saúde, há atualmente 26 protocolos clínicos ligados às doenças raras, sendo que 18 deles foram elaborados sob a égide da Política Nacional de Atenção Integral à Genética Clínica (PNAIGC). Eles oferecem acesso a 45 medicamentos, a tratamentos clínicos e cirúrgicos, a 70 mil consultas e a mais de 560 procedimentos laboratoriais para diagnóstico e tratamento ao custo anual superior a 4 milhões de reais.

De acordo com o "Dossiê de Doenças Raras e Drogas Órfãs: entendendo a situação brasileira no contexto global", publicado pela IMS (atual IQVIA), até junho de 2012, das 18 doenças com protocolo de tratamento, apenas uma, a Doença de Gaucher, incorporava droga órfã. As restantes usam medicamentos farmacológicos sintomáticos.

Em 2017, nove medicamentos para doenças raras foram incorporados, sendo que três deles são considerados órfãos pelo FDA (agên-

DOENÇAS E PRODUTOS EM ANÁLISE

Listagem	Indicação/Doença rara	Produtos	Moléculas	Empresas
Doenças consideradas no estudo anterior	Acromegalia	Somavert	Pegvisomanto	Pfizer
		Somatuline	Lanreotida	Ipsen
	Angioedema hereditário	Firazyr	Acetato de icatibant	Shire
	Fabry	Fabrazyme	Beta-galsidase	Genzyme
		Replagal	Alfagalsidase	Shire
	Gaucher's	Cerezyme	Imiglucerase	Genzyme
		Vpriv	Alfavelaglicerase	Shire
		Zavesca	Miglustate	Actelion
	HAP	Tracleer	Bosentan	Actelion
	MPS VI	Naglazyme	Galsulfase	BioMarin
	Nienmann-Pick	Zavesca	Miglustate	Actelion
Inclusão de Doenças	Hipertensão Pulmonar Tromboemótica Crônica (HPTEC)	Adempas	Riociguate	Bayer
	Tumor neuroendócrino	Afinitor	Everolimus	Novartis
	Lupus Eritematoso Sistêmico	Benlysta	Belimumabe	GSK
	Mielofibrose	Jakavi	Ruxolitinib	Novartis
	Pompe	Myozyme	Alfalglicosidase	Genzyme
	Sindrome de Cushing	Upelior	Pasireotide	Novartis

As moléculas Laronidase (MPSI), Idursulfase (MPSII) e Tafamidis (PAF) faziam parte do estudo anterior, porém não constam nesta tabela, uma vez que foram incorporadas pela CONITEC (2017). Fonte: IMS – Rare Diseases – Budgetary Impact Update 2017.

cia norte-americana de vigilância sanitária) - laronidase (Mucopolissacaridose Tipo I), idursulfase (Mucopolissacaridose Tipo II), e somatropina. Recentemente, em janeiro de 2018, o medicamento Tafamidis (Polineuropatia amiloidótica familiar - PAF) também foi adicionado a esta lista.

De acordo com as associações de pacientes, muitas PCDTS estão engavetadas; outras foram descartadas por falta de informações claras ou alternativas de tratamento capazes de justificar o protocolo.

A voz do paciente:

"Muitos dos protocolos não foram devolvidos pelos especialistas responsáveis pelo trabalho. Alguns foram devolvidos sem conclusão."

É importante destacar ainda, que, mesmo após a inclusão de um medicamento no SUS, o acesso ao tratamento pode esbarrar em problemas de gestão e logística, que frequentemente afetam o abastecimento da rede de saúde e comprometem o tratamento dos pacientes. Nos últimos anos, o agravamento da crise econômica do País e as constantes trocas dentro do Ministério da Saúde afetaram a periodicidade e o volume de compras, impactando a disponibilidade de medicamentos para os pacientes.

Regulação Sanitária

No Brasil, os medicamentos só podem ser comercalizados após obter o registro da ANVISA que atesta sua segurança, qualidade e eficácia e após obtido o registro de preço na Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). A Portaria 199/14 não trouxe definição nem fixa regras específicas para drogas órfãs. No entanto, em dezembro de 2017, uma resolução da Diretoria Colegiada da Agência (RDC 205/17) estipulou um procedimento especial para Doenças Raras, envolvendo a anuência de ensaios clínicos, certificação de boas práticas de fabricação e registro de novos medicamentos para tratamento, diagnóstico ou prevenção de doenças raras. E os medicamentos registrados por meio de tais critérios serão priorizados, tendo prazo de até 365 dias para serem comercializados. A resolução, que deve entrar em vigor até março de 2018, reduz significantemente o tempo das aprovações regulatórias.

Conforme demonstrado, há atualmente 19 doenças raras com medicamentos órfãos registrados na ANVISA ainda não incorporados às linhas oficiais de tratamento. A principal justificativa, o custo do tratamento, perde fundamentação frente à realidade do aumento do número de ações e o envolvimento do Poder Judiciário para o acesso aos medicamentos ou tratamentos.

Regulação Econômica

O setor farmacêutico no Brasil é regulado pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), que estabelece os preços de entrada e os preços máximos que podem ser praticados no mercado nacional. Para determinados medicamentos é aplicado ainda um Coeficiente de Ajuste de Preços, o CAP, criado pela CMED com o intuito de uniformizar o processo de compras públicas de medicamentos e tornar mais efetivo o acesso universal e iguali-

tário, princípio fundamental do Sistema Único de Saúde – SUS. Na prática, a aplicação do CAP se justifica para medicamentos adquiridos pela administração pública, principalmente por meio de compras centralizadas, permitindo um desconto de preço maior de acordo com a quantidade do produto obtida.

