

JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA A DOENÇAS RARAS: O EXEMPLO DA MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO I NO BRASIL¹

JUDICIALIZATION OF HEALTH AND PHARMACEUTICAL ASSISTANCE TO ORPHAN DISEASES: THE EXAMPLE OF MUCOPOLYSACCHARIDOSIS TYPE I IN BRAZIL

Raquel Boy²

Professora adjunta da Faculdade de Ciências Médicas da Universidade Estadual do Rio de Janeiro (UERJ)

Marlene Braz³

Doutora em Ciências

Bárbara Krug⁴

Mestre em Medicina (Ciências Médicas) pela Universidade Federal do Rio Grande do Sul (UFRGS)

Ana Beatriz Bezerra de Miranda⁵

Mestre em Direito

¹ Fonte financiadora: Conselho Nacional de Desenvolvimento Científico e Tecnológico; Ministério da Saúde; Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos - Departamento de Ciência e Tecnologia (CNPq/MS-SCTIE-DECIT 033/2007). Agradecimentos: Agradecemos à equipe da Procuradoria-Geral do Estado do Rio Grande do Sul, ao DAF-MS, à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) e à Associação de Mucopolissacaridose do Rio de Janeiro pelo auxílio no acesso aos dados dos processos judiciais. Este trabalho teve o apoio do Conselho Nacional de Desenvolvimento Científico e Tecnológico, MS, SCTIE, Departamento de Ciência e Tecnologia (CNPq/MS-SCTIE-DECIT), através do edital nº 33/2007.

² Doutora em Ciências, Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca, Fundação Oswaldo Cruz (ENSP/FIOCRUZ). *E-mail*: raquelboy@ig.com.br.

³ Pesquisadora em Bioética do Departamento de Ciências Sociais, Programa de Pós-Graduação, ENSP/FIOCRUZ, Rio de Janeiro (RJ). *E-mail*: braz2@globocom.com.

⁴ Farmacêutica. Aluna do Programa de Pós-Graduação em Ciências Médicas da UFRGS. *E-mail*: krug.barbara@gmail.com.

⁵ Advogada, Farmanguinhos, FIOCRUZ. *E-mail*: anabeatrizbraz@yahoo.com.br.

Dailor Sartori Jr.⁶

Bacharel em Direito

Paulo Gilberto Cogo Leivas⁷

Doutor em Direito pela UFRGS

Ida V. D. Schwartz⁸

Doutora em Ciências (Genética)

RESUMO: O tratamento da mucopolissacaridose tipo I inclui o uso de laronidase, medicamento órfão não incluído em listas brasileiras de dispensação. O acesso ao mesmo se dá, predominantemente, por via judicial. Este estudo objetiva caracterizar a demanda judicial por laronidase e discutir os conflitos associados. Foi realizado estudo quali-quantitativo das solicitações identificadas nos fóruns do Rio de Janeiro e Rio Grande do Sul e Departamento de Assistência Farmacêutica do Ministério da Saúde em 2008. Foram identificados 16 processos judiciais (10 estaduais e 6 federais, sendo 6 ações civis públicas) de 17 demandantes. A antecipação de tutela foi concedida em todos os casos, baseada no direito à saúde e nos laudos médicos. Argumentos de contestação do réu incluíram aspectos econômicos, ética aplicada à alocação de recursos escassos e participação em pesquisa clínica. Decisões judiciais favoráveis evidenciam a urgência de explicitação dos critérios mínimos para o financiamento público de medicamentos órfãos para o tratamento das mucopolissacaridoses. Uma política para medicamentos órfãos necessita ser implementada no Brasil.

PALAVRAS-CHAVE: Mucopolissacaridose I; Poder Judiciário; assistência farmacêutica; alocação de recursos.

ABSTRACT: *Treatment of mucopolysaccharidosis type I includes the use of laronidase, an orphan drug not included in official drug lists of Brazil. Access to this medication is predominantly secured through lawsuits. The objective of this study is to characterize legal requests for laronidase and discuss associated conflicts. A qualitative and quantitative study of the requests for laronidase filed in the Rio Grande do Sul and Rio de Janeiro courts and the*

⁶ Acadêmico de Ciências Sociais pela UFRGS. *E-mail:* dailorjunior@gmail.com.

