

**REVISTA BRASILEIRA DE POLÍTICAS PÚBLICAS**  
**BRAZILIAN JOURNAL OF PUBLIC POLICY**

**Saúde e doenças raras:** análise da judicialização do acesso ao tratamento e suas limitações

**Health and rare diseases:** analysis of judicialization about access to treatment and its limitations

Danilo Henrique Nunes

Lucas de Souza Lehfeld

# Sumário

<b>PARTE 1: POLÍTICAS PÚBLICAS .....</b>	<b>17</b>
<b>1. POLÍTICAS PÚBLICAS: ASPECTOS GERAIS .....</b>	<b>18</b>
<b>UM MODELO POLÍTICO DE IMPLEMENTAÇÃO PARA AS POLÍTICAS PÚBLICAS: OS PAPÉIS DO DIREITO E DOS JURISTAS .....</b>	<b>20</b>
William H. Clune III	
<b>EVALUACIÓN DE LAS OBRAS PÚBLICAS EN GOBIERNOS LOCALES EN MÉXICO: DESAFÍOS DE LAS POLÍTICAS PÚBLICAS DE PARTICIPACIÓN CIUDADANA .....</b>	<b>83</b>
Louis Valentin Mballa e Arturo Bermúdez Lara	
<b>PATERNALISMO LIBERTÁRIO E POLÍTICAS PÚBLICAS: INTERVENÇÃO E TRANSPARÊNCIA .....</b>	<b>105</b>
Marcia Carla Pereira Ribeiro e Victor Hugo Domingues	
<b>2. POLÍTICAS PÚBLICAS E COVID-19 .....</b>	<b>121</b>
<b>LIMITES E POSSIBILIDADES PARA O USO SECUNDÁRIO DE DADOS PESSOAIS NO PODER PÚBLICO: LIÇÕES DA PANDEMIA .....</b>	<b>123</b>
Miriam Wimmer	
<b>EFICIÊNCIA DAS POLÍTICAS DE INOVAÇÃO NOS SETORES INDUSTRIAIS BRASILEIROS: SUGESTÕES PARA A CRISE DA COVID-19 .....</b>	<b>144</b>
Michelle Márcia Viana Martins e Chrystian Soares Mendes	
<b>COMPLIANCE EM TEMPOS DE CALAMIDADE PÚBLICA: ANÁLISE SOBRE A FLEXIBILIZAÇÃO DA TRANSPARÊNCIA DE DADOS E INFORMAÇÕES DURANTE O ENFRENTAMENTO DA COVID-19 NO BRASIL .....</b>	<b>169</b>
Luciana Cristina da Conceição Lima, Alcindo Fernandes Gonçalves, Fernando Cardoso Fernandes Rei e Cláudio Benvenuto de Campos Lima	
<b>3. POLÍTICAS PÚBLICAS E ACCOUNTABILITY .....</b>	<b>188</b>
<b>ACCOUNTABILITY E DESENHO INSTITUCIONAL: UM “PONTO CEGO” NO DIREITO PÚBLICO BRASILEIRO .....</b>	<b>190</b>
Danielle Hanna Rached	
<b>ESTRATÉGIAS REGULATÓRIAS DE COMBATE À CORRUPÇÃO .....</b>	<b>211</b>
Eduardo Jordão e Luiz Carlos Penner Rodrigues da Costa	

<b>O CONTROLE E A AVALIAÇÃO PELO TRIBUNAL DE CONTAS DA UNIÃO DAS POLÍTICAS PÚBLICAS IMPLEMENTADAS POR DESONERAÇÕES TRIBUTÁRIAS NO BRASIL .....</b>	<b>243</b>
Vinicius Garcia e Carlos Araújo Leonetti	
<b>4. POLÍTICAS PÚBLICAS EM MATÉRIA DE SAÚDE .....</b>	<b>266</b>
<b>A LIVRE OPÇÃO PELA CESARIANA: UM “NUDGE ÀS AVESSAS” .....</b>	<b>268</b>
Bruna Menezes Gomes da Silva e Júlio Cesar de Aguiar	
<b>AUTISMO: ASPECTOS JURÍDICOS DA ACESSIBILIDADE E RESPEITO .....</b>	<b>283</b>
Fabiana Barrocas Alves Farah e Danilo Fontenele Sampaio Cunha	
<b>SAÚDE E DOENÇAS RARAS: ANÁLISE DA JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO AO TRATAMENTO E SUAS LIMITAÇÕES.....</b>	<b>301</b>
Danilo Henrique Nunes e Lucas de Souza Lehfeld	
<b>5. OUTRAS POLÍTICAS PÚBLICAS EM ESPÉCIE .....</b>	<b>318</b>
<b>REGULAÇÃO DAS ÁGUAS: UMA ANÁLISE EMPÍRICA DA PRODUÇÃO NORMATIVA DOS ÓRGÃOS REGULADORES FEDERAIS .....</b>	<b>320</b>
Bianca Borges Medeiros Pavão, Natasha Schmitt Caccia Salinas e Thauany do Nascimento Vigar	
<b>“LET THE ALGORITHM DECIDE”: IS HUMAN DIGNITY AT STAKE?.....</b>	<b>343</b>
Marcela Mattiuzzo	
<b>DAS ACEPTÕES DOS DIREITOS DOS REFUGIADOS ÀS VOZES SILENCIADAS NAS POLÍTICAS PÚBLICAS.....</b>	<b>371</b>
Thaís Araújo Dias e Monica Mota Tassigny	
<b>PLANEJAMENTO FAMILIAR: “INIMIGO” A SER COMBATIDO, “ALIADO” LIBERTADOR OU FALSO “AMIGO”? .....</b>	<b>395</b>
Vinicius Ferreira Baptista	
<b>A AUSÊNCIA DE POLÍTICAS PÚBLICAS PARA A JUVENTUDE COMO OFENSA AOS DIREITOS HUMANOS .....</b>	<b>419</b>
William Timóteo e Ilzver de Matos Oliveira	
<b>ANÁLISE CÊNICA DOS FEMINICÍDIOS EM CURITIBA: PROPOSTAS PREVENTIVAS E REPRESSIVAS .....</b>	<b>433</b>
Ticiane Louise Santana Pereira, Octahydes Ballan Junior e Antonio Henrique Graciano Suxberger	
<b>ORIGIN AND CONSEQUENCES OF THE WAR ON DRUGS. FROM THE UNITED STATES TO ANDEAN COUNTRIES .....</b>	<b>451</b>
Silvio Cuneo e Nicolás Oxman	

<b>TRABALHO DECENTE: COMPORTAMENTO ÉTICO, POLÍTICA PÚBLICA OU BEM JURIDICAMENTE TUTELADO?</b> .....	<b>471</b>
Silvio Beltramelli Neto e Mônica Nogueira Rodrigues	
<b>EL FINAL DE UNA POLÍTICA PÚBLICA: ANÁLISIS DEL CICLO POLÍTICO DEL PROYECTO DESTINOS INDUCTORES PARA EL DESARROLLO TURISTICO REGIONAL (DIDTR) – BRASIL</b> .....	<b>496</b>
María Belén Zambrano Pontón, Magnus Luiz Emmendoerfer e Suely de Fátima Ramos Silveira	
<b>ALTERNATIVA TECNOLÓGICA PARA COMPENSAÇÃO DE CRÉDITOS DE ICMS: ESTUDO DE CASO DA VIABILIDADE DO USO DE DLT EM NOTA FISCAL ELETRÔNICA</b> .....	<b>520</b>
Danielle Mendes Thame Denny, Roberto Ferreira Paulo e Fernando Crespo Queiroz Neves	
<b>PARTE 2: TEMAS GERAIS</b> .....	<b>549</b>
<b>A CONSTRUÇÃO DO DIREITO HUMANO AO ALIMENTO NO PLANO INTERNACIONAL</b> .....	<b>551</b>
Tatiana de A. F. R. Cardoso Squeff	
<b>GRUPOS VULNERABLES DE ESPECIAL PROTECCIÓN POR PARTE DEL INSTITUTO NACIONAL DE DERECHOS HUMANOS (INDH) ¿EN QUIÉN PODRÍA Y DEBERÍA ENFOCARSE EN BASE A LA DOCTRINA Y A LA EXPERIENCIA COMPARADA IBEROAMERICANA?</b> .....	<b>571</b>
Juan Pablo Díaz Fuenzalida	
<b>EL SUFRAGIO ELECTRÓNICO COMO ALTERNATIVA AL SUFRAGIO TRADICIONAL: LUCES Y SOMBRAS DE UN DEBATE RECURRENTE</b> .....	<b>595</b>
David Almagro Castro, Felipe Ignacio Paredes Paredes e Edgardo Lito Andres Cancino	
<b>COGNOSCIBILIDADE E CONTROLE SOCIAL DA TRANSPARÊNCIA PÚBLICA SOB A ÉGIDE DA DEMODIVERSIDADE: ESTUDO EMPÍRICO DE PORTAIS ELETRÔNICOS MINISTERIAIS LATINO-AMERICANOS</b> .....	<b>621</b>
Ana Carolina Campara Verdum, Leonardo Fontana Trevisan e Rosane Leal da Silva	
<b>DESAFIOS E BENEFÍCIOS DA INTELIGÊNCIA ARTIFICIAL PARA O DIREITO DO CONSUMIDOR</b> .....	<b>655</b>
Sthéfano Bruno Santos Divino	
<b>QUEM TEM MEDO DA RESPONSABILIZAÇÃO SUBJETIVA? AS TEORIAS DA CONDUTA E DA IMPUTAÇÃO, PARA UM DIREITO ADMINISTRATIVO SANCIONADOR CONSTITUCIONALIZADO</b> .....	<b>690</b>
Sandro Lúcio Dezan e Paulo Afonso Cavichioli Carmona	
<b>A INSUFICIÊNCIA DE TRIBUTAÇÃO COMO FUNDAMENTO PARA O AFASTAMENTO DA RESERVA DO POSSÍVEL NA GARANTIA DO MÍNIMO EXISTENCIAL E DA DIGNIDADE HUMANA</b> .....	<b>711</b>
Dione J. Wasilewski e Emerson Gabardo	