É importante destacar que as estratégias de ganho de escala saem prejudicadas na aquisição de medicamentos órfãos, que tratam doenças que atingem uma pequena parcela de pacientes. Esta prerrogativa também se aplica ao desconto compulsório, que não considera as especificidades de um nicho de mercado tão particular. Vale ressaltar, ainda, que, para que um medicamento órfão seja, de fato, disponibilizado no sistema de saúde para a população, ele precisa passar por um processo de incorporação, conforme exposto a seguir.

Mecanismos de Avaliação de Tecnologias em Saúde

Por abranger grupos muito menores de usuários, os custos de produção dos medicamentos órfãos são consideravelmente mais elevados, comprometendo sobremaneira os testes de eficácia, que não apresentam resultados demonstrativos significativos.

A metodologia de custo-efetividade, adotada pela Comissão Internacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), também não se aplica aos medicamentos órfãos. As ferramentas tradicionais de avaliação de tecnologias enfatizam o preço ao comparar novos tratamentos com aqueles já disponíveis pelo SUS. Por incidir sob um número restrito de pacientes, os resultados dos estudos clínicos não são nada robustos quando comparados com medicamentos para doenças de maior prevalência. Além disso, essa metodologia desconsidera o impacto no valor social das doenças raras, conforme exposto no item sobre custos sociais.

A voz do paciente:

"Já era complicado antes, com técnicos que ajudaram na construção da Portaria 199/2014. Que dirá com uma pessoa que não tem esse conhecimento nem a capacitação necessária."

Protocolos Clínicos

Ainda que o medicamento esteja incorporado no sistema de saúde, é necessária a definição do seu papel na estratégia de cuidado do paciente. Esse é o objetivo dos chamados Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), previsto na Portaria 199/14. No mesmo ano da publicação dessa Portaria, a CONITEC abriu consulta pública para priorizar as doenças raras que fariam parte dos novos PCDTs. Foram registradas 834 contribuições, sendo que 91% foram encaminhadas por pacientes, familiares, amigos e grupos de pacientes. Em maio de 2015, o relatório final de priorização listou 42 doenças cujos PCDTs deveriam ser publicados até 2018. A iniciativa, recebida com entusiasmo pelos pacientes e demais interessados, não evoluiu, pois esbarrou em mudanças ocorridas no Ministério da Saúde, com substituição de ministros e equipes.

É importante ressaltar que, desde 2014, 22 PCDTs de doenças raras foram publicados. Nenhum destes, no entanto, integrava a lista final de priorização, produzida pela CONITEC. O órgão, que lidera esse processo, dedica-se atualmente à elaboração de cinco PCDTs para doenças raras, dos quais três estão em estágio avançado e aguardam apenas a assinatura do secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE), do

Ministério da Saúde, para serem publicados. São eles: Mucopolissacaridose tipo I (MPS I), Doença de Wilson e Doença Falciforme. Os outros dois PCDTs seguem em análise após consulta pública, com parecer favorável pela CONITEC. São eles: Mucopolissacaridose tipo II (MPS II) e Hepatite Autoimune. Dos cinco protocolos, apenas dois (MPS I e MPS II) constam na lista de priorização da CONITEC.

Poder Judiciário

Com o aumento da judicialização, o Conselho Nacional de Justiça (CNJ) adotou postura de apoio aos magistrados e criou o Fórum Nacional da Judicialização para a Saúde, um trabalho multidisciplinar que permite a interação entre Ministério da Saúde, ANVISA, Agência Nacional de Saúde e Conselhos Estaduais e Municipais de Saúde (CONASS e CONASEMS).

Outras iniciativas surgiram, como Câmara Técnica de Doenças Raras, criada pelo Conselho Federal de Medicina, em 2015. Ela reúne associações de pacientes, representantes da indústria farmacêutica, órgãos do governo e sociedades médicas.

Em 2017, a Câmara aprovou um curso que tem como objetivo tornar aptos médicos que não são especialistas em genética para reconhecer. Com isso, esses profissionais poderão encaminhar adequadamente os casos que necessitem de avaliação com especialista e oferecer, na atenção básica em saúde, cuidado médico às pessoas com doenças genéticas. Os primeiros treinamentos foram realizados em novembro de 2017 e contaram com a participação de 5,2 mil médicos.

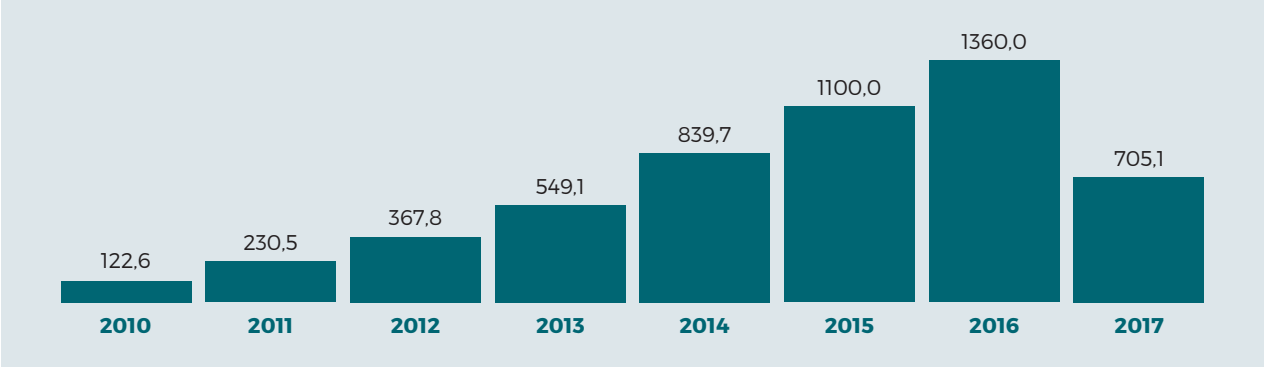
A Universidade de São Paulo (USP) também se uniu à Secretaria Estadual de Saúde do Estado de São Paulo, defendendo a elaboração por pesquisadores de relatórios e pareceres que instruam o magistrado sobre a eficácia dos medicamentos reclamados em juízo, além da existência de tratamentos alternativos disponíveis no SUS. De uma forma ou de outra, todas as discussões versam sobre modelos de atenção que viabilizem o direito à saúde tal como garantido nos artigos 196, da Constituição Federal, e no 16, da Lei Orgânica do SUS (Lei 8080/1990).