⁷ Professor do Programa de Mestrado Acadêmico em Direito do Centro Universitário Ritter dos Reis. Procurador Regional da República, Ministério Público Federal. *E-mail:* pgleivas@uol.com.br.

⁸ Professora adjunta do Departamento de Genética da UFRGS. Médica do Serviço de Genética. Médica do Hospital de Clínicas de Porto Alegre, UFRGS. *E-mail:* ischwartz@hcpa.ufrgs.br.

Department of Pharmaceutical Assistance of the Ministry of Health was performed. Sixteen lawsuits were identified (10 in state courts, 6 class actions), filed for 17 plaintiffs. In all cases, a preliminary injunction was granted based on the right to health and on medical reports. Defendants' counter-arguments concerned economics, the ethics of scarce resource allocation, and participation in clinical research. Favorable verdicts highlight the urgency of clarifying minimum criteria for public funding of orphan drugs for the treatment of mucopolysaccharidosis. An orphan drug policy must be implemented in Brazil.

KEYWORDS: *Mucopolysaccharidosis I; Judicial Power; pharmaceutical services; resource allocation.*

SUMÁRIO: *Introdução; 1 Material e métodos; 2 Resultados; 3 Discussão; Conclusão.*

SUMMARY: *Introduction; 1 Materials and methods; 2 Results; 3 Discussion; Conclusion.*

INTRODUÇÃO

O Brasil está entre os mais de 100 países que reconhecem o direito constitucional à saúde, e uma parte importante desse direito é o acesso a produtos farmacêuticos⁹. A judicialização da assistência farmacêutica no Brasil é um fenômeno crescente, instaurada após o movimento que culminou com o acesso universal aos medicamentos para a AIDS mediante o estabelecimento de uma política pública nos anos 1990, e vem ocorrendo em paralelo ao aumento da oferta de produtos farmacêuticos, do consumo e dos gastos com medicamentos. Nesse contexto, observa-se um expressivo incremento no número de decisões judiciais que ordenam a concessão de medicamentos que não fazem parte das listas oficiais do Sistema Único de Saúde (SUS) nos últimos anos, especialmente os de alto custo¹⁰⁻¹¹.

Pacientes com Mucopolissacaridose tipo I (MPS I) vêm sendo tratados no Brasil com laronidase, um medicamento órfão aprovado em 2003 pelas agências americana (Food and Drug Administration) e europeia (European Medicine Agency) de regulação de fármacos e, em 2005, no Brasil, pela Agência Nacional

⁹ BIEHL J. et al. *Judicialisation of the right to health in Brazil*. Lancet, Londres, v. 373, n. 9682, p. 2182-2184, jun. 2009.

¹⁰ MESSEDER, A. M.; OSÓRIO-DE-CASTRO, C. G. S.; LUIZA, V. L. Mandados judiciais como ferramenta para garantia do acesso a medicamentos no setor público: a experiência do Estado do Rio de Janeiro, Brasil. *Cadernos de Saúde Pública*, Rio de Janeiro, v. 21, n. 2, p. 525-534, mar./abr. 2005.

¹¹ CHIEFFI, A. L.; BARATA, R. B. Judicialização da política pública de assistência farmacêutica e equidade. *Cadernos de Saúde Pública*, Rio de Janeiro, v. 25, n. 8, p. 1839-1849, ago. 2009.

de Vigilância Sanitária (Anvisa)¹²⁻¹³⁻¹⁴. Dados de pesquisa recém conduzida por nossa equipe mostram que o acesso a esse tratamento no Brasil ocorre predominantemente por via judicial¹⁵.

Objetiva-se, com este artigo, elaborar uma análise crítica acerca de argumentos utilizados entre os diversos autores envolvidos nos processos judiciais que visam ao tratamento da MPS I por laronidase em âmbito estadual – Rio Grande do Sul (RS) e Rio de Janeiro (RJ) – e federal – por meio de ações movidas contra a União nos Estados do Paraná (PA), Minas Gerais (MG), Goiás (GO) e Bahia (BA) – em um recorte temporal. Esperamos poder contribuir para a discussão acerca de processos alocativos em saúde voltados para a assistência farmacêutica a doenças raras, utilizando-se o caso da MPS I como modelo.