# Saúde e doenças raras: análise da judicialização do acesso ao tratamento e suas limitações\*

## Health and rare diseases: analysis of judicialization about access to treatment and its limitations

Danilo Henrique Nunes\*\*

Lucas de Souza Lehfeld\*\*\*

### Resumo

O presente artigo reflete sobre as hipóteses em que o Poder Judiciário, obedecendo aos mandamentos constitucionais, busca a concretização dos direitos ali consagrados. Versa, principalmente, sobre a saúde e as doenças raras, juntamente a seu tratamento. Surge, então, a judicialização de políticas públicas, sendo uma intensificação do controle feito pelo Judiciário, face ao administrador. Os métodos serão o hipotético-dedutivo e de revisão de literatura e, a partir deles, procurar-se-á, com base nos dados coletados, inferir sobre o tema da judicialização das doenças raras, corroborando conceitos e teorias sobre os princípios do mínimo existencial e reserva do possível, para a sua aplicação em casos concretos trazidos em especial pela jurisprudência. Daí, se pode inferir que — no caso das doenças raras — é aplicável a judicialização como forma de efetivação desses direitos.

**Palavras-chave:** Saúde. Judicialização. Mínimo Existencial. Reserva do Possível. Doenças Raras.

### Abstract

The present study seeks to reflect on the hypotheses in which the Judiciary, obeying the constitutional commandments, seeks the realization of the rights enshrined therein. Mainly dealing with these about health, and rare diseases along with their treatment. Then, the judicialization of public policies arises, being an intensification of the control made by the Judiciary, vis-à-vis the administrator. The methods will be hypothetical-deductive and literature review and from them, it will be sought from the data collected to infer about the theme of the judicialization of rare diseases, corroborating with concepts and theories about the principles of minimum existence and reserve possible, for its application in specific cases brought about in particular by the jurisprudence. Hence, it can be inferred that — in the case of rare diseases — judicialization is applicable as a way of enforcing these rights.

**Keywords:** Health. Judicialization. Existential Minimum. Possible Reserve. Rare diseases.

\* Recebido em 15/02/2020  
Aprovado em 11/05/2020

\*\* Doutorando e Mestre em Direitos Coletivos e Cidadania pela Universidade de Ribeirão Preto/SP. E-mail: dhnunes@hotmail.com

\*\*\* Pós-Doutor em Direito. Doutor em Direito pela PUC/SP. Professor dos programas de Doutorado e de Mestrado em Direitos Coletivos e Cidadania pela UNiversidade de Ribeirão Preto/SP. E-mail: lehfeldrp@gmail.com

# 1 Introdução

Com a promulgação da Constituição da República Federativa do Brasil de 1988, doravante CRFB/1988, direitos sociais foram consagrados, dentre eles o direito à saúde. Desde então, este passou a ser responsabilidade do Estado, pois é seu dever implementá-lo por meio de políticas públicas. A ineficácia do Poder Público em promover essas políticas públicas enseja a busca dos cidadãos, para materializar seus direitos previstos na Lei Maior por meio do Poder Judiciário, conhecida, popularmente, como judicialização.

Com base nos métodos hipotético-dedutivo e de revisão de literatura, o trabalho versa sobre como o fenômeno da judicialização tem se tornado uma das alternativas mais utilizadas para dirimir questões relacionadas ao acesso de medicamentos, os quais, em alguns casos, encontram-se em fase de estudo e sem registro no país. Não obstante, as interferências do Poder Judiciário não têm sido vista com bons olhos pelos gestores, pois é considerada inadequada e temerária para a concessão de medicamentos. Muitas vezes não são fiscalizados e controlados, cujas observações de eficácia não são satisfatórias, o que gera, inclusive, uma grande oneração aos cofres públicos.

Delimitando a problemática e objetivando o estudo: no rol dos fármacos mais duvidosos, enredados em demandas judiciais, estão aqueles fora do Sistema Único de Saúde (SUS), medicamentos de alto custo, medicamentos “órfãos” e medicamentos sem eficácia comprovada, sobretudo, para tratamento de doenças raras. Com a evolução da medicina, ocorre a ascendência dessas doenças ditas raras, com o surgimento de inúmeros problemas de saúde pública, o que gera grandes reflexos, principalmente em países em desenvolvimento como o Brasil, tendo em vista a falta de incentivo dos governos para os fabricantes de medicamentos considerados “órfãos”.

As indústrias farmacêuticas são compostas de empresas multinacionais e seus interesses são, inúmeras vezes, destoantes dos desígnios sociais dos países nos quais realizam suas atividades. Não há, por parte do Estado, critérios objetivos para a inserção de novos “medicamentos órfãos” nos programas de saúde, em virtude da existência de ausência até mesmo de outros medicamentos já incorporados. Calcula-se que de 6 a 8% da população mundial sejam portadores de alguma doença considerada rara<sup>1</sup>.

No Brasil, estima-se que 13 milhões de pessoas que são portadores<sup>2</sup> de doenças consideradas raras. O número exato de doenças raras existentes ainda não é conhecido, estima-se haver cerca de 6 a 8 mil delas, das quais 80% são de origem genética, 75% se manifestam na infância, 95% ainda não possuem tratamento disponível, e 30% dos pacientes acometidos morrem antes dos cinco anos de idade<sup>3</sup>. Estes são os principais motivos que conduzem as pessoas a solicitação no Poder Judiciário, na esperança de obter direito ao acesso a esses medicamentos, ainda que, por algumas vezes, não sejam registrados no país<sup>4</sup>.

De acordo com a ORPHANET, existem cerca de 80 medicamentos órfãos implementados no continente Europeu<sup>5</sup>. Já em solo brasileiro, existem, aproximadamente, 35 medicamentos para o tratamento de doenças raras garantidos pelo SUS e somente 45 remédios “órfãos” registrados pela ANVISA para tratamento de 14 doenças raras<sup>6</sup>.

<sup>1</sup> EURORDIS. *O que é uma doença rara?*. Disponível em: <https://www.eurordis.org/pt-pt/content/o-que-e-uma-doenca-rara>. Acesso em: 27 ago. 2019.

<sup>2</sup> INTERFARMA. *INTERFARMA lança estudo sobre doenças raras no Brasil*. Disponível em: <https://www.interfarma.org.br/noticias/1546>. Acesso em: 27 ago. 2019.

<sup>3</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Doenças raras: o que são, causas, tratamento, diagnóstico e prevenção*. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/saude-de-a-z/doencas-raras>. Acesso em: 27 ago. 2019.

<sup>4</sup> CARVALHO, Victor Aguiar de. A judicialização da saúde sob o olhar da Análise Econômica do Direito: um exame dos incentivos ao ajuizamento e à solução extrajudicial de conflitos. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 308-326, dez. 2018. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/5676/pdf>. Acesso em: 08 maio 2020.

<sup>5</sup> ORPHANET. *Lists of medicinal products for rare diseases in Europe*. Disponível em: [https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list\\_of\\_orphan\\_drugs\\_in\\_europe.pdf](https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf). Acesso em: 27 ago. 2019.

<sup>6</sup> ARNOLD, Renée, et al. *The role of globalization in drug development and access to orphan drugs: orphan drug legislation in the US/EU*

Diante dessas condições, a busca de medicamentos não implementados e até não registrados se torna constante. Não obstante, do ponto de vista do Poder Executivo, financiar um tratamento de alto custo a uma minoria, além de causar-lhe considerável impacto orçamentário, é prejudicial, também, ao interesse coletivo, uma vez que os recursos investidos poderiam beneficiar parcela maior da população.

De outro lado, no entanto, a saúde é um direito reconhecido pelo artigo 196 da CRFB/1988, além disso, este reflete outros direitos fundamentais, tais como direito à vida, à dignidade, à integridade, entre outros. É patente que a superação desses impasses apenas ocorrerá de forma mais vigorosa por meio de um marco regulatório que pondere a respeito das características específicas relacionadas ao tratamento e viabilize formas de incentivar a ampliação e a implementação de novos medicamentos órfãos na lista do SUS. Ademais, isto deve ser feito sem o comprometimento de políticas públicas e o empenho voltado aos demais medicamentos.

## 2 Aspectos jurídicos da saúde no Brasil

No Brasil, durante os períodos colonial e imperial, as condições de higiene eram extremamente precárias devido à grande dimensão continental e à excessiva imigração que se dirigia ao país. Não obstante, não houve qualquer fomento por parte do Estado para melhorar as condições de vida, permanecendo por longos anos problemas sociais relacionados à saúde, devido à falta de condições sanitárias mínimas. Devido às inúmeras mortes causadas pela falta de condições mínimas de higiene e prevenção, surge, com a Constituição de 1824, o primeiro lampejo do que viria futuramente a ser a garantia do direito à saúde, previsto no seu artigo 179, inciso XXXI, com os seguintes dizeres: “A Constituição também garante os socorros públicos”<sup>7</sup> (sic). Nos anos seguintes, até a redemocratização, a efetividade do Estado em garantir o direito à saúde restou omissa, embora já houvesse normas constitucionais a garanti-lo, o que ocasionou exponencial crescimento em serviços privados de saúde.