Em dezembro de 2017, o Conselho Nacional de Justiça (CNJ) promoveu mais uma rodada de discussão. Durante mais de 10 horas, 30 representantes de diversos segmentos da sociedade e do governo apresentaram suas perspectivas a respeito da judicialização. Segundo a presidente do Supremo Tribunal Federal (STF) e do CNJ, Ministra Cármen Lúcia, medidas serão tomadas para dar conta do "acervo de demandas judiciais", como por exemplo, suporte técnico e científico ao juiz.

Ainda que relevantes, as iniciativas não se mostraram suficientes para conter o forte crescimento das demandas judiciais. De acordo com estimativas do Ministério da Saúde, elas cresceram 490% desde 2011. Somente em 2016, os gastos da União com demandas judiciais atingiram R$1,3 bilhão, um aumento de 23% em relação ao ano anterior. Em julho de 2017, o governo federal já havia acumulado R$705,1 milhões em gastos com produtos judicializados.

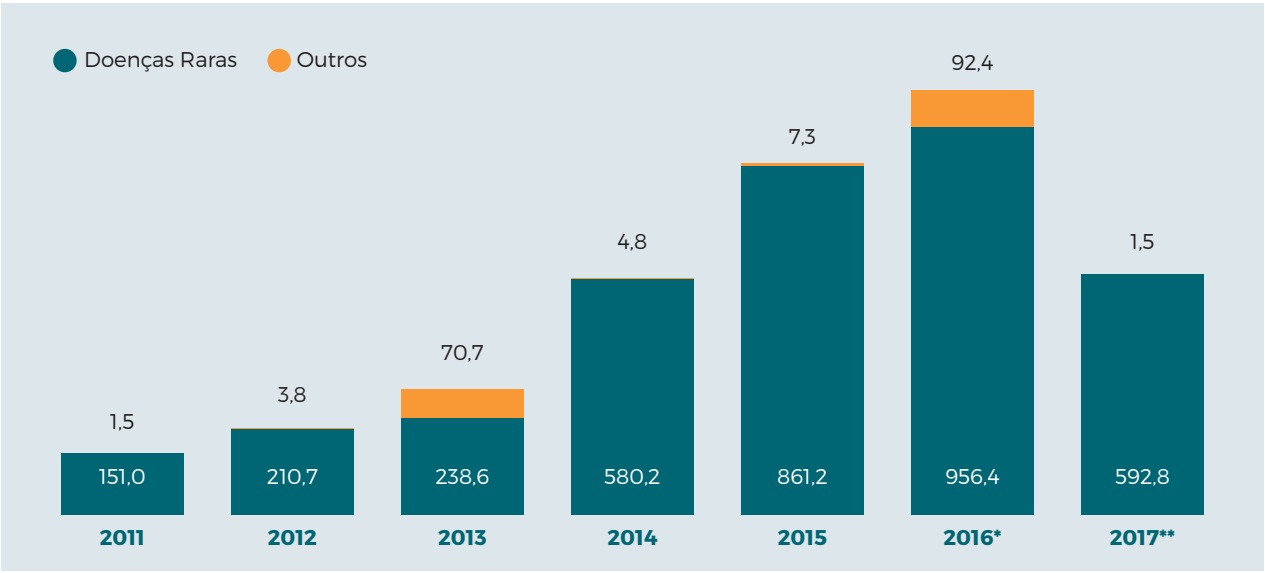
A participação dos medicamentos órfãos nos gastos da União por via judicial já representa 90% do total. Em 2016, 10 dos 20 medicamentos mais demandados judicialmente estavam ligados às doenças raras. Esse movimento se intensificou em 2017, sendo que, até junho, 13 dos 20 medicamentos mais judicializados eram para doenças raras.

GASTOS TOTAIS DA UNIÃO COM DEMANDAS JUDICIAIS (2010-2017*) - EM MILHÕES DE REAIS



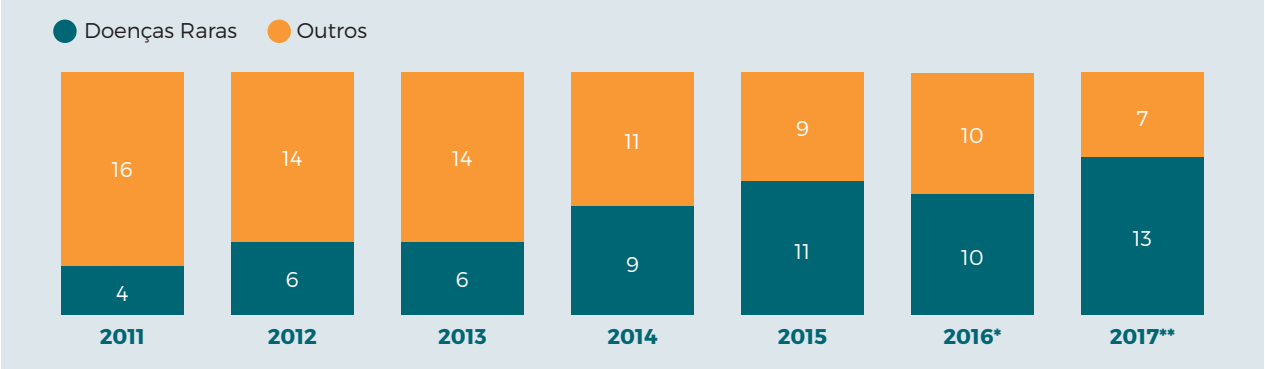
*Gastos até julho/2017 Fonte: Prospectiva com dados do Ministério da Saúde, 2016; 2017

GASTOS DA UNIÃO COM OS 20 MEDICAMENTOS MAIS JUDICIALIZADOS (2011-2017**) – EM MILHÕES DE REAIS



*Dados de 2016 foram disponibilizados até novembro **Dados de 2017 foram disponibilizados até junho
Fonte: Prospectiva com dados do Departamento de Logística em Saúde (MS), 2016

OS 20 MEDICAMENTOS MAIS JUDICIALIZADOS PELA UNIÃO (2011-2017**)



*Dados de 2016 foram disponibilizados até novembro **Dados de 2017 foram disponibilizados até junho
Fonte: Prospectiva com dados do Departamento de Logística em Saúde (MS), 2016

Além de drenar recursos financeiros, as demandas judiciais afetam tanto a União, Estados e Municípios pela falta de previsibilidade na alocação de recursos por conta da falta de programação de compra dos medicamentos, pela diminuição do poder de negociação da administração pública e pela inexistência de controle logístico, quanto os pacientes, que correm o risco de descontinuidade no tratamento. Ao longo de 2017, notou-se uma tentativa dos entes federativos de aprimorar a gestão das compras por meio de uma série de iniciativas. Entre elas, destaca-se o núcleo de demandas judiciais do Ministério da Saúde, que também tornou disponível para as gestões estaduais e municipais um software (S-CODES) para controle de compras.

Observou-se, também no ano passado, algumas iniciativas do governo em reduzir o fornecimento de medicamentos por demanda judicial. Em março de 2017, os pacientes receberam o suficiente para 45 dias de tratamento, e não para seis meses como era de costume. A situação só foi revertida, após mobilização de grupos de pacientes e de membros do Legislativo. O Ministério decidiu estender o prazo para 150 dias.

É importante destacar que os possíveis atrasos nas decisões judiciais punem os pacientes, dado o risco de afetar a continuidade do tratamento. As associações de pacientes corroboram essa visão, ressaltando que o acesso aos principais tratamentos ainda é muito desigual. A judicialização nasce da ausência ou desatualização dos protocolos, além da falta de definição do papel e das obrigações dos pagadores privados. Além disso, o apelo à Justiça para garantir o acesso a medicamentos está hoje limitado a uma pequena parcela da população que tem conhecimento ou contato com entidades mais preparadas.

NA PAUTA DO STF...

Dois recursos relacionados às Doenças Raras aguardam, desde 2016, decisão do Supremo Tribunal Federal (STF). Referem-se à obrigatoriedade do Estado de fornecer medicamentos de alto custo para pessoas que não possuem capacidade financeira (RE 566.471) e a de fornecer medicamentos que não possuem registro na ANVISA (RE 657.718). Paralisado após o falecimento do ministro Teori Zavascki, o julgamento dos recursos conta com três votos proferidos, que apontam que a judicialização deve, em longo prazo, restringir-se a pacientes incapazes de arcar com os custos do tratamento, além do fortalecimento das instâncias técnicas do Serviço Único de Saúde, como a ANVISA e a CONITEC, em decisões relacionadas a registro e incorporação. Os recursos serão, ainda, analisados pelos outros oito ministros.

A presidente do STF, Ministra Cármen Lúcia, já se envolveu com a questão e endossou, em novembro de 2017, a decisão do Tribunal de Justiça do Rio de Janeiro (TJ-RJ) que impõe à Fundação Municipal de Saúde de Niterói (RJ) o fornecimento do remédio para tratamento de Deficiência de Mevalonato Quinase (MKD) a uma portadora, destacando que “a suspensão dos efeitos da decisão impugnada poderia causar situação mais gravosa (inclusive o óbito da paciente) do que aquela que se pretende combater”.

...E DO STJ

O Superior Tribunal de Justiça mostra-se também um ator decisivo para a judicialização de medicamentos. Em maio de 2017, a Primeira Turma suspendeu todos os processos judiciais em andamento e destacou a obrigação do Estado de fornecer medicamentos de alto e baixo custo não incorporados no SUS. A decisão gerou grande repercussão. Para o ministro Benjamin Gonçalves, relator do recurso, o fornecimento pode ocorrer desde que haja, cumulativamente, apresentação de laudo médico sobre imprescindibilidade do remédio, comprovação de insuficiência financeira do paciente e registro do medicamento na ANVISA.

O julgamento foi interrompido após o pedido de vista da ministra Assusete Magalhães. Os outros nove ministros que compõem a 1ª Seção devem avaliar o recurso, cuja decisão deve ser proferida no prazo de um ano. Ela não deve afetar o trabalho do STF, mas o resultado do julgamento deste pode criar uma exceção e, no caso de medicamentos de alto custo, em uma decisão final do STJ.

Poder Legislativo

As doenças raras são o centro de várias discussões em tramitação no Congresso Nacional, seja por meio de projetos de lei que garantam a necessidade do cuidado adequado, seja pela criação de um ambiente regulatório compatível com a realidade dos tratamentos. No total, há 14 projetos em tramitação, que não devem ser encarados como respostas prontas elaboradas pelos congressistas, mas como oportunidade de elevar a discussão e engajar mais atores sociais no processo.