1 MATERIAL E MÉTODOS

Efetou-se um estudo observacional, retrospectivo e transversal, seguido por uma análise qualitativa dos dados, ambos aprovados pelo Comitê de Ética e Pesquisa da instituição.

As solicitações de laronidase para o tratamento da MPS I foram identificadas a partir de contato com os fóruns do RJ e RS e Departamento de Assistência Farmacêutica do MS (DAF-MS). Sinteticamente, foi realizado levantamento dos pedidos judiciais de terapia de reposição enzimática para as MPS, considerando-se: número de processos, medicação solicitada, resultado do processo (concessão ou não da medicação) e argumentações que embasaram a decisão judicial nos respectivos Estados e União, mediante preenchimento do instrumento desenvolvido por advogados, médicos e economistas.

A partir do levantamento supracitado, partiu-se para uma pesquisa qualitativa utilizando-se o método hermenêutico-dialético, e foram construídas as principais categorias empíricas para análise. Foram caracterizados argumentos

¹² US Food and Drug Administration. Developing products for rare diseases and conditions. Disponível em: <<http://www.fda.gov/orphan/index.htm>>. Acesso em: 15 dez. 2007.

¹³ EUROPEAN Medicines Agency. Rare disease designation Laronidase. Disponível em: <http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/human/orphans/2009/11/human_orphan_000050.jsp&murl=menus/medicines/medicines.jsp&mid=WC0b01ac058001d12b>. Acesso em: 13 jan. 2011.

¹⁴ AGÊNCIA Nacional de Vigilância Sanitária. Glossário da Anvisa. Disponível em: <http://eglossario.bvs.br/glossary/public/scripts/php/page_search.php?lang¼&letter¼M>. Acesso em: 15 dez. 2007.

¹⁵ BOY, R. et al. Ethical issues related to the access to orphan drugs in Brazil: the case of mucopolysaccharidosis type I. *Journal of Medical Ethics*, Londres, v. 37, n. 4, p. 233-239, abr. 2011.

de ordem médica e de pesquisa, econômicos, legais e constitucionais e discutidos os conflitos associados.

2 RESULTADOS

2.1 DADOS DOS DEMANDANTES, DE PRESCRIÇÃO E RELATÓRIOS MÉDICOS

Os dados dos demandantes e da prescrição mostraram as seguintes características: os pacientes eram de faixa etária pediátrica em sua maioria (14/16, ou 87,5% dos casos), sendo oito demandantes (8/17) pacientes egressos de pesquisa clínica.

Os receituários originaram-se do SUS em sua maioria: 13/16, dos quais a maioria (10/13) estava vinculada a serviços públicos universitários. Relatórios médicos foram encontrados em 13/16 processos analisados. Os argumentos médicos principais, observados de forma não excludente (03/13), foram: ausência de outras formas de tratamento (10/13), tratamento de manifestações, não relacionadas ao sistema nervoso central (08/13), risco de morte e melhora da qualidade de vida (03/13).

2.2 ASPECTOS PROCESSUAIS

Todos os processos, com exceção de um, possuíam apenas um demandante como autor. Destes, onze (11/16) solicitaram somente o medicamento, enquanto que em cinco (5/16), nos processos movidos por ACP, solicitou-se não somente o medicamento, mas também a inclusão do medicamento nas listas excepcionais de medicamentos (atualmente definido como CEAF). Em relação aos processos judiciais propriamente ditos, o demandante utilizou advogado particular em 10 casos (10/16). Os demais processos foram propostos pelo Ministério Público Federal (MPF) por meio de ações civis públicas (6/16).

Entre as justificativas fáticas utilizadas, de forma não excludente, pelo advogado do paciente ou pelo MPF, a prescrição do médico assistente foi utilizada em todos os casos, seguida por risco de morte (12/16) e possível demora ou negativa por parte do passivo em relação ao fornecimento do medicamento (4/16).