Em 1966 foi reconhecido o direito à saúde como intrínseco do ser humano, na Assembleia Geral das Nações Unidas. Este deve ser garantido, minimamente, pelo Estado para que seja garantida a dignidade dos cidadãos ali estabelecidos.<sup>8</sup> O ano de 1986 foi um marco histórico para o direito à saúde no Brasil, pois ocorreu a 8ª Conferência Nacional da Saúde, momento em que, pela primeira vez, a saúde foi debatida como um direito. Além disso, foi proposta a reforma do Sistema Nacional de Saúde e de novas diretrizes para uma reforma sanitária.<sup>9</sup> Tal conferência passou a considerar o direito a saúde da seguinte forma:

é a garantia, pelo Estado, de condições dignas de vida e de acesso universal e igualitário às ações e serviços de promoção, proteção e recuperação de saúde, em todos os seus níveis, a todos os habitantes do território nacional, levando ao desenvolvimento pleno do ser humano em sua individualidade.<sup>10</sup>

Embora, a partir de 1986, o direito à saúde tenha ganhado maior atenção, somente com a CRFB/1988 o direito à saúde foi consagrado como um direito fundamental, com previsão no artigo 196. Ou seja, com o surgimento da “Carta Cidadã”, o direito à saúde se tornou um direito subjetivo de todos, exigindo do Estado uma prestação positiva, de modo a garantir a efetividade desse direito consagrado.

and in Latin America. Disponível em: <https://f1000research.com/articles/4-57/v1>. Acesso em: 18 set. 2019.

<sup>7</sup> BRASIL. Constituição (1824). *Constituição Política do Império do Brasil*. Disponível em: [http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/constituicao/constituicao24.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao24.htm). Acesso em: 18 set. 2019.

<sup>8</sup> BALERA, Wagner; SILVEIRA, Vladimir Oliveira da. (coord.); COUTO, Mônica Bonetii (org.). *Comentários ao Pacto Internacional dos Direitos Econômicos, Sociais e Culturais*. Curitiba: Clássica, 2013. p. 46

<sup>9</sup> STROZENBERG, Flora; LEITE, Luiz Otávio Ferreira Barreto. *Políticas Públicas de saúde no Brasil: gestão e judicialização*. Rio de Janeiro: Altadena, 2016. p. 310-334.

<sup>10</sup> BRASIL. *8ª Conferência Nacional de Saúde*. Relatório Final, 2011. Disponível em: [http://bvsm.sau.gov.br/bvs/publicacoes/8\\_conferencia\\_nacional\\_saude\\_relatorio\\_final.pdf](http://bvsm.sau.gov.br/bvs/publicacoes/8_conferencia_nacional_saude_relatorio_final.pdf) Acesso em: 23 set. 2018.

Tal atuação Estatal está expressamente prevista no artigo 197 da CRFB/1988. Sendo assim, há de se atentar que a saúde é um direito essencial ao ser humano e, tendo o *status* que possui, deve o Estado, como função precípua do dever-fazer, por meio de seus poderes, a implementação de tal direito, caso contrário ocorrerá o descumprimento de um mandamento constitucional.

O direito à saúde pode ser individual ou coletivo, sendo efetivado por meio de ações específicas do Poder Público no primeiro caso, e políticas públicas coletivas no segundo.<sup>11</sup> Em relação à garantia do direito à saúde pelo Estado, vale ressaltar que a criação de políticas públicas são realizadas no exercício do poder discricionário, conforme já explicado no capítulo anterior, no qual o Poder Público age com base nos critérios de conveniência e oportunidade, com intuito de utilizar recursos de acordo com as possibilidades orçamentárias e as demandas sociais.

Imprescindível, ainda, destacar que o Ente Estatal deve buscar o acesso mais amplo possível aos indivíduos, de modo a garantir o acesso do direito a saúde a todos, sem distinção, pois se trata de um direito universal no qual todos possuem o direito de se beneficiar. Logo, as políticas públicas devem ser desenvolvidas de modo a garantir o acesso a todos e a cada um individualmente.<sup>12</sup> Desse modo, verifica-se que, na realidade brasileira, a falta de efetividade dos direitos fundamentais sociais, sobretudo o direito à saúde, deve-se à precariedade da implementação de políticas públicas, já que há um vasto rol de normas constitucionais e infraconstitucionais garantindo tais direitos, tornando-se um problema na execução, e não em suas garantias.

## 2.1 O Sistema Único de Saúde (SUS)

Com a chegada da CRFB/1988, foi instituído o modelo básico de organização da prestação do serviço público de saúde no Brasil, um sistema único de saúde, o qual ficou responsável pelo integral atendimento universal da população<sup>13</sup>, nos termos do artigo 198, incisos I a III, da Carta Maior. Já as atribuições de tal sistema — Sistema Único de Saúde — estão discriminadas no art. 200 da CRFB/1988. Após a Constituição tratar sobre o Sistema Único de Saúde (SUS), surgiu a Lei Orgânica da Saúde (Lei n.º 8.080/1990), que estabeleceu as diretrizes para seu devido funcionamento. Entre as diretrizes, é determinada a participação da iniciativa privada no SUS, com atuação em caráter complementar para amenizar a escassez de recursos públicos.

O SUS é organizado de forma hierarquizada e descentralizada. O gestor nacional é o Ministério da Saúde, responsável por formular, normatizar, fiscalizar, monitorar e avaliar as políticas e ações do Sistema, em parceria com o Conselho Nacional da Saúde.<sup>14</sup> Os Conselhos de Saúde possuem âmbitos de atuação diversificados (nacional, estadual e municipal), são órgãos colegiados e atuam na formulação de estratégias e no controle da execução de políticas públicas. Além disso, os estados e municípios contam com a presença de Secretarias de Saúde, que controlam as ações e os serviços de saúde em seu âmbito respectivo.<sup>15</sup>

Existem, também, outros Conselhos e Comissões que fazem parte do SUS, e são responsáveis por atribuições específicas e direcionadas, permitindo melhor eficácia para realização de políticas públicas de saúde implementadas pelo Estado. Ainda no plano infraconstitucional, existe a Lei n.º 8.124/1990 que disciplina

<sup>11</sup> VENTURA, Miriam; SIMAS, Luciana; PEPE, Vera Lucia Edais; SCHRAMM, Fermin Roland. Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde. *Physis: Revista de Saúde Coletiva*, Rio de Janeiro, v. 20, n. 1, p. 214, 2010.

<sup>12</sup> MENDES, Gilmar Ferreira; COELHO, Inocêncio Mártires; BRANCO, Paulo Gustavo Gonet. *Curso de Direito Constitucional*. 4. ed. São Paulo: Saraiva, 2009. p. 644

<sup>13</sup> FREITAS, Márcia Araújo Sabino de; ARAÚJO, Maria Rizonide Negreiros de. As redes de atenção à saúde nos 30 anos do Sistema Único de Saúde: histórias, propostas e desafios. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 15-33, dez. 2018. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/5739/pdf>. Acesso em: 08 maio 2020.

<sup>14</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Estrutura do SUS*. Disponível em: <<http://portalm.s.saude.gov.br/index.php/sistema-unico-de-saude/estrutura-do-sus>>. Acesso em: 23 set. 2019.

<sup>15</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Responsabilidade dos Entes*. Disponível em: <<http://portalm.s.saude.gov.br/index.php/sistema-unico-de-saude/responsabilidade-dos-entes>>. Acesso em: 23 set. 2019.

acerca da aplicação dos recursos financeiros para a efetivação da garantia do direito à saúde e dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do SUS. Desse modo, criou-se uma estrutura normativa específica para o Sistema, conforme esclarece Nádia Marques<sup>16</sup>:

podemos destacar que os principais marcos normativos após a Constituição Federal são: a Lei 8078/90, que dispõe sobre a proteção do consumidor e organiza o Sistema Nacional de Proteção ao Consumidor; a Lei 8080/90, que dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes, organizando o Sistema Único de Saúde; Decreto nº 109/91, que reorganiza o Ministério da Saúde, trazendo para sua estrutura o Instituto Nacional de Assistência Médica da Previdência Social; a Portaria 1565/94, que define o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária, estabelecendo as bases para a descentralização dos serviços e ações; a Lei 9782/99, que cria a Agência Nacional de Vigilância Sanitária; o Decreto 793/93, que estabelece a obrigatoriedade de colocação da denominação genérica de medicamentos e a Lei 9787/99, que transforma parte de suas fundamentações em Lei.

A competência nas atribuições relacionadas à saúde é comum entre os entes federados, ou seja, tanto a União, os Estados, o Distrito Federal e os Municípios são solidariamente responsáveis por garantir o direito à saúde aos cidadãos. A atribuição de competência relativa à saúde é comum entre os entes federativos.

O principal financiador do sistema público de saúde é a União, por meio do Ministério da Saúde. Já os Estados promovem suas próprias políticas públicas, por meio das Secretarias de Estado de Saúde, custeado por seu próprio orçamento e pelos recursos repassados pela União. Os Municípios também recebem recursos da União e do Estado em que estiverem para desenvolverem suas políticas de saúde em âmbito municipal.

