

# **VII ENCONTRO VIRTUAL DO CONPEDI**

**DIREITO E SAÚDE**

**FRANCIELLE BENINI AGNE TYBUSCH**

**JANAÍNA MACHADO STURZA**

**LITON LANES PILAU SOBRINHO**

Todos os direitos reservados e protegidos. Nenhuma parte destes anais poderá ser reproduzida ou transmitida sejam quais forem os meios empregados sem prévia autorização dos editores.

**Diretoria - CONPEDI**

**Presidente** - Profa. Dra. Samyra Haydêe Dal Farra Naspolini - FMU - São Paulo

**Diretor Executivo** - Prof. Dr. Orides Mezzaroba - UFSC - Santa Catarina

**Vice-presidente Norte** - Prof. Dr. Jean Carlos Dias - Cesupa - Pará

**Vice-presidente Centro-Oeste** - Prof. Dr. José Querino Tavares Neto - UFG - Goiás

**Vice-presidente Sul** - Prof. Dr. Leonel Severo Rocha - Unisinos - Rio Grande do Sul

**Vice-presidente Sudeste** - Profa. Dra. Rosângela Lunardelli Cavallazzi - UFRJ/PUCRio - Rio de Janeiro

**Vice-presidente Nordeste** - Prof. Dr. Raymundo Juliano Feitosa - UNICAP - Pernambuco

**Representante Discente:** Prof. Dr. Abner da Silva Jaques - UPM/UNIGRAN - Mato Grosso do Sul

**Conselho Fiscal:**

Prof. Dr. José Filomeno de Moraes Filho - UFMA - Maranhão

Prof. Dr. Caio Augusto Souza Lara - SKEMA/ESDHC/UFMG - Minas Gerais

Prof. Dr. Valter Moura do Carmo - UFERSA - Rio Grande do Norte

Prof. Dr. Fernando Passos - UNIARA - São Paulo

Prof. Dr. Edinilson Donisete Machado - UNIVEM/UENP - São Paulo

**Secretarias**

**Relações Institucionais:**

Prof. Dra. Claudia Maria Barbosa - PUCPR - Paraná

Prof. Dr. Heron José de Santana Gordilho - UFBA - Bahia

Profa. Dra. Daniela Marques de Moraes - UNB - Distrito Federal

**Comunicação:**

Prof. Dr. Robison Tramontina - UNOESC - Santa Catarina

Prof. Dr. Liton Lanes Pilau Sobrinho - UPF/Univali - Rio Grande do Sul

Prof. Dr. Lucas Gonçalves da Silva - UFS - Sergipe

**Relações Internacionais para o Continente Americano:**

Prof. Dr. Jerônimo Siqueira Tybusch - UFSM - Rio Grande do sul

Prof. Dr. Paulo Roberto Barbosa Ramos - UFMA - Maranhão

Prof. Dr. Felipe Chiarello de Souza Pinto - UPM - São Paulo

**Relações Internacionais para os demais Continentes:**

Profa. Dra. Gina Vidal Marcílio Pompeu - UNIFOR - Ceará

Profa. Dra. Sandra Regina Martini - UNIRITTER / UFRGS - Rio Grande do Sul

Profa. Dra. Maria Claudia da Silva Antunes de Souza - UNIVALI - Santa Catarina

**Eventos:**

Prof. Dr. Yuri Nathan da Costa Lannes - FDF - São Paulo

Profa. Dra. Norma Sueli Padilha - UFSC - Santa Catarina

Prof. Dr. Juraci Mourão Lopes Filho - UNICHRISTUS - Ceará

**Membro Nato** - Presidência anterior Prof. Dr. Raymundo Juliano Feitosa - UNICAP - Pernambuco

D597

Direito e saúde [Recurso eletrônico on-line] organização CONPEDI

Coordenadores: Francielle Benini Agne Tybusch; Janaína Machado Sturza; Liton Lanes Pilau Sobrinho – Florianópolis: CONPEDI, 2024.

Inclui bibliografia

ISBN: 978-65-5648-946-9

Modo de acesso: [www.conpedi.org.br](http://www.conpedi.org.br) em publicações

Tema: A pesquisa jurídica na perspectiva da transdisciplinaridade

1. Direito – Estudo e ensino (Pós-graduação) – Encontros Nacionais. 2. Direito. 3. Saúde. VII Encontro Virtual do CONPEDI (1: 2024 : Florianópolis, Brasil).

CDU: 34



## VII ENCONTRO VIRTUAL DO CONPEDI

### DIREITO E SAÚDE

---

#### **Apresentação**

Esta obra, que faz parte do Grupo de Trabalho de Artigos “Direito e Saúde”, é originada de mais um evento organizado pelo Conselho Nacional de Pesquisa e Pