

ÓRFÃS DE MEDICAMENTOS: DOENÇAS RARAS

Margareth F F Melo Diniz

Acadêmica Titular da APMED – Cadeira 25

De acordo com a Organização Mundial de Saúde (OMS), doenças raras são aquelas que afetam até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, a qual se acosta a definição da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, no Brasil (Brasil 2014)¹. Estima-se que existem entre 300-450 milhões de pessoas portadoras de doenças raras, no mundo, e cerca de 13 milhões no Brasil. Neste universo de doenças raras, em torno 80% decorrem de fatores genéticos e os outros 20% advêm de causas diversas, incluindo fatores ambientais, imunológicos e infecções. Caracterizam-se por serem crônicas degenerativas com alto grau de morbimortalidade, as quais muitas não têm cura ou tratamento efetivo.

O tratamento para doenças raras enfrenta grandes desafios, não só pelo grande espectro de sinais e sintomas de uma enfermidade rara (mesmo entre os pacientes com a mesma condição e em diferentes estágios da doença), mas também pelo alto investimento, necessário para a realização de pesquisas, para o desenvolvimento de medicamentos específicos, **designados “órfãos”**. Estes, por serem utilizados por um pequeno número de pessoas, sua produção não é considerada lucrativa e, por isso, são caros e escassos. Embora sejam de difícil acesso, são cruciais para esses pacientes, pois têm a função de tratar, atuar na prevenção de quadros clínicos incapacitantes, postergar a progressão da doença ou possibilitar sua remissão²

Com o propósito de estimular a pesquisa e o desenvolvimento de medicamentos orfãos, vários países implementaram incentivos para os setores de saúde e biotecnologia, medidas estas iniciadas nos Estados Unidos (1983), com a ação do **Ato do Medicamento Orfão**, seguido por Singapura, Japão,

Canadá, Austrália e vários Estados-Membros da União Europeia. O documento instituído pela organização americana FDA (Food and Drug Administration) garantiu exclusividade de mercado por um período de 10-12 anos para as companhias farmacêuticas, desenvolvedoras do medicamento orfão; Consultoria especializada para regulamentação dos testes e ensaios clínicos, além isenções de taxas para introdução do medicamento no mercado e de inspeções. A participação de pessoas com doenças raras em ensaios clínicos de novos medicamentos é também um caminho de ter acesso a novas terapias³.

No Brasil, em 2014, o Ministério da Saúde publicou a Política Nacional de atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, visando à incorporação e uso de tecnologias voltadas para a promoção, prevenção e cuidado integral de doenças raras, incluindo tratamento medicamentoso. Nos anos de 2017 e 2018, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa – publicou as Resoluções da Diretoria Colegiada (RDC) nº 205/2017 e nº 260/2018 que regulamentaram a aprovação de medicamentos orfãos e ensaios clínicos no país. Entretanto, a existência destas normas regulatórias não garante a incorporação destes medicamentos no Sistema Único de Saúde (SUS). Há vários medicamentos para doenças raras aprovados no Brasil: Ataluren (para tratamento de distrofia muscular de Duchenne), Ivacaftor (para tratamento da fibrose cística), Betaína anidra (indicada para tratamento de hemocistinúria), entre outros⁴.

De acordo com Biglia et al^{4,6}. (2021), o acesso aos medicamentos é assegurado pela Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica, mas com o avanço das pesquisas científicas na área da saúde nos últimos anos, houve um aumento na detecção e tratamento das doenças raras, o que tem gerado um “problema” para o SUS devido às suas restrições orçamentárias, embora deva assegurar essas intervenções para todos os pacientes.

A judicialização da saúde passou a ser de fato uma “infraestrutura paralela”, em que uma miríade de atores, setores e alçadas entram em contato, confrontam-se e adotam missões de resgate particulares. Já, em abril de 2009, o Supremo Tribunal Federal realizou uma rara audiência pública para examinar

os desafios prementes apresentados pelo litígio do direito à saúde⁵. Autoridades da saúde pública, advogados, médicos, ativistas e acadêmicos apresentaram seus depoimentos diante do Tribunal, oferecendo uma variedade de pontos de vista e recomendações sobre como responder à enorme demanda judicial por tecnologias médicas. Um resultado imediato foi a atualização, há muito atrasada, das listas para medicamentos especializados de alto custo. O Conselho Nacional de Justiça também emitiu uma série de recomendações aos juízes locais, solicitando prestar mais atenção a evidências científicas e procurar “mais eficácia” nas decisões de casos relativos à saúde **6**. A judicialização da saúde, em se tratando de medicamentos órfãos, se torna inevitável, o que, em sua maioria, acaba por prejudicar o paciente que necessita aguardar uma decisão definitiva para que, por fim, inicie seu tratamento, e esse “tempo” decisório pode significar viver ou morrer.

Neste contexto, no Brasil, os portadores de doenças raras podem ser órfãos de medicamentos.

1. BRASIL. Portaria Nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Dispõe sobre Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. Acesso em: outubro 2023: https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html
2. ORPHANET. O portal para as doenças raras e os medicamentos órfãos. Disponível em: <https://www.orpha.net/consor/cgibin/Education_AboutRareDisease.s.php?lng=PT>. Acesso em: outubro 2023.
3. Doenças raras: o que são medicamentos órfãos? Teste da bochechinha.com.br acessado em outubro 2023
4. BIGLIA, L. V.; MENDES, S. J.; LIMA, T. M.; AGUIAR, P. M. Incorporações de medicamentos para doenças raras no Brasil: é possível acesso integral a estes pacientes? Faculdade de Ciências Farmacêuticas, Universidade de São Paulo. São Paulo - SP Brasil. Departamento de Ciências Farmacêuticas, Universidade Federal Rural do Rio de Janeiro. Seropédia RJ Brasil.
5. Biehl, João; Petryna, Adriana; Tratamentos jurídicos: os mercados terapêuticos e a judicialização do direito à saúde* Legal remedies: therapeutic markets and the judicialization of the right to health <https://doi.org/10.1590/S0104-59702016000100011>.
6. Lacerda, C e Cavalcanti, J. O. E. S. Compartilhando Saberes científicos sobre doenças raras. (livro 303 p. e-book. Editora Uniesp, Cabedelo 2023.