Após o advento da Emenda Constitucional n.º 29/2000, tornou-se possível a intervenção federal nos Estados que descumpriram a aplicação mínima exigida da receita resultante dos impostos estaduais nos serviços públicos de saúde, conforme prevê o artigo 34, inciso VII, alínea “e”, da CRFB/1988. Pelo exposto, há de se reconhecer que o Sistema Único de Saúde foi tratado pelo constituinte para estabelecer a efetividade na prestação do direito à saúde, devendo-se considerar, principalmente, os princípios da efetividade, hierarquização e descentralização, além da universalização, equidade e integralidade.

A saúde, como um direito fundamental do cidadão, exige do Estado atuação positiva e efetiva, para que sejam atendidas todas as demandas e necessidades sociais de acordo com o mandamento constitucionalmente previsto, por meio de ações integradas, ditas políticas públicas. Entretanto, na realidade social brasileira:

um dos principais desafios para o Sistema Único de Saúde é resolver os problemas histórico-estruturais do sistema de saúde, com destaque para a superação das profundas desigualdades em saúde, com o respeito à diversidade regional e local, vindo a acarretar uma mudança substantiva no papel do Estado nas três esferas de governo, o fortalecimento da gestão pública com finalidades diferenciadas no âmbito nacional, estadual e municipal, a definição de competências para cada esfera de governo e o desenvolvimento de ações, no intuito de articular princípios nacionais de política com decisões e parâmetros locais e regionais.<sup>17</sup>

Após mais de 30 anos do surgimento do SUS, apesar do espírito idealizado pelo constituinte, o que se tem visto na realidade brasileira é a ineficiência na prestação dos serviços de saúde e as dificuldades na efetivação dos tratamentos, especialmente no que se refere à obtenção de medicamentos, conforme será exposto adiante.

<sup>16</sup> MARQUES, Nádia Rejane Chagas. *O Direito à Saúde no Brasil: Entre a norma e o fato*. Porto Alegre: Editora Núria Fabris, 2012. p.116-117.

<sup>17</sup> MARQUES, Nádia Rejane Chagas. *O Direito à Saúde no Brasil: Entre a norma e o fato*. Porto Alegre: Editora Núria Fabris, 2012. p. 124.

### 3 Fornecimento de medicamentos pelo SUS e o papel da ANVISA

Uma das grandes formas de atuação do SUS é quanto ao fornecimento de medicamentos a população de forma gratuita. A lista de medicamentos a serem fornecidos pelo SUS é realizada por portaria do Ministério da Saúde. Esse órgão busca trazer os medicamentos essenciais que o Estado deverá fornecer à população<sup>18</sup>. Convém destacar que o fornecimento gratuito de medicamentos aos usuários do SUS encontra previsão no art. 6º da Lei n.º 8.080/1990. Assim, os fármacos distribuídos pelo SUS devem incorporar a totalidade do tratamento necessário ao beneficiário. Com a necessidade de regular o fornecimento farmacêutico, foram criados conjuntos normativos que disciplinaram a: aquisição, fornecimento, produção e descarte desses medicamentos. Tais medicamentos imprescindíveis ao tratamento dos pacientes atendidos na rede pública devem ser fornecidos de forma gratuita.

Houve, também, por meio do Decreto n.º 5.090/2004, o surgimento do Programa da Farmácia Popular do Brasil, no qual passou a disponibilizar medicamentos a preço acessível aos usuários da rede privada. Esse programa se desenvolveu por meio de convênios entre os entes, gerando medicamentos de baixo custo para os cidadãos.<sup>19</sup>

O controle e a fiscalização dos medicamentos fornecidos no país são exercidos pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA, criada pela Lei n.º 9.782/1999, sendo uma autarquia de regime especial, sediada no Distrito Federal e atuante em todo o território brasileiro por meio das coordenações de portos, aeroportos, fronteiras e recintos alfandegados. Tem por finalidade institucional promover a proteção da saúde da população, por intermédio do controle sanitário da produção e consumo de produtos e serviços submetidos à vigilância sanitária, inclusive dos ambientes, dos processos, dos insumos e das tecnologias a eles relacionados, bem como o controle de portos, aeroportos, fronteiras e recintos alfandegados.<sup>20</sup>

O artigo 8º, §1º, inciso I, da Lei n.º 9.782/1999 determina que “incumbe à Agência, respeitada a legislação em vigor, regulamentar, controlar e fiscalizar os produtos e serviços que envolvam risco à saúde pública” além de “considerar que bens e produtos submetidos ao controle e fiscalização sanitária pela Agência”, especialmente, os “medicamentos de uso humano, suas substâncias ativas e demais insumos, processos e tecnologias”. Desse modo, todos os fármacos e substâncias disponibilizadas no Brasil devem ser registradas na referida Agência. Além disso, a respeito da assistência farmacêutica existente no país, é fundamental esclarecer que o Ministério da Saúde exerce grande atuação em ações desenvolvidas para assegurar o acesso aos medicamentos requeridos pela população. A distribuição de medicamentos pelo SUS para seus usuários se dá por meio de três formas: Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF)<sup>21</sup>, Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (CESAF)<sup>22</sup> e Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)<sup>23</sup>. No Componente Básico de Assistência à Saúde, estão, em sua lista, medicamentos direcionados aos planejamentos de saúde da Atenção Básica, ou seja, voltados ao atendimento inicial dos usuários. Na Atenção Básica, os propósitos principais são a prevenção, o tratamento de doenças mais simples ou o direcionamento de pacientes com enfermidades mais complexas para atendimentos mais específicos. No com-

<sup>18</sup> ARAÚJO, Kammilla Eric Guerra de; QUINTAL, Carlota Maria Miranda. A judicialização do acesso aos medicamentos em belo horizonte: uma questão sobre equidade. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 213-236, dez. 2018, p. 231. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/5689/pdf>. Acesso em: 09 maio 2020.

<sup>19</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Farmácia Popular*. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/acoes-e-programas/farmacia-popular>. Acesso em: 23 set. 2019.

<sup>20</sup> BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. *Institucional*. Disponível em: <http://portal.anvisa.gov.br/institucional>. Acesso em: 23 set. 2019.

<sup>21</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Componente Básico de Assistência Farmacêutica*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmacologica/medicamentos-rename/componente-basicoda-assistencia-farmacologica-cbaf>. Acesso em: 23 set. 2019.

<sup>22</sup> BRASIL. *Componente Estratégico de Assistência Farmacêutica*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmacologica/medicamentos-rename/cesaf>. Acesso em: 23 set. 2019.

<sup>23</sup> BRASIL. *Componente Especializado de Assistência Farmacêutica*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmacologica/medicamentos-rename/componenteespecializado-da-assistencia-farmacologica-ceaf>. Acesso em: 23 set. 2019.

ponente Estratégico, procura-se a prevenção e o tratamento de doenças endêmicas, isto é, doenças de alta incidência em determinadas regiões. Nesse componente, a aquisição dos fármacos é realizada pelo governo federal, por meio do Ministério da Saúde, que os repassa aos Estados e, se necessário, são distribuídos aos municípios. Como exemplo, há a existência de programas de combate à tuberculose, ao HIV, à hanseníase, entre outros. Por último, o componente Especializado atenta-se com a garantia de acesso aos medicamentos disponibilizados. Esse componente guarda íntima relação com a atenção básica, visto que o tratamento se inicia naquele nível. Dessa forma, com o fito de garantir a integralidade do tratamento, conta-se com a integração de todos os entes responsáveis pela efetividade dos programas de saúde disponibilizados pelo SUS.

Tais componentes supracitados compõem a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). O RENAME integra todos os medicamentos disponibilizados pelo SUS, servindo como base para os municípios, de acordo com a realidade de cada local.<sup>24</sup> É necessário verificar em qual Componente está incluso o medicamento requerido, já que o fornecimento dos medicamentos pode variar de acordo com a sua classificação.

Os fármacos distribuídos pelo SUS são divididos em duas categorias: os básicos ou essenciais e os excepcionais. Os básicos ou essenciais são os utilizados para o tratamento de doenças mais comuns, de modo que devem estar disponíveis no SUS de forma permanente. Já os medicamentos excepcionais são indicados para doenças mais graves. Deve-se salientar que as divisões em categorias de componentes e medicamentos giram em torno da criação de políticas públicas do país que consideram o orçamento disponível para atingir a demanda social. Desse modo, a Organização Mundial de Saúde (OMS) forneceu uma lista de medicamentos dos quais ela considera essenciais para o desenvolvimento de políticas públicas com finalidade de orientar os países. Com relação aos medicamentos de alto custo, não houve qualquer orientação, de modo que cada país pudesse avaliar sua realidade social, com análise de suas necessidades e possibilidades.<sup>25</sup> Por último, deve-se esclarecer que a RENAME sofre inúmeras alterações buscando adequação à realidade social do Brasil e que essa relação de medicamentos tem o papel de garantir a racionalização do uso de recursos públicos, sobretudo por meio da utilização de fármacos de menor custo que garantam a mesma eficácia.<sup>26</sup>

## 4 Doenças raras e medicamentos órfãos

De acordo com a Organização Mundial da Saúde (OMS), são caracterizadas como doenças raras aquelas que possuem uma prevalência menor ou igual a 65 casos a cada 100.000 habitantes.<sup>27</sup> São conhecidas cerca de 7.000 tipos de doenças raras, sendo em 85% dos casos de origem genética. Estima-se que existam 13 milhões de pessoas portadoras de algum tipo de doença rara no Brasil, sendo 75% desse número crianças, conforme a pesquisa da Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa (Interfarma).<sup>28</sup>

Em âmbito brasileiro, apenas em meados dos anos 2000, o olhar para as questões que envolvem as doenças raras passou a existir de forma mais concreta com a criação de um grupo focado em genética clínica no SUS e, posteriormente, com a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. No entanto, essas

<sup>24</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Rename*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmaceutica/medicamentos-rename>. Acesso em: 24 set. 2019.