Entre 2014 e 2017, a Comissão de Seguridade Social e Família (CSSF) da Câmara dos Deputados realizou 154 audiências públicas (23, 52, 28, 51, por ano, respectivamente), sendo 102 sobre saúde; dessas, 8 foram sobre doenças raras, número expressivo frente a quantidade de temas do setor.

É importante ressaltar que, em meio à crise institucional, a Câmara e o Senado têm servido como palco de importantes discussões ao tema.

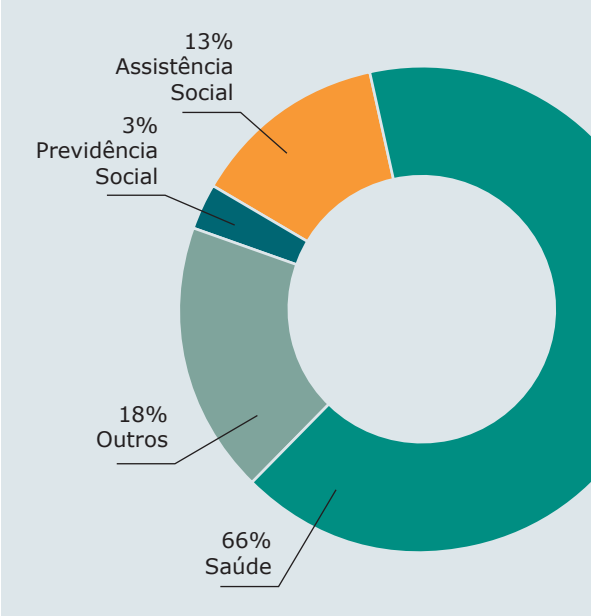
SÍNTESE DOS PROJETOS DE LEI EM TRAMITAÇÃO

Projeto	Autor (Partido)	Tema	Ementa
PL 3.167/2008	Deputado Luiz Carlos Hauly (PSDB/PR)	Acesso a medicamentos	Obriga o fornecimento de medicamentos para portadores de doenças crônicas de baixa prevalência ou rara a pacientes da rede pública de saúde e determina participação de todos os entes federados no financiamento dos medicamentos.
PLC 56/2016 (1.606/2011)	Ex-deputado Marçal Filho (PMDB/MS)	Acesso a medicamentos	Dispõe sobre a dispensação de medicamentos para doenças raras e graves, que não constam em listas de medicamentos excepcionais padronizadas pelo SUS.
PL 4.815/2012	Deputada Mara Gabrilli (PSDB/SP)	Atenção especializada	Institui o Serviço de Apoio Especializado para Atividades da Vida Diária, destinado a pessoas com deficiência severa ou doenças raras com grande restrição de movimentos, com o objetivo de garantir sua autonomia e independência pessoal.
PL 6.566/2013	Ex-senador Eduardo Suplicy (PT/SP)	P&D para tecnologias em doenças raras	Obriga o repasse de 30% dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, em atividades voltadas para o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e etc., destinados ao tratamento de doenças raras ou negligenciados.
PL 8.188/2014	Ex-Senador Eduardo Suplicy (PT/SP)	Conscientização	Dispõe sobre a instituição do Dia Nacional de Doenças Raras.
PL 2.657/2015	Ex-senador Vital do Rêgo (PMDB/PB)	Ambiente regulatório	Dispõe sobre o registro e a importação, por pessoa física, de medicamento órfão, bem como prevê critério diferenciado para a avaliação e a incorporação destes medicamentos, especifica também que, na definição e no reajuste de preços dessas medicações, a comparação de preços deve-se restringir aos dessa categoria.
PL 3.302/2015	Deputado Pedro Cunha Lima (PSDB/PB)	P&D para tecnologias em doenças raras	Dispõe sobre a aplicação mínima de recursos para a pesquisa e o desenvolvimento de diagnósticos, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras, e destina parcela dos recursos recuperados em ações de ressarcimento ao erário da União às ações de atenção integral às pessoas com doenças raras no SUS.
PL 2.654/2015	Deputado Diego Garcia (PHS/PR)	Isenção de impostos	Inclui as despesas com aquisição de medicamentos para tratamento de doenças raras nas hipóteses de dedução da base de cálculo do imposto de renda das pessoas físicas.
PLS 31/2015	Senador Álvaro Dias (PSDB/PR)	Ambiente regulatório	Tipifica e define medicamentos órfãos para efeitos legais, além de enumerar em que casos e em que condições será permitida sua importação. Também determina que o registro destes fármacos seja dotado de procedimentos ágeis e desburocratizados.

SÍNTESE DOS PROJETOS DE LEI EM TRAMITAÇÃO (CONTINUAÇÃO)