Entre os argumentos legais/constitucionais utilizados pelos advogados, de forma não excludente, o direito à saúde (16/16) foi o mais comum, seguido pelo risco de morte (12/16), direito à vida (10/16) e princípio da integralidade (09/16).

O pedido de antecipação de tutela foi deferido em todos os processos analisados (16/16). Essas decisões fundamentaram-se em argumentos oferecidos pelos laudos médicos (13/16) e como principal justificativa legal e constitucional no direito à saúde (12/16), devendo, neste último caso, o medicamento ser adquirido diretamente pelo réu. Quatro processos (4/16) já haviam sido sentenciados, sendo três (3/4) favoráveis ao demandante. As sentenças estavam disponíveis em dois casos (2/3), argumentando acerca do direito à saúde, risco da integridade física da autora, além do direito à vida, e utilizando-se do princípio da prioridade absoluta da criança e do adolescente. Em um caso (1/16), não houve julgamento do mérito, pois observou-se já haver efeitos de sentença procedente proferida em ação ajuizada pelo MPF.

2.3 DADOS DAS CONTESTAÇÕES E RECURSOS

Obteve-se, no recorte temporal analisado, acesso às contestações dos réus na maioria dos processos (10/16). Entre os argumentos utilizados nas contestações, salientaram-se, de acordo com a categorização utilizada, aspectos econômicos (09/10) – previsão e impacto no orçamento público e ética aplicada à alocação de recursos escassos; seguidos pelos legais/constitucionais (08/10) – reserva do possível, princípio da proporcionalidade, direito a saúde; e por fim, aspectos médicos e de pesquisa (07/10) – existência de laudos médicos e participação em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado.

O laboratório fabricante do medicamento laronidase também utilizou argumentos na contestação nos casos em que foi incluído como litisconsorte (5/16 processos), cujos pacientes, nesse caso, eram todos egressos de pesquisa. Em todos os casos, o laboratório alegou ilegitimidade passiva, sendo excluído da lide em dois desses processos, permanecendo como réu em um processo, julgado extinto em outro, e outro do qual não obtivemos informações acerca do desfecho no período analisado.

3 DISCUSSÃO

Observamos que alguns argumentos utilizados por médicos, advogados e juízes foram compartilhados tanto para a concessão quanto para a negativa do fornecimento do medicamento. Mas, em síntese, os argumentos favoráveis ao demandante foram sustentados no direito à saúde previsto no art. 196 da Constituição Federal e na prescrição e nos laudos médicos apresentados. Por outro lado, favoráveis ao Estado orbitaram principalmente os argumentos em torno da ética aplicada à alocação de recursos escassos, do impacto no orçamento

público, da reserva do possível e da participação do demandante em protocolos de pesquisa. Procuraremos tomar como eixo da discussão a análise dos três principais aspectos delineados: aspectos médicos e de pesquisa, aspectos legais e constitucionais e aspectos econômicos a partir dos argumentos anteriormente identificados.

3.1 ASPECTOS MÉDICOS - A PRESCRIÇÃO E A BUSCA POR EVIDÊNCIAS

Os relatórios médicos e suas respectivas prescrições foram usados como um dos principais argumentos para a abertura das ações judiciais pelos advogados dos pacientes e nas decisões judiciais de concessão de tutela antecipada pelos juízes. Esses aspectos já foram salientados por outros autores¹⁶⁻¹⁷, indicando que a prescrição médica tem determinado a necessidade do uso, tornando-se importante fonte de decisão judicial. Recentemente, essa discussão tem se estendido quanto à caracterização do ato da prescrição como uma atitude que necessita de embasamento científico por meio da medicina baseada em evidência (MBE)¹⁸. Em relação às pesquisas realizadas com laronidase, é importante salientar que, à época das prescrições, havia somente um ensaio clínico de fase II e um ensaio clínico de fase III, duplo-cego, controlado por placebo, publicados a respeito, além do relato subsequente da evolução desses últimos pacientes por um período de tratamento de 6 anos¹⁹⁻²⁰⁻²¹. Estudos adicionais foram publicados posteriormente sugerindo seu uso para as formas não graves da MPS I e para pacientes abaixo dos 5 anos de idade²²; no entanto, desfechos como mortalidade e melhora da qualidade de vida aferidos por instrumentos formais ainda não

¹⁶ MESSEDER, A. M.; OSÓRIO-DE-CASTRO, C. G. S.; LUIZA, V. L. Op, cit., p. 525-534.