<sup>25</sup> WORLD HEALTH ORGANIZATION. The Use of Essential Drugs. Seventh Report of the WHO Expert Committee (including the revised Model List Essential Drugs). *WHO Technical Report Series 867*: Geneva, 1997. Disponível em: [https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/41938/WHO\\_TRS\\_867.pdf;jsessionid=2B7144452005A702BB15A54667D542CF?sequence=1](https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/41938/WHO_TRS_867.pdf;jsessionid=2B7144452005A702BB15A54667D542CF?sequence=1). Acesso em: 24 set. 2019.

<sup>26</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Relação Nacional de Medicamentos Essenciais*. Disponível em: [http://bvmsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao\\_nacional\\_medicamentos\\_rename\\_2017.pdf](http://bvmsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_rename_2017.pdf). Acesso em: 24 set. 2019.

<sup>27</sup> RARAS por quê? Disponível em: <https://muitosomossraros.com.br/visao-geral/raras-porque/>. Acesso em: 25 set. 2019.

<sup>28</sup> INTERFARMA. *Doenças raras: a urgência do acesso a saúde*. Disponível em: <https://www.interfarma.org.br/public/files/biblioteca/doencas-raras--a-urgencia-do-acesso-a-saude-interfarma.pdf>. Acesso em: 25 set. 2019.

políticas eram limitadas a doenças de origem genética. Somente em 2014 foi publicada a Portaria GM/MS n.º 199 que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras que representou um avanço para os portadores. Não obstante, o Brasil ainda tem muito a evoluir em melhoras de políticas públicas dessa temática, já que ainda não há uma legislação que facilite e incentive às indústrias a desenvolver pesquisas sobre novas tecnologias de tratamento<sup>29</sup>. De acordo com o Ministério da Saúde, atualmente as principais doenças raras encontram-se elencadas no quadro abaixo:

Quadro 1 – principais doenças raras

PRINCIPAIS DOENÇAS RARAS	
ACROMEGALIA	ANEMIA APLÁSTICA, MIELODISPLASIA E NEUTROPENIAS
ANGIOEDEMA	APLASIA PURA ADQUIRIDA CRÔNICA DA SÉRIE VERMELHA
ARTRITE REATIVA	BIOTINIDASE
DEFICIÊNCIA DE HORMÔNIO DO CRESCIMENTO – HIPOFISARISMO	DERMATOMIOSITE E POLIMIOSITE
DIABETE INSÍPIDO	DISTONIAS E ESPASMO HEMIFACIAL
DOENÇA DE CROHN	DOENÇA FALCIFORME
DOENÇA DE GAUCHER	DOENÇA DE HUNTINGTON
DOENÇA DE MACHADO-JOSEPH	DOENÇA DE PAGET – OSTEÍTE DEFORMANTE
DOENÇA DE WILSON	EPIDERMÓLISE BOLHOSA
ESCLEROSE LATERAL AMIOTRÓFICA	ESCLEROSE MÚLTIPLA
ESPONDILITE ANCILOSANTE	FEBRE MEDITARRÂNEA FAMILIAR
FENILCETONÚRIA	FIBROSE CÍSTICA
FILARIOSE LINFÁTICA	HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA
HEPATITE AUTOIMUNE	HIPERPLASIA ADRENAL CONGÊNITA

<sup>29</sup> MATOS, Amanda Mendonça. *Doenças raras e a judicialização para obtenção de medicamentos no Brasil*. Brasília: Ebooks, 2017. p. 19.

PRINCIPAIS DOENÇAS RARAS	
HIPERTENSÃO ARTERIAL PULMONAR	HIPOPARATIREOIDISMO
HIPOTIROIDISMO CONGÊNITO	ICTIOSES HEREDITÁRIAS
IMUNODEFICIÊNCIA PRIMÁRIA COM PREDOMINÂNCIA DE DEFEITOS DE ANTICORPOS	INSUFICIÊNCIA ADRENAL CONGÊNITA
INSUFICIÊNCIA PANCREÁTICA EXÓCRINA	LEUCEMIA MIELÓIDE CRÔNICA
LÚPUS ERITEMATOSO SISTÊMICO	MIASTENIA GRAVIS
MIELOMA MÚLTIPLO	MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO I e II
OSTEOGÊNESE IMPERFEITA	PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA IDIOPÁTICA
SARCOMA DAS PARTES MOLES	SÍNDROME HEMOLÍTICO-URÊMICA ATÍPICA
SÍNDROME DE CUSHING	SÍNDROME DE GUILLAIN-BARRÉ
SÍNDROME DE TURNER	SÍNDROME NEFRÓTICA PRIMÁRIA EM CRIANÇAS E ADOLESCENTES
TALASSEMIAS	TUMORES NEUROENDÓCRINOS

Fonte: adaptado de Ministério da Saúde.<sup>30</sup>

Doenças raras, como o próprio nome indica, são doenças de baixíssima incidência e, por consequência, o número de medicamentos disponíveis no mercado para tratamento destas são ínfimos. Já os existentes, tanto por falta de concorrência quanto pelo alto investimento e baixa produção são vendidos a valores altíssimos em comparação com medicamentos para a maioria dos tratamentos de doenças mais comuns.<sup>31</sup> Devido à dificuldade em ser diagnosticada e as características de cronicidade, gravidade e por serem muitas vezes degenerativas ou progressivas, as doenças raras apresentam alto índice de mortalidade e dificuldade no tratamento.

Diante tal panorama, os portadores de tais doenças, bem como suas famílias, são predispostos a se tornarem vulneráveis no âmbito social, econômico e psicológico devido à existência de preconceitos, falta de recursos e carência de tratamentos.

Vale salientar que a maioria dessas doenças, ainda, não apresentam informações sobre causa, desenvolvi-

<sup>30</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. *Doenças Raras*. Acesso em: <http://bvsmms.saude.gov.br/ultimas-noticias/2909-28-02-dia-mundial-das-doencas-raras>. Acesso em: 20 set. 2019.

<sup>31</sup> INTERFARMA. *Doenças Raras: Contribuições para uma Política Nacional*. Edições Especiais de Saúde. ed. São Paulo: Ativa Online Editora e Serviços Gráficos, v. V, 2013. Disponível em: <https://www.interfarma.org.br/public/files/biblioteca/14-Doencas%20Raras%20-%20site.pdf> Acesso em: 16 set. 2019.

mento e cura, como consequência da carência de pesquisas e estudos nesse campo. A discussão sobre doenças raras exige a abordagem sobre seu tratamento, os denominados medicamentos órfãos. Vale ressaltar que, em apenas 5,1% das doenças raras, existe algum tipo de tratamento, em 1,8% dos casos o tratamento se dá com o uso de medicamentos órfãos, os restantes dos tratamentos são meramente paliativos.<sup>32</sup> Medicamentos órfãos, segundo a EURORDIS (*European Organisation for Rare Diseases*), são aqueles dirigidos para a cura ou a paralisação do avanço de doenças raras. Essas drogas, por se limitarem a um pequeno grupo de pessoas, geralmente sofrem relutância em serem produzidas, já que, em condições normais de comércio, não será possível a indústria farmacêutica recuperar o capital investido nos estudos e desenvolvimento da droga, ocorrendo assim a demasiada onerosidade do produto.<sup>33</sup> Os portadores dessas doenças não podem ficar em zona periférica aos avanços da ciência, somente por lhe faltarem verbas para a concretização de seus tratamentos, possuindo o direito da dignidade da pessoa humana, entre todos os outros direitos fundamentais elencados em nossa Constituição, devendo o Estado estabelecer o acesso a tais medicamentos. Várias estratégias devem ser aplicadas para implementação do direito do portador da doença, sendo a principal o acesso ao judiciário.

#### 4.1 Da judicialização de medicamentos órfãos

Primeiramente deve se ressaltar o alto custo desses medicamentos. Sob o aspecto de uma política pública de saúde, custear um tratamento extremamente oneroso resulta em uma perturbação orçamentária considerável, que servirá para uma minoria de indivíduos e que resultará em um desvio de orçamentos mais abrangente, de modo geral aos cidadãos, em serventia de uma pequena quantidade de pessoas, prejudicando, dessa forma, o interesse público da coletividade.