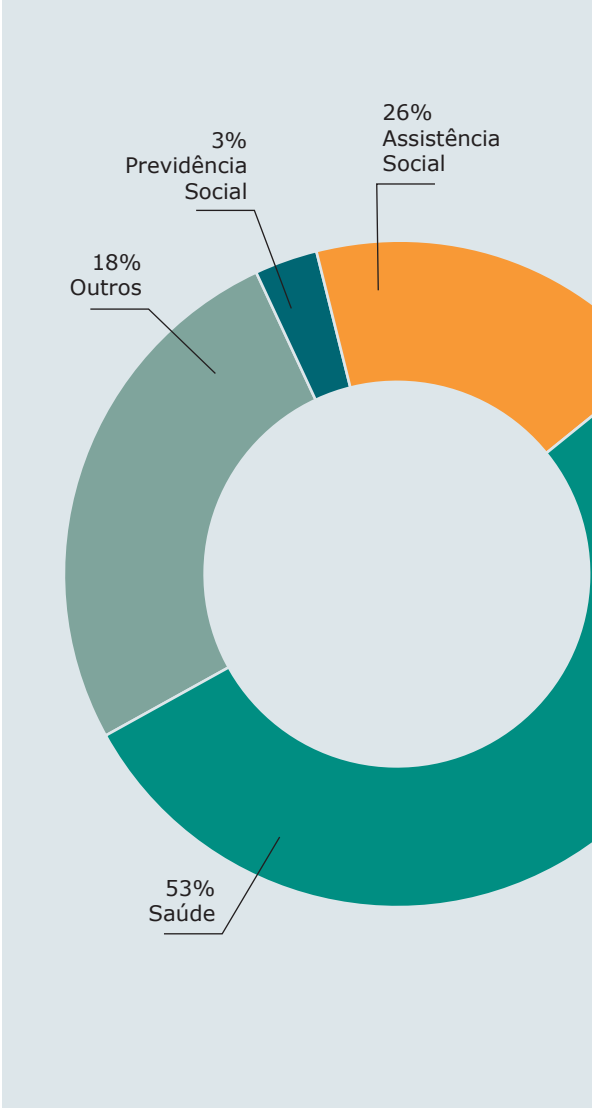
Projeto	Autor (Partido)	Tema	Ementa
PL 4.345/2016	Deputado Atila A. Nunes (PSL/RJ)	Acesso a tratamento	Cria os centros para tratamento de doenças raras em todos os estados da federação e dá outras providências.
PL 4.818/2016	Deputada Mariana Cavalho (PSDB/RO)	Acesso a tratamento	Autoriza o uso de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras.
PL 5.017/2016	Deputada Leandre (PV/PR)	Acesso a tratamento	Trata do uso compassivo de fármacos experimentais por pacientes portadores de moléstia grave ou rara.
PL 5.998/2016	Deputada Mariana Carvalho (PSDB/RO)	Ambiente regulatório	Estabelece critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras.
PLS 415/2015	Senador Cássio Cunha Lima (PSDB/PB)	Ambiente regulatório	Tornar obrigatória a definição em regulamento e a divulgação do indicador ou parâmetro de custo-efetividade utilizado na análise das solicitações de incorporação de tecnologia e determina a aleatoriedade e publicidade na distribuição dos processos às instâncias responsáveis por essa análise

AUDIÊNCIAS PÚBLICAS CSSF (2014, 2015, 2016 E 2017)



Cenário semelhante é observado na Comissão de Assuntos Sociais (CAS), do Senado. Entre 2014 e 2017, a comissão realizou 70 audiências públicas, sendo 37 sobre saúde. Dentre as audiências sobre saúde, 13 trataram de doenças raras, sendo que cinco delas foram realizadas em 2017, ano de criação da Subcomissão Especial sobre Doenças Raras (CASRARAS), presidida pelo Senador Waldemir Moka, da qual participam associações de pacientes, representantes do governo, médicos e entidade da indústria farmacêutica.

AUDIÊNCIAS PÚBLICAS CAS (2014, 2015, 2016 E 2017)



A voz do paciente:

"A meu ver, seria mais prioritário educar o médico da Unidade Básica."

A EC 95/2016

Promulgada em dezembro de 2016, a Emenda Constitucional (EC) nº 95 limitou por 20 anos o teto dos gastos do governo federal. Em seu primeiro ano de vigência, a saúde e a educação foram as áreas menos atingidas em comparação a outros órgãos e Poderes da República. A EC 95 poupou dois setores fundamentais de cortes maiores do que os gastos do ano anterior, somados à variação do IPCA, e permitiu que o Ministério da Saúde continue recebendo recursos extras, advindos de cortes de outros ministérios. Embora as transferências constitucionais feitas a estados e municípios não tenham sido afetadas, o deslocamento de recursos do Fundo Nacional de Saúde (FNS) para os orçamentos de estados e municípios devem ser afetadas, já que fazem parte do orçamento do Ministério da Saúde. Caberá a eles exclusivamente o financiamento de programas e serviços públicos de saúde, que já corre riscos com a crise fiscal e a queda nas arrecadações. Essa situação reforça a importância da atual agenda de aumento da eficiência de gestão e de redução dos gastos do Ministério da Saúde – incluindo, a judicialização.

Outros Fatores Relevantes

“Somente os custos relacionados à perda de produtividade representam até 56% do custo total da doença.”

Custos Sociais

Não há estudos significativos no Brasil sobre a natureza dos dados gerados pelas doenças raras. É inquestionável, porém, a perda de produtividade do paciente e dos seus familiares por mal-estar físico e/ou emocional; o absenteísmo dos pacientes e familiares ocasionado pela necessidade de consultas médicas, exames e outros cuidados; a aposentadoria antecipada ou pensão por invalidez em decorrência do agravamento da doença; os custos emocionais relacionados às dores e sofrimentos causados pela doença e pela absoluta falta de perspectiva de cura e dificuldade de acesso ao tratamento.

Algumas iniciativas internacionais ajudam a tangibilizar os impactos econômicos e sociais relacionados a essas doenças. É o caso do projeto europeu “Custo Socioeconômico e Qualidade de Vida relacionado a Doenças Raras” (BURQOL RD, 2008), que avalia os custos globais (médicos e não médicos) e identifica a relevância e magnitude econômica e social relacionadas a 10 doenças raras em oito países (Alemanha, Bulgária, Espanha, França, Hungria, Itália, Reino Unido e Suécia). Os resultados sinalizam o impacto significativo dos custos indiretos. Somente os custos relacionados à perda de produtividade representam

CUSTO TOTAIS DE DOENÇAS RARAS SELECIONADAS POR ANO, POR PACIENTE

País	Doença	Custo total	Custo direto	% total	Custo Indireto	% total
Hungria	Esclerose Sistêmica	€ 12.032,00	€ 5.350,00	44,4%	€ 6.742,00	56,6%
Reino Unido	Histiocitose	£ 49.947,00	£ 34.962,00	70%	£ 14.984,00	30%
Reino Unido	Fibrose Cística	€ 48.603,00	€ 42.381,00	87,2%	€ 6.221,00	12,8%
França	Esclerose Sistêmica	€ 22.459,00	€ 11.933,00	53,1%	€ 10.526,00	46,9%

Fonte: Prospectiva com dados de Angelis et al (2015) ; Angelis et al (2014) ; Chevreul et al (2014) ; Cavazza et al (2016)

até 56% do custo total da doença. Ainda que haja peculiaridades locais, os resultados podem direcionar esforços e apoiar a tomada de decisões.