¹⁷ VIEIRA, F. S.; ZUCCHI, P. Distorções causadas pelas ações judiciais à política de medicamentos no Brasil. *Revista de Saúde Pública*, Rio de Janeiro, v. 41, n. 2, p. 214-222, abr. 2007.

¹⁸ FIGUEIREDO, T. A.; PEPE, V. L. E.; OSORIO-DE-CASTRO, C. G. S. Um enfoque sanitário sobre a demanda judicial de medicamentos. *Physis*, Rio de Janeiro, v. 20, n. 1, p. 101-118, 2010.

¹⁹ KAKKIS, E. D. et al. Enzyme-replacement therapy in mucopolysaccharidosis I. *The New England Journal of Medicine*, Boston, v. 344, n. 3, p. 182-188, jan. 2001.

²⁰ WRAITH, J. E. et al. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis I: a randomized, double-blinded, placebo-controlled, multinational study of recombinant human alpha-L-iduronidase (laronidase). *The Journal of Pediatrics*, Saint Louis, v. 144, n. 5, p. 581-588, maio 2004.

²¹ SIFUENTES M. et al. A follow-up study of MPS I patients treated with laronidase enzyme replacement therapy for 6 years. *Molecular Genetics and Metabolism*, Orlando, v. 90., n. 2, p. 171-180, fev. 2007.

²² WRAITH, J. E. Limitations of enzyme replacement therapy: current and future. *Journal of Inherited Metabolic Disease*, Dordrecht, v. 29, n. 2-3, p. 442-447, abr./jun. 2006.

se encontram disponibilizados. Tais argumentos foram também descritos nos relatórios médicos, porém careciam de evidência científica à época da instauração do processo. Ou seja, a prescrição médica (laudo médico), ainda que destituída de fortes evidências técnicas de efetividade da medicação em uso pelos critérios da MBE, tem mostrado poder nas decisões judiciais para o fornecimento do medicamento.

3.2 AS UNIVERSIDADES COMO PRESCRITORAS DE NOVAS TECNOLOGIAS

Salientamos que a origem das prescrições se deu, em sua maioria, em hospitais universitários e, em número considerável, para pacientes egressos de pesquisas clínicas envolvendo o medicamento em questão, pesquisas estas patrocinadas por laboratório farmacêutico.

Um dos pontos, então, a ser discutido é o papel das indústrias farmacêuticas e das universidades. Se, por um lado, aquelas vêm financiando pesquisas e desenvolvendo fármacos, e os hospitais universitários vêm gerando conhecimentos e promovendo importante melhora da assistência prestada pelos médicos, ambos desempenham importante papel no atendimento de demandas da sociedade e das pessoas, individualmente²³; por outro lado, estão promovendo o papel de prescritores de novas tecnologias, nas quais os medicamentos se incluem.

Tais fatos corroboram a impressão de que a pressão para incorporação de novas tecnologias origina-se, de fato, em centros de excelência²⁴. No entanto, ao se utilizar a via judicial, observa-se uma pressão para incorporação também imediata nas listas oficiais, sem passar pelos métodos de avaliação de tecnologias em saúde (ATS) no auxílio a tomadas de decisões explícitas nos processos alocativos em saúde, como discutiremos adiante, fato este expresso na Lei nº 12.401, que atrela a incorporação de medicamentos em listas oficiais a partir dos métodos preconizados pelos princípios das ATS²⁵.

²³ GOLDIM, J. R. O uso de drogas ainda experimentais em assistência: extensão de pesquisa, uso compassivo e acesso expandido. *Revista Panamericana de Salud Pública*, Washington DC, v. 23, n. 3, p. 198-206, mar. 2008.

²⁴ FIGUEIREDO, T. A.; PEPE, V. L. E.; OSORIO-DE-CASTRO, C. G. S. Op. cit., p. 101-118.

²⁵ Brasil. Presidência da República. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011.