Todavia, esse círculo restrito de pessoas deverá ter tratamento para poderem ter uma vida igual ao restante dos cidadãos, o fato de possuírem uma doença rara não pode constituir óbice a obterem o mínimo existencial de dignidade, bem como não pode impedir a implementação do direito fundamental aqui tratado, isto é, à saúde<sup>34</sup>. Complementa Rui Barbosa:

a regra da igualdade não consiste senão em aquinhoar desigualmente aos desiguais, na medida em que se desiguam. Nesta desigualdade social, proporcionada à desigualdade natural, é que se acha a verdadeira lei da igualdade. O mais são desvarios da inveja, do orgulho ou da loucura. Tratar com desigualdade a iguais, ou a desiguais com igualdade, seria desigualdade flagrante, e não igualdade real.<sup>35</sup>

A judicialização de medicamentos órfãos para tratamentos de doenças raras representa um número expressivo de ações (que acarreta um déficit orçamentário<sup>36</sup>), e tem como principal questão o alto valor atribuído pela indústria farmacêutica a esses medicamentos. É grande o número de pessoas que necessitam desses fármacos para uso contínuo sem possuir condições financeiras para o acesso. Com a negativa de fornecimento pelo sistema público, esses indivíduos acessam a via judicial para obterem esse pleito.<sup>37</sup> A utili-

<sup>32</sup> SOCIEDADE BRASILEIRA DE PEDIATRIA. *Dificuldades de diagnóstico e de tratamento ainda são destaque no Dia Mundial das Doenças Raras*. Disponível em: <https://www.sbp.com.br/imprensa/detalhe/nid/dificuldades-de-diagnostico-e-de-tratamento-ainda-sao-destaque-no-dia-mundial-das-doencas-raras/>. Acesso em: 28 set. 2019.

<sup>33</sup> EURORDIS. *About Orphan Drugs*. Disponível em: <https://www.eurordis.org/about-orphan-drugs>. Acesso em: 28 set. 2019.

<sup>34</sup> COSTA, Fabricio Veiga; MOTTA, Ivan Dias; ARAUJO, Dalvaney Aparecida. Judicialização da saúde: a dignidade da pessoa humana e a atuação do Supremo Tribunal Federal no caso dos medicamentos de alto custo. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 7, n. 3, p. 845-874, 2017. p. 862. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/4809/3640>. Acesso em: 09 maio 2020.

<sup>35</sup> BARBOSA, Rui. *Oração Aos Moços*. Disponível em: [http://www.casaruibarbosa.gov.br/dados/DOC/artigos/rui\\_barbosa/FCRB\\_RuiBarbosa\\_Oracao\\_aos\\_mocos.pdf](http://www.casaruibarbosa.gov.br/dados/DOC/artigos/rui_barbosa/FCRB_RuiBarbosa_Oracao_aos_mocos.pdf). Acesso em: 29 out. 2019.

<sup>36</sup> DIAS, Maria Socorro de Araújo; GOMES, Diógenes Farias; DIAS, Thaís Araújo; SILVA, Lielma Carla Chagas da; BRITO, Maria da Conceição Coelho; CARNEIRO NETO, Manoel de Castro. Judicialização da saúde pública brasileira. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 6, n. 2, p. 133-146, 2016. p. 134. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/4012/pdf>. Acesso em: 09 maio 2020.

<sup>37</sup> PEPE, V. L. E. et al. A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. *Ciência & Saúde Coletiva*,

zação da via judicial para obtenção de medicamentos constantes nas listas oficiais públicas é uma via legítima de garantir o exercício integral do direito à assistência terapêutica, porém, algumas das demandas judiciais são de medicamentos não padronizados pelo SUS. No entanto, de acordo com a jurisprudência brasileira, é obrigação do poder público fornecer medicamentos que estão fora da lista do Sistema Único de Saúde (SUS), desde que presentes três requisitos: laudo médico que comprove a necessidade do produto, incapacidade financeira do paciente e registro do remédio na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Conforme estabeleceu o Superior Tribunal de Justiça ao julgar o REsp n.º 1.657.156<sup>38</sup>:

a concessão dos medicamentos não incorporados em atos normativos do SUS exige a presença cumulativa dos seguintes requisitos: (i) Comprovação, por meio de laudo médico fundamentado e circunstanciado expedido por médico que assiste o paciente, da imprescindibilidade ou necessidade do medicamento, assim como da ineficácia, para o tratamento da moléstia, dos fármacos fornecidos pelo SUS; (ii) incapacidade financeira de arcar com o custo do medicamento prescrito; (iii) existência de registro do medicamento na Anvisa, observados os usos autorizados pela agência.

No entanto, o caso se torna mais hermético com a existência de solicitações de medicamentos recém-lançados no mercado em que não há registro na ANVISA ou estudos clínicos suficientes para a comprovação de eficácia clínica do tratamento. Mas, ainda assim, o paciente, na esperança de alguma melhora, tenta acessá-lo via judicial.<sup>39</sup> Sendo assim, ressalta-se que, nem sempre, os casos em que o Estado se nega a subsidiar o tratamento são puramente baseados em argumentos orçamentários. Outro grande problema refere-se à incorporação do medicamento órfão ao registro da Anvisa, visto que muitos desses medicamentos foram recém-descobertos e ainda não foram analisados pela agência. Segundo a legislação da Anvisa, conforme prevê a Lei n.º 13.411/2016, os prazos máximos para a decisão final nos processos de registro serão:

I – para a categoria prioritária, de 120 (cento e vinte dias) e de 60 (sessenta dias), contados a partir da data do respectivo protocolo de priorização; II – para a categoria ordinária, de 365 (trezentos e sessenta e cinco dias) e de 180 (cento e oitenta dias), contados a partir da data do respectivo protocolo de registro.<sup>40</sup>

Essa legislação não vem sendo cumprida, com demora de anos para um medicamento receber o registro. Conquanto o doente não pode ficar ao alvedrio da morosidade da Agência, visto o risco de vida cada vez mais iminente para cada dia postergado. Assim, como a Constituição garante a todos o direito à saúde, incluindo tratamentos e fornecimento de medicamentos, essas pessoas devem ter acesso aos fármacos, desde que haja comprovação de eficácia e segurança dos mesmos. Conforme nos esclarece Fernando Aith<sup>41</sup>: são três os fundamentos para esse critério: o medicamento deve ser mais efetivo que o medicamento disponível, mais seguro que o aprovado e, no caso de não haver outro medicamento, este novo produto, deve contribuir significativamente para o tratamento do paciente.

Porém, com o advento da judicialização, alguns problemas surgiram, sendo eles: i) déficit financeiro do Estado por precisar adquirir medicamentos não previstos em orçamento, utilizando da verba para compra de medicamentos não previstos; ii) falta de medicamento a pacientes já cadastrados no programa de distribuição; iii) novos casos de judicialização, de indivíduos que já estavam devidamente cadastrados no programa de distribuição de medicamentos e regularmente recebendo seus medicamentos.

p. 2405-2414, 2010.

<sup>38</sup> BRASIL. STJ. *RECURSO ESPECIAL: REsp 1657156 RJ 2017/0025629-7*. Relator: Ministro Benedito Gonçalves. DJ: 04/05/2018. JusBrasil, 2018. Disponível em: <https://stj.jusbrasil.com.br/jurisprudencia/574252474/recurso-especial-resp-1657156-rj-2017-0025629-7?ref=juris-tabs>. Acesso em: 14 out. 2019.

<sup>39</sup> SANT'ANA, J. M. B. E. A. Essencialidade e assistência farmacêutica: considerações sobre o acesso a medicamentos mediante ações judiciais no Brasil. *Revista Panamericana da Salud Pública*, p. 138–144, 2011.

<sup>40</sup> ANVISA. *Prazo para concessão de registro*. Disponível em: <http://portal.anvisa.gov.br/medicamentos/prazos>. Acesso em: 20 out. 2019.

<sup>41</sup> AITH, Fernando Mussa Abujamra. *O direito à saúde e a política nacional de atenção integral aos portadores de doenças raras no Brasil*. Disponível em: <https://www.google.com.br/url?sa=t&rcct=j&q=&esrc=s&source=web&cd=1&ved=0ahUKewi7wvffzuPXAhXFtpAKHXU4Bx4QFggoMAA&url=http%3A%2F%2Feconomia.saude.bvs.br%2Fhildbi%2Fdocsonline%2Fget.php%3Fid%3D023&usg=AOvVaw0PybBZ413mF9j0CigZCLjV>. Acesso em: 20 out. 2019.

Isso demonstra que a judicialização da saúde, que começou com os casos de pacientes portadores do vírus HIV, torna-se cada vez mais ampla, pelos diversos motivos citados. Os processos com solicitação de medicamentos são bem diversificados. Pode-se dizer que há, principalmente, três tipos deles: pedidos de medicamentos não aprovados pela ANVISA; Pedidos de medicamentos não padronizados pelo SUS; Pedidos de medicamentos já padronizados pelo SUS.<sup>42</sup> Há inúmeros atos normativos que regulamentam o fornecimento de medicamentos e o funcionamento da ANVISA e do SUS, porém, na prática, o sistema ainda não está completamente integrado com o que foi preconizado em leis e resoluções e isso abre margem para a judicialização, principalmente envolvendo medicamentos de alto custo.

As soluções para a diminuição da judicialização de medicamentos de alto custo no Brasil estão na definição de políticas públicas que promovam uma assistência à saúde adequada e no incentivo a pesquisas e estudos sobre as doenças raras. O baixo conhecimento científico sobre medicamentos e tratamentos pelos operadores do direito, em conjunto com — em alguns casos — a falta de comprovação da eficácia de tais fármacos para doenças raras é um grande problema no país, devido à falta de políticas públicas relacionadas a tais doenças.

## 5 Doenças raras e judicialização: parâmetros após a decisão do RE N.º 657718

Diante da temática apresentada no presente estudo, vale esclarecer à decisão tomada pelo pleno do Supremo Tribunal Federal no processo referente ao Recurso Extraordinário – RE n.º 657718, julgado no dia 22 de maio de 2019. Vale destacar que o supramencionado recurso extraordinário discutiu a possibilidade de o Estado ser obrigado a fornecer gratuitamente fármacos não registrados na Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa, à luz do direito fundamental à saúde, consubstanciado nos arts. 1º, III; 6º; 23, II; 196; 198, II e § 2º; e 204 da CRFB/1988.