Pesquisas Clínicas

O cenário para o desenvolvimento de pesquisas clínicas no Brasil também não é favorável. Verifica-se que a burocracia e a demora no processo de aprovação de protocolos de pesquisa dificultam o desenvolvimento de terapias inovadoras e a adoção de medidas centradas no paciente, como acontece em outros países.

A média mundial de aprovação de ensaios clínicos, por exemplo, varia de 3 a 4 meses, bem inferior à do Brasil, que pode ultrapassar um ano. Essa demora impossibilita a participação do Brasil em pesquisas multicêntricas, (que ocorrem simultaneamente em vários países). Além disso, a Resolução do Conselho Nacional de Saúde (CNS) n°466/2012, que exige a obrigatoriedade de fornecimento do medicamento pelo resto da vida dos participantes da pesquisa, é outro fator a afetar o ambiente nacional de pesquisas clínicas. No que se refere às doenças ultrarraras, vale destacar ainda a Resolução 563, publicada em novembro de 17, destinada exclusivamente a enfermidades com incidência menor ou igual a um caso para cada 50 mil habitantes. Essa Resolução responsabiliza o patrocinador pelo acesso gratuito a todos os participantes da pesquisa aos métodos profiláticos, diagnósticos e terapêuticos considerados mais eficazes, pelo prazo de cinco anos, após obtenção do registro na ANVISA.

Essas experiências reforçam a importância da internacionalização dos ensaios clínicos, das parcerias público-privadas, da estruturação de serviços diferenciados de atendimento e da desburocratização para disponibilização de medicamentos órfãos, incorporando-os aos sistemas de saúde.

Alguns países adotaram estratégias para agilizar o acesso do paciente ao medicamento órfão, como revisão rápida da documentação e redução de exigências técnicas nos parâmetros de avaliação e outras facilidades. As políticas diferem de acordo com as características do sistema de saúde, se públicos ou privados. Outra solução diferenciada que poderia servir como inspiração é a autorização temporária de uso de medicamentos para pacientes com doenças raras, em casos de risco de vida ou na ausência de alternativa terapêutica, como acontece na França e na Espanha.

A voz do paciente:

"É preciso rever a legislação de pesquisa clínica no Brasil. Ela não é atrativa para desenvolvimento de estudos no país."

O papel dos Pacientes

Muitas organizações têm papel-chave para o paciente e para o desenvolvimento do ambiente: por um lado, oferecem serviços de apoio e aconselhamento, desempenhando um papel que caberia ao próprio sistema de saúde; por outro lado, dão visibilidade ao tema e pressionam os poderes Executivo, Legislativo e Judiciário a encontrar soluções para garantir o acesso aos tratamentos. Esta mobilização é fundamental também para combater a falta de informação, que ainda é um dos principais entraves ao diagnóstico precoce e ao tratamento adequado das doenças raras.

Hoje as atividades das Associações de Pacientes estão voltadas para:

- Suporte de pacientes e familiares no que diz respeito a conhecimento, suporte e direcionamento no acesso ao tratamento e na melhoria da qualidade de vida;
- Promoção de palestras e outras atividades para aumentar a visibilidade do tema entre diferentes públicos;
- Participação junto a agentes públicos para desenvolvimento de políticas e conscientização;
- Colaboração com outras entidades menores;
- Elaboração de projetos para captação de recursos.

Entre os projetos defendidos de forma prioritária:

- Conscientização e incorporação do "Teste do Pezinho";
- Estipulação de prazo, por lei, para CONITEC para incorporação de drogas no SUS logo após registro;
- Implementação imediata de uma política de doenças raras;
- Divulgação na TV, em âmbito nacional, sobre o tema.

É essencial ressaltar, ainda, o aumento do protagonismo das associações nos últimos anos, que passaram a atuar em advocacy, atuando fortemente para ampliar o awareness e mudar políticas públicas, estendendo o cuidado com os pacientes e suas famílias.

A voz do paciente:

"O trabalho de um diretor de uma Associação de pacientes, é praticamente 24 horas."

Educação e Capacitação Profissional

A sensibilização dos profissionais da área de saúde, inclusive na atenção básica, é um conhecido entrave do sistema. Para fomentar o interesse e reforçar a capacitação, é preciso trabalhar:

- a falta de conhecimento e entendimento das doenças por todos os agentes envolvi-

dos na regulamentação e no controle das políticas;

- a consciência por parte de médicos e enfermeiros para identificar e diagnosticar efetivamente as enfermidades;
- a alta rotatividade de profissionais nas unidades do SUS, que prejudica o controle próximo e o acompanhamento do paciente;
- o desenvolvimento dos centros, com equipamentos e equipes adequadas.

A voz do paciente:

"Às vezes, não são os médicos. Os nossos maiores olheiros são, na verdade, os enfermeiros."

Impacto Orçamentário

Na estimativa da INTERFARMA, o incremento no orçamento seria diretamente proporcional ao número de pacientes beneficiados por protocolos, diagnósticos precoces e precisos, tratamentos adequados, medicação específica e supervisão de equipes especializadas.