3.3 OBRIGAÇÕES PÓS-PESQUISA CLÍNICA - UM NEGÓCIO JURÍDICO

Em relação à responsabilização pelo fornecimento do medicamento, nota-se que o laboratório produtor da laronidase figurou, e como réu, em cinco processos, nos quais os pacientes eram egressos de pesquisa clínica. Esses pacientes, somados aos demais egressos de pesquisa clínica, em determinado momento, por término da pesquisa, ficaram sob risco de retirada do medicamento, indevidamente desprotegidos enquanto sujeitos de pesquisa clínica.

Segundo a Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 251/1997, o acesso aos fármacos utilizados nos projetos de pesquisa clínica deve ser garantido pelo patrocinador ou, na sua ausência, pela instituição, pesquisador ou promotor. Porém, tal resolução tem sido remetida ao âmbito de regras administrativas, sem definir a existência de obrigação legal de fornecimento da medicação em pesquisa, seu conteúdo ou extensão ao sujeito que participa da pesquisa, nem até quando os fármacos devem ser fornecidos²⁶. Essa visão, no entanto, tem sofrido fortes mudanças, e nesse sentido é recente a tese de que há uma obrigação contratual de continuação do tratamento com fornecimento do medicamento pelo patrocinador da pesquisa, mesmo após o término da pesquisa, sob o argumento de que a cláusula usualmente presente nos termos de livre consentimento assistido assegura a continuidade para os pacientes que não puderem arcar com os custos do tratamento praticados no mercado.

3.4 ASPECTOS LEGAIS E CONSTITUCIONAIS

Observamos que o direito à saúde foi o principal argumento jurídico utilizado para concessão do medicamento pleiteado. Por outro lado, ao determinar que o SUS forneça medicamento, o Poder Judiciário não pode deixar de levar em consideração uma política pública²⁷. Sob a perspectiva da justiça distributiva, é preciso que as necessidades individuais sejam compreendidas sob o contexto de uma política de medicamentos. As diretrizes da política farmacêutica brasileira partem da necessidade do uso racional de medicamentos, amparado em evidências seguras e estudos clínicos, além da capacidade de pagamento pelos

²⁶ Brasil. Conselho Nacional de Saúde. Resolução CNS nº 251, de 7 de agosto de 1997. Normas de pesquisa com novos fármacos, medicamentos, vacinas e testes diagnósticos envolvendo seres humanos.

²⁷ FIGUEIREDO, T. A.; PEPE, V. L. E.; OSORIO-DE-CASTRO, C. G. S. Op. cit., p. 101-118.

governos (*affordability*) para inclusão de determinado medicamento em listas oficiais de financiamento²⁸.

3.5 O JUDICIÁRIO E A TOMADA DE DECISÕES RELACIONADAS À ALOCAÇÃO DE RECURSOS PÚBLICOS NA SAÚDE EM SITUAÇÕES DE ESCASSEZ

Entre as possíveis estratégias de alocação de recursos em um contexto de escassez e no âmbito das políticas públicas de saúde, citamos o racionamento implícito e o racionamento explícito. No racionamento implícito, as bases para a decisão ou o processo de tomada de decisão no qual se chegou à negativa do tratamento não são claramente expressas, exceto por aquele que o profere, ocorrendo de forma arbitrária e menos coerente²⁹. Existem diversas formas para se exercer o racionamento implícito, como negação, seleção, lista de espera, dissuasão, entre outras. No racionamento explícito, são conhecidos publicamente os processos de tomada de decisão, tornando-os mais transparentes, com envolvimento do público e das instituições democráticas representativas, provendo um debate genuíno acerca das questões alocativas de recursos em saúde na sociedade política e civil e suas necessidades³⁰.

A despeito do fato de que medidas de racionamento explícito não são bem-vindas pelos governantes, decisões alocativas são parte de qualquer política pública³¹. Até o momento, o que temos observado em relação ao acesso à laronidase é a utilização de uma das formas implícitas de racionamento da alocação de recursos à saúde em situação de escassez por parte dos governantes, qual seja: a negação³², trazendo o acesso para a esfera da judicialização.