Anteriormente, tratou-se sobre a força normativa da Constituição e a necessidade da sua efetivação. Afirmou-se que os direitos constitucionais se convertem em direitos subjetivos dos indivíduos, tornando-se possível a tutela judicial. Dessa forma, a intervenção do Poder Judiciário determinando que a Administração Pública forneça determinados medicamentos necessários para a saúde do paciente realiza a promessa constitucional, garantindo inúmeros direitos previstos. O tema da judicialização de medicamentos é repleto de obscuridades e complexidade. No entanto, o dito julgado tratou, apenas, de uma das faces do problema, no qual se refere à atuação do Judiciário ao tratar de demandas por medicamentos sem o devido registro na ANVISA. Além da análise sobre a possibilidade de o Estado fornecer medicamentos não registrados na Anvisa, o RE n.º 657.718 tratou, também, sobre a possibilidade de compelir o Estado a fornecer fármacos que não tenham sua eficácia, segurança e qualidade atestadas pela agência reguladora nacional. Sendo assim, as discussões debatidas nesse recurso tornaram-se mais complexas, em comparação aos demais casos de judicialização da saúde, já que, além de estar relacionado a medicamentos de alto custo, os mesmos não possuíam a análise da Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Dessa forma, o plenário do Supremo Tribunal Federal proferiu a seguinte decisão:

o Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais. A ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial. É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei n.º 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos: (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras);(ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e (iii) a inexistência de substituto

<sup>42</sup> SANTOS, L.; TERRAZAS, F. *Judicialização da saúde no Brasil*. Campinas: Saberes, 2014. p. 34.

terapêutico com registro no Brasil. As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União.<sup>43</sup>

Seguindo a decisão, o Estado não pode ser compelido a prover fármacos não registrados na Agência Nacional de Vigilância Sanitária por decisões do Poder Judiciário. Além disso, o registro na ANVISA é condição para garantir a proteção da saúde pública, atestando a eficácia, segurança e qualidade dos medicamentos comercializados no Brasil, além de garantir o devido controle dos preços. Em se tratando de medicamentos experimentais, sem comprovação científica de eficácia e segurança ou ainda em fase de pesquisas e testes, não poderá o Poder Judiciário obrigar o Estado a fornecê-los, visto que poderia colocar em risco o indivíduo já debilitado.

Já no caso de medicamentos com eficácia e segurança devidamente comprovadas e com o período de teste concluído, mas ainda sem registro na Anvisa, o seu fornecimento por meio da tutela judicial deverá assumir caráter excepcionalíssimo e somente poderá obrigar o fornecimento pelo Estado em uma hipótese: a de irrazoável mora da Anvisa em apreciar o requerimento do registro. Ainda nesse caso, no entanto, deverá haver o preenchimento de outros três requisitos, cumulativamente, sendo eles: (i) existir requerimento do registro do fármaco no Brasil; (ii) a existência de análise e registro do medicamento pleiteado em agências de regulação do exterior confiáveis (e.g., EUA, União Europeia e Japão); e, por fim (iii) a não existência de sucedâneo farmacológico registrado na Anvisa. Garante-se o direito do paciente em situação crítica de tentar lutar por sua vida e eventuais prejuízos restringiriam apenas ao próprio usuário<sup>44</sup>.

Por fim, deve-se esclarecer que, tendo em vista que o pressuposto básico da obrigação estatal é a mora da agência, as ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa deverão, necessariamente, ser propostas em face da União.

## 6 Considerações finais

O Constituinte Originário de 1988 incluiu o direito à saúde como direito social. Além disso elaborou um novo sistema de saúde, descentralizado, com maior autonomia para os entes federativos e garantindo maior participação da população, idealizando um sistema eficaz. O Sistema Único de Saúde – SUS, incorporado à realidade social brasileira, apesar de sua ideia inicial, apresenta muitas falhas, como o fornecimento de medicamentos. Então, buscou-se, por meio da criação de Componentes de Assistência Farmacêutica, melhorar a prestação do serviço.

Na prática, não há tanta facilidade em se obter o tratamento adequado na rede pública, conforme se pode constatar facilmente nos grandes veículos de mídia. Em razão dessa dificuldade, os indivíduos passaram a socorrer-se do Poder Judiciário, exigindo que seus direitos constitucionalmente previstos sejam respeitados, o que ficou conhecido como judicialização de políticas públicas relacionadas à saúde.

Embora haja a possibilidade de se exigir a garantia do direito à saúde por meio da tutela judicial, é imprescindível examinar as consequências desse procedimento no caso concreto, sopesando-se os interesses das partes envolvidas. Deve ser salientado que a decisão que estabelece o custeamento do tratamento específico para um determinado paciente implica, inevitavelmente em deixar de aplicar o recurso financeiro despendido em outras ações de saúde e que já haviam anteriormente sido previstas no planejamento do Sistema,

<sup>43</sup> BRASIL. STF. RECURSO EXTRAORDINÁRIO: RE 657718-MG. Relator: Ministro Min. Marco Aurélio. DJ: 22/05/2019. Disponível em: <http://www.luisrobertobarroso.com.br/wp-content/uploads/2016/10/RE-657718-Medicamentos-sem-registro-Anvisa-versão-final.pdf>. Acesso em: 14 out. 2019.

<sup>44</sup> LAZARI, Igor de; DIAS, Sergio; BOLONHA, Carlos. Medicamentos sem registros na ANVISA: uma abordagem institucional. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 394-408, 2018. p. 403. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/4736/pdf>. Acesso em: 09 maio 2020.

incluindo a obtenção de medicamentos já incluídos na rede pública. No entanto, considerando que o direito à saúde se encontra previsto em nossa Constituição Federal e deve ser efetivado por meio da realização de políticas públicas, suprimi-lo viola um direito fundamental dos cidadãos, sujeitando-os as condições precárias a que são submetidos devido as falhas na prestação dos serviços públicos de saúde.

A judicialização no sistema brasileiro é, além de instrumento democrático, no qual o indivíduo luta pelos seus direitos positivados, capaz de registrar o amplo número de casos em que há o descumprimento por parte dos Poderes constitucionalmente instituídos em cumprir suas competências estabelecidas, como por exemplo, através do fornecimento de medicamentos, e assim funciona como um indicador para melhorar o planejamento de atuação. A questão se torna mais complexa ao se tratar da judicialização sobre o quesito medicamentos órfãos, que decorre de ao menos três pontos, sendo eles: i) o alto custo do tratamento; ii) a não incorporação de inúmeros medicamentos na lista do SUS, e; iii) a falta de registros do medicamento na ANVISA.

Em relação ao primeiro ponto, resta claro que o Estado não pode esquivar-se do cumprimento de seu dever em garantir a saúde, pois tal direito está previsto constitucionalmente, nem mesmo ao invocar a reserva do possível, pois o mínimo existencial não poderá ser suprimido, visto que se destina a garantir às condições mínimas para que o indivíduo tenha uma vida digna. Quanto ao segundo ponto, já decidiu a jurisprudência pátria que é obrigação do poder público fornecer medicamentos que estão fora da lista do Sistema Único de Saúde (SUS), desde que presentes três requisitos: laudo médico que comprove a necessidade do produto, incapacidade financeira do paciente e registro do remédio na Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Quanto ao último ponto, deve-se seguir o entendimento firmado pelo Supremo Tribunal Federal de que a Administração Pública não pode ser obrigada a prover fármacos não registrados na ANVISA por decisões judiciais, pois o registro é condição para garantir a proteção da saúde pública e a eficácia e segurança do medicamento.

Excepcionalmente, será admitida a tutela judicial para garantir medicamentos ainda não registrados, desde que, a eficácia e segurança de tal medicamento esteja devidamente comprovada através de outras Agências internacionais renomadas, haja pedido para que se realize o registro do medicamento e a ANVISA permaneça em mora e, por último, que não exista sucedâneo farmacológico devidamente registrado na Agência brasileira.

## Referências

AITH, Fernando Mussa Abujamra. *O direito à saúde e a política nacional de atenção integral aos portadores de doenças raras no Brasil*. Disponível em: <https://www.google.com.br/url?sa=t&rct=j&q=&esrc=s&source=web&cd=1&ved=0ahUKEwi7wvffzuPXAhXFIPAKHXU4Bx4QFggoMAA&url=http%3A%2F%2Feconomia.saude.bvs.br%2Flidbi%2Fdocsonline%2Fget.php%3Fid%3D023&usq=AOvVaw0PybBZ413mF9j0CigZCLjV>. Acesso em: 20 out. 2019.

ANVISA. *Prazo para concessão de registro*. Disponível em: <http://portal.anvisa.gov.br/medicamentos/prazos>. Acesso em: 20 out. 2019.

ARAÚJO, Kammilla Eric Guerra de; QUINTAL, Carlota Maria Miranda. A judicialização do acesso aos medicamentos em belo horizonte: uma questão sobre equidade. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 213-236, dez. 2018. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/5689/pdf>. Acesso em: 09 maio 2020.

ARNOLD, Renée, et al. *The role of globalization in drug development and access to orphan drugs*: orphan drug legislation in the US/EU and in Latin America. Disponível em: <https://f1000research.com/articles/4-57/v1>. Acesso em: 18 set. 2019.

BALERA, Wagner; SILVEIRA, Vladimir Oliveira da. (coord.); COUTO, Mônica Bonetti (org.). *Comentários ao Pacto Internacional dos Direitos Econômicos, Sociais e Culturais*. Curitiba: Clássica, 2013.