Em contrapartida, cairiam os custos com a judicialização, que impactam significativamente os orçamentos federal, estadual e municipal, visto que englobam gastos com medicação, com os processos judiciais e com a seguridade social, além dos benefícios previdenciários a que têm direito pacientes e seus cuidadores. Acrescente-se ainda, a queda nas despesas com tratamentos desnecessários e incorretos e suas possíveis e frequentes complicações que requerem internações hospitalares, gerando mais custos.

SUMÁRIO DO IMPACTO ORÇAMENTÁRIO POR DOENÇA RARA

Indicação/ Doenças Rara	Estimados no Brasil	Pacientes tratados		Custo total/ano (R$ MM)		%Variação	
		Atualmente	Estimados com o protocolo	Atualmente	Estimados com o protocolo	Pacientes tratados	Custo total
Acromegalia	1.770	115	553	8,9	34,4	381%	288%
Cushing	8.300	0	45	0	3,0**	-	-
Fabry	1.769	612	772	269,9	340,4	26%	26%
Gaucher	2.588	734	1.000	465,5	511,9	36%	10%
HAE	3.100	300	300	182,2	147,1	0%	-19%
HAP	8.243	63	450	7,8	51,6	614%	566%
HPTEC	1.973	70	387	13,5	60,2	453%	346%
Lúpus Eritematoso Sistêmico	26.255	904	2.327	45,3	94,1	157%	108%
Mielofibrose	2.000	105	163	23,6	29,6**	55%	25%
MPS VI	250	155	162	194,2	163,8	5%	-16%
Nienmann-Pick	1.725	22	100	9,3	16,5	355%	78%
Pompe	3.450	106	120	119,5	110,9	13%	-7%
Tumor Neuroendócrino	100.000	44	69	5,1	6,5**	57%	27%
Total	161.423	3.230	6.448	1.345	1.570	100%	17%

Fonte: Dados fornecidos pela Interfarma, Datasus, estudos epidemiológicos publicados, bases proprietárias da QuintilesIMS.
*Observação: os cálculos, premissas e estimativas realizadas pela QI para este estudo foram baseados nas informações disponíveis de fácil acesso e sem a adoção de metodologias específicas ou validação com especialistas; não devem, portanto, ser adotados como referencial e fonte para outros fins (ex.: estudos, protocolos etc.).
**Para o cálculo de custo total no ano para estes indicados, a Interfarma adotou um fator de 0,5 por conta do delay para início de tratamento.

Conclusão

São inegáveis os avanços obtidos após a publicação da Portaria 199/2014, em especial o reconhecimento dos pacientes com doenças raras no País por meio de Protocolos Clínicos e serviços de saúde especializados. A experiência internacional corrobora essa visão, demonstrando que a política de implantação de centros de referência representa melhora significativa em todos os aspectos - sejam eles de natureza emocional, social, organizacional, cultural ou econômica. No entanto, passados três anos da promulgação, pacientes e familiares têm que trabalhar a frustração ao ver hospitais aguardando habilitação e a morosidade na publicação de PCDTs.

A necessidade de uma política nacional forte e expressiva se faz presente diante das regulações atuais, que desconsideram as especificidades dos medicamentos órfãos, afetando o acesso a tratamentos e impactando negativamente a saúde e a qualidade de vida dessas pessoas.

A voz do paciente:

"Existe uma portaria sem aplicabilidade. A gente não tem algo com a força de Lei."

O cenário econômico e o interesse do governo mantêm-se como barreiras a serem transpostas. Os recursos limitados da Saúde, a burocracia, os entraves políticos e crises, apesar do envolvimento de alguns deputados e senadores, contribuem para a lentidão dos avanços.

Nesse cenário, a Judicialização continua sendo uma das principais formas de acesso aos tratamentos, limitando-se, porém, aos que são mais esclarecidos ou que mantêm contato com associações mais preparadas. Além da indefinição de responsabilidades para pagadores privados (Agência Nacional de Saúde Suplementar), a legislação atual prejudica o interesse da indústria e não favorece o desenvolvimento de pesquisas clínicas.

A pressão por parte das associações de pacientes mostra-se essencial para manter a discussão e o interesse. A união dessas entidades fortaleceria a luta. O diálogo e a união com a indústria farmacêutica também são peças fundamentais para a aceleração dos processos de registro, definição de preços e negociações com o governo. Com objetivos transparentes e fiscalização sobre a atuação das indústrias farmacêuticas, esta parceria beneficiaria o objetivo final, pressionando positivamente as instituições governamentais.

Em resumo, o caminho para a ação é a união de setores, públicos e privados. Relações mais próximas entre todos os agentes e organizações, espelhadas nos modelos de sucesso em outros países, podem acelerar os processos e mudar a realidade nacional. Cursos de capacitação e gestão, treinamento de equipes, formação contínua de especialistas, incluindo geneticistas, e o fomento de pesquisas clínicas são algumas iniciativas para um avanço consistente das políticas de acesso. Por fim, a criação de uma Política Pública, ao invés de Portarias, pode reduzir a burocracia que atravanca o andamento do processo em todos os níveis.

AVISO DE CONFORMIDADE

De acordo com o Código de Conduta da INTERFARMA (Revisão 2016), esta publicação se caracteriza por:

- Ter conteúdo histórico e educacional sobre Saúde Pública;
- Estar disponível na internet sem restrição;
- Não ter valor comercial;
- Ser distribuída gratuitamente.

INTERFARMA

Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa

Rua Verbo Divino, 1488 – 7º andar – cj. 7A
CEP 04719-904 – Chácara Santo Antônio – São Paulo – SP
Tel.: (55 11) 5180-3499 – Fax: (55 11) 5183-4247

www.interfarma.org.br