Resta claro que, por parte do Judiciário, também surge a questão da alocação de recursos, pois, no mínimo, forcem os governos a se posicionarem de forma explícita quanto à racionalidade da política de saúde em vigor, ou seja,

²⁸ Brasil. Ministério da Saúde. Portaria GM nº 3.916/1998, de 30 de outubro de 1998.

²⁹ SYRETT, Keith. *Law, legitimacy and rationing of health care: a contextual and comparative perspective*. Cambridge: Cambridge University Press, 2007.

³⁰ Idem.

³¹ Idem.

³² DINIZ, D. Rationing the access to high cost medicines in developing countries. *Developing World Bioethics*, Oxford, v. 9, n. 2, p. ii-iii, ago. 2009.

que devem ser anunciados publicamente os critérios de racionalidade utilizados para inclusão ou não em listas oficiais de fornecimento do medicamento³³⁻³⁴⁻³⁵.

Daniels e Sabin³⁶ introduziram o conceito de *accountability for reasonableness*, no qual as razões ou motivos para importantes tomadas de decisões alocativas de recursos em saúde devem ser disponibilizados publicamente e tomados por pessoas que buscam cooperar com outras ("*fair-minded*" people) e tentam estreitar as controvérsias por meio de justificativas bem aceitas. Salientamos que a exigência de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT), desenvolvidos a partir dos fundamentos da MBE, tem sido um dos instrumentos que vêm contribuindo para endossar os critérios de transparência e equidade na tomada de decisões governamentais no que diz respeito à inclusão de medicamentos de alto custo em listas oficiais, uma vez que permitem que sejam especificadas as condições de elegibilidade para um determinado tratamento. No entanto, não se encontram ainda definidos PCDT para o uso da laronidase no Brasil, apesar de seu registro na Anvisa, e os motivos não são publicamente conhecidos. Acreditamos que a transparência da justificação das decisões seja um instrumento decisivo para a estabilidade da política de assistência farmacêutica no País³⁷.

3.6 ASPECTOS ECONÔMICOS

Argumentos econômicos também são utilizados na defesa do Estado, entre eles o impacto no orçamento público e aspectos éticos aplicados à alocação de recursos escassos.

Os baixos recursos aplicados à saúde e as demandas crescentes por incorporação de tecnologias podem se tornar um problema insolúvel, especialmente nos países em desenvolvimento³⁸. Com os custos crescentes dos medicamentos, preocupações em nível global ocorrem, levando vários países

³³ SYRETT, Keith. Op. cit.

³⁴ DINIZ, D. Op. cit., p. ii-iii.

³⁵ DANIELS, Norman; SABIN, James E. Accountability for reasonableness. In: _____ (Ed.). *Setting limits fairly*. 2nd ed. Oxford: Oxford University Press, 2008. p. 52-53.

³⁶ Idem, *ibidem*.

³⁷ DINIZ, Debora. Disponível em: <[HTTP://www.stf.jus.br/arquivo/cms/processoAudienciaPublicaSaude/anexo/Debora_Diniz.pdf](http://www.stf.jus.br/arquivo/cms/processoAudienciaPublicaSaude/anexo/Debora_Diniz.pdf)>. Acesso em: 8 jun. 2011.

³⁸ BEUTLER, E. Lysosomal storage diseases: natural history and ethical and economic aspects. *Molecular Genetics and Metabolism*, Orlando, v. 88, n. 3, p. 208-215, jul. 2006.

a instituir arranjos para controlar cobertura pública e os custos de uma forma geral³⁹.

Um dos instrumentos que estão sendo utilizados para o processo explícito de tomada de decisões na alocação de recursos de saúde em situações de escassez tem sido o método de ATS, considerada como uma das muitas vertentes originadas na MBE. A ATS envolve a avaliação, de forma sistemática, de todas as tecnologias da área de saúde. Sua proposta central é proporcionar, através de informações objetivas, os subsídios adequados para o estabelecimento de políticas na área de saúde e para a tomada de decisão pelos gestores do sistema de saúde (*health policy makers*), inclusive sobre a incorporação de novas tecnologias da área⁴⁰.