BARBOSA, Rui. *Oração Aos Moços*. Disponível em: [http://www.casaruibarbosa.gov.br/dados/DOC/artigos/rui\\_barbosa/FCRB\\_RuiBarbosa\\_Oracao\\_aos\\_mocos.pdf](http://www.casaruibarbosa.gov.br/dados/DOC/artigos/rui_barbosa/FCRB_RuiBarbosa_Oracao_aos_mocos.pdf). Acesso em: 29 out. 2019.

BRASIL. *8ª Conferência Nacional de Saúde*. Relatório Final, 2011. Disponível em: [http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/8\\_conferencia\\_nacional\\_saude\\_relatorio\\_final.pdf](http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/8_conferencia_nacional_saude_relatorio_final.pdf). Acesso em: 23 set. 2018.

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. *Institucional*. Disponível em: <http://portal.anvisa.gov.br/institucional>. Acesso em: 23 set. 2019.

BRASIL. *Componente Básico de Assistência Farmacêutica*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmacutica/medicamentos-rewrite/componente-basica-da-assistencia-farmacutica-cbaf>. Acesso em: 23 set. 2019.

BRASIL. *Componente Especializado de Assistência Farmacêutica*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmacutica/medicamentos-rewrite/componenteespecializado-da-assistencia-farmacutica-ceaf>. Acesso em: 23 set. 2019.

BRASIL. *Componente Estratégico de Assistência Farmacêutica*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmacutica/medicamentos-rewrite/cesaf>. Acesso em: 23 set. 2019.

BRASIL. Constituição (1934). *Constituição da República dos Estados Unidos do Brasil*. Disponível em: [http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/constituicao/constituicao34.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao34.htm). Acesso em: 18 set. 2019.

BRASIL. *Farmácia Popular*. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/acoes-e-programas/farmacia-popular>. Acesso em: 23 set. 2019.

BRASIL. Ministério da Saúde. *Doenças raras: o que são, causas, tratamento, diagnóstico e prevenção*. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/saude-de-a-z/doencas-raras>. Acesso em: 27 ago. 2019.

BRASIL. Ministério da Saúde. *Estrutura do SUS*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/index.php/sistema-unico-de-saude/estrutura-do-sus>. Acesso em: 23 set. 2019.

BRASIL. *Rename*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/assistencia-farmacutica/medicamentos-rewrite>. Acesso em: 24 set. 2019.

BRASIL. *Responsabilidade dos Entes*. Disponível em: <http://portalms.saude.gov.br/index.php/sistema-unico-de-saude/responsabilidade-dos-entes>. Acesso em: 23 set. 2019.

CARVALHO, Victor Aguiar de. A judicialização da saúde sob o olhar da Análise Econômica do Direito: um exame dos incentivos ao ajuizamento e à solução extrajudicial de conflitos. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 308-326, dez. 2018. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/5676/pdf>. Acesso em: 08 maio 2020.

COSTA, Fabricio Veiga; MOTTA, Ivan Dias; ARAUJO, Dalvaney Aparecida. Judicialização da saúde: a dignidade da pessoa humana e a atuação do Supremo Tribunal Federal no caso dos medicamentos de alto custo. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 7, n. 3, p. 845-874, 2017. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/4809/3640>. Acesso em: 09 maio 2020.

DHNET. *A Constituição Alemã de 1919*. Disponível em: <http://www.dhnet.org.br/educar/redeedh/anthist/alema1919.htm>. Acesso em: 29 ago. 2019.

DHNET. *A Constituição Mexicana de 1917*. Disponível em: <http://www.dhnet.org.br/educar/redeedh/anthist/mex1917.htm>. Acesso em: 29 ago. 2019.

DIAS, Maria Socorro de Araújo; GOMES, Diógenes Farias; DIAS, Thaís Araújo; SILVA, Lielma Carla Chagas da; BRITO, Maria da Conceição Coelho; CARNEIRO NETO, Manoel de Castro. Judicialização da saúde

de pública brasileira. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 6, n. 2, p. 133-146, 2016. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/4012/pdf>. Acesso em: 09 maio 2020.

EURORDIS. *About Orphan Drugs*. Disponível em: <https://www.eurordis.org/about-orphan-drugs>. Acesso em: 28 set. 2019.

EURORDIS. *O que é uma doença rara?*. Disponível em: <https://www.eurordis.org/pt-pt/content/o-que-e-uma-doenca-rara>. Acesso em: 27 ago. 2019.

FREITAS, Márcia Araújo Sabino de; ARAÚJO, Maria Rizioneide Negreiros de. As redes de atenção à saúde nos 30 anos do Sistema Único de Saúde: histórias, propostas e desafios. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 15-33, dez. 2018. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/5739/pdf>. Acesso em: 08 maio 2020.

GOMES, Eduardo Zauli. *A Judicialização da Política no Brasil e a Crise de Representatividade*. Minas Gerais: Boletim Jurídico. Disponível em: <https://www.boletimjuridico.com.br/doutrina/artigo/4126/a-judicializacao-politica-brasil-crise-representatividade>. Acesso em: 18 set. 2019.

GRINOVER, Ada Pellegrini. *A judicialização é a insatisfação do povo com o que não obtém administrativamente*. Disponível em: <https://www.migalhas.com.br/Quentes/17,MI211706,11049-Ada+Pellegrini+Grinover+A+judicializacao+e+a+insatisfacao+do+povo+com>. Acesso em: 13 set. 2019.

GRINOVER, Ada Pellegrini; WATANABE, Kazuo (coord.). *O controle jurisdicional de políticas públicas*. 2. ed. Rio de Janeiro: Forense, 2013.

INTERFARMA. *Doenças raras: a urgência do acesso a saúde*. Disponível em: <https://www.interfarma.org.br/public/files/biblioteca/doencas-raras--a-urgencia-do-acesso-a-saude-interfarma.pdf>. Acesso em: 25 set. 2019.

INTERFARMA. *INTERFARMA lança estudo sobre doenças raras no Brasil*. Disponível em: <https://www.interfarma.org.br/noticias/1546>. Acesso em: 27 ago. 2019.

LAZARI, Igor de; DIAS, Sergio; BOLONHA, Carlos. Medicamentos sem registros na ANVISA: uma abordagem institucional. *Revista Brasileira de Políticas Públicas*, Brasília, v. 8, n. 3, p. 394-408, 2018. Disponível em: <https://www.publicacoesacademicas.uniceub.br/RBPP/article/view/4736/pdf>. Acesso em: 09 maio 2020.

MARQUES, Nadia Rejane Chagas. *O Direito à Saúde no Brasil: Entre a norma e o fato*. Porto Alegre: Editora Núria Fabris, 2012.

MENDES, Gilmar Ferreira; COELHO, Inocêncio Mártires; BRANCO, Paulo Gustavo Gonet. *Curso de Direito Constitucional*. 4. ed. São Paulo: Saraiva, 2009.

ORPHANET. *Lists of medicinal products for rare diseases in Europe*. Disponível em: [https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list\\_of\\_orphan\\_drugs\\_in\\_europe.pdf](https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf). Acesso em: 27 ago. 2019.

PEPE, V. L. E. *et al.* A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. *Ciência & Saúde Coletiva*, p. 2405-2414, 2010.

RARAS por quê? Disponível em: <https://muitossomosraros.com.br/visao-geral/raras-porque/>. Acesso em: 25 set. 2019.

SANT'ANA, J. M. B. E. A. Essencialidade e assistência farmacêutica: considerações sobre o acesso a medicamentos mediante ações judiciais no Brasil. *Revista Panamericana da Salud Pública*, p. 138-144, 2011.

SANTOS, L.; TERRAZAS, F. *Judicialização da saúde no Brasil*. Campinas: Saberes, 2014.

SOCIEDADE BRASILEIRA DE PEDIATRIA. *Dificuldades de diagnóstico e de tratamento ainda são destaque no Dia Mundial das Doenças Raras*. Disponível em: <https://www.sbp.com.br/imprensa/detalhe/nid/dificuldades-de-diagnostico-e-de-tratamento-ainda-sao-destaque-no-dia-mundial-das-doencas-raras/>. Acesso em: 28

set. 2019.

STROZENBERG, Flora; LEITE, Luiz Otávio Ferreira Barreto. *Políticas Públicas de saúde no Brasil: gestão e judicialização*. Rio de Janeiro: Altadena, 2016.

VENTURA, Miriam; SIMAS, Luciana; PEPE, Vera Lucia Edais; SCHRAMM, Fermin Roland. Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde. *Physis: Revista de Saúde Coletiva*, Rio de Janeiro, v. 20, n. 1, 2010.

WORLD HEALTH ORGANIZATION. The Use of Essential Drugs. Seventh Report of the WHO Expert Committee (including the revised Model List Essential Drugs). *WHO Technical Report Series 867*: Geneva, 1997. Disponível em: [https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/41938/WHO\\_TRS\\_867.pdf;jsessionid=2B7144452005A702BB15A54667D542CF?sequence=1](https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/41938/WHO_TRS_867.pdf;jsessionid=2B7144452005A702BB15A54667D542CF?sequence=1). Acesso em: 24 set. 2019.

Para publicar na revista Brasileira de Políticas Públicas, acesse o endereço eletrônico [www.rbpp.uniceub.br](http://www.rbpp.uniceub.br)  
Observe as normas de publicação, para facilitar e agilizar o trabalho de edição.