Tais métodos em ATS mostram-se importantes, mas até o momento têm apresentado certas limitações quando se aplicam a medicamentos órfãos, visto que o grau preciso de ganho na saúde produzido é incerto, devido a alguns fatores como: 1) limitados estudos comparativos; 2) escassas informações acerca da doença previamente à introdução do uso da laronidase, 3) paucidade de estudos em longo prazo para avaliar efeitos na morbidade e mortalidade; 4) ausência de instrumentos formais de medidas de qualidade de vida para esses pacientes; além de 5) os medicamentos não se mostrarem custo-efetivos⁴¹.

Acreditamos que tais imprecisões têm provavelmente levado à negativa do financiamento público da laronidase; porém, os motivos não são públicos.

Nesse intervalo de tempo, persiste então o questionamento sobre se a incorporação de medicamentos para o tratamento de doenças raras, considerando os aspectos anteriormente elencados, especialmente devidos à raridade da condição, não deveria ter algum “tratamento” diferenciado no tocante à ATS. Ou seja, dada a raridade da condição, os métodos de avaliação não somente teriam de lidar com menores níveis de evidência disponíveis para os medicamentos órfãos como também manteriam o uso de padrões inferiores de evidências para esses medicamentos. Para determinados autores,

³⁹ RAFTERY, J. P. Paying for costly pharmaceuticals: regulation of new drugs in Australia, England and New Zealand. *The Medical Journal of Australia*, Sydney, v. 188, n. 1, p. 26-28, jan. 2008.

⁴⁰ PEDDECOR, K. M. The medical technologist and evaluation of health technologies. *The American Journal of Medical Technology*, Houston, v. 46, n. 1, p. 30-32, jan. 1980.

⁴¹ CONNOCK, M. et al. A systematic review of the clinical effectiveness and cost-effectiveness of enzyme replacement therapies for Fabry's disease and mucopolysaccharidosis type 1. *Health Technology Assessment*, Winchester, v. 10, n. 20, p. iii-iv, ix-113, jun. 2006.

tais aspectos deveriam ser contrabalançados por valores sociais e éticos que transcenderiam essas limitações impostas pelos métodos tradicionais da economia da saúde⁴².

CONCLUSÃO

A função principal do Judiciário em um Estado democrático é garantir a aplicação dos direitos⁴³. No caso específico de busca judicial ao acesso a medicamentos órfãos, no qual utilizamos o exemplo da laronidase, essas discussões se tornam mais aguçadas, tendo em vista, de um lado, a gravidade da doença e, de outro, a disponibilidade de um único medicamento, de altíssimo custo, com evidências, mesmo que ainda restritas, de efetividade. Tais fatores (baixo grau de evidências e alto custo dos medicamentos) provavelmente acabam por dificultar a incorporação desses tratamentos em políticas públicas que garantam acesso padronizado e gratuito, transferindo à justiça o poder de distribuição dessas tecnologias.

Apontamos, assim, para a importância da explicitação do processo de aquisição de tecnologia como forma de demonstrar coerência e consistência de uma política pública frente à cobertura ou não de um determinado medicamento. Do contrário, a tendência das Cortes é atender a essas demandas, ignorando as razões técnicas para inclusão ou não inclusão do medicamento no sistema público de saúde⁴⁴. A Política Nacional de Medicamentos, em que pese o uso racional, baseia-se em critérios epidemiológicos de prevalência, não privilegiando medicamentos denominados por alguns como “essenciais raros”⁴⁵, sendo necessário o desenvolvimento de uma política específica para doenças genéticas raras que padronize o acesso aos tratamentos.

⁴² DRUMMOND, M. F. et al. Assessing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, Cambridge, v. 23, n. 1, p. 36-42, 2007.

⁴³ CÉZAR, D. O. Obrigação de fornecimento do medicamento após a conclusão de pesquisa. Tese de Doutorado em Direito pela Faculdade de Direito da Universidade Federal do Rio Grande do Sul, Porto Alegre, 2009. 234 f.

⁴⁴ DINIZ, D. Op. cit., p. ii-iii.

⁴⁵ STOLK, P.; WILLEMEN, M. J.; LEUFKENS, H.G. Rare essentials: drugs for rare diseases as essential medicines. *Bulletin of the World Health Organization*, Geneva, v. 84, n. 9, p. 745-751, set. 2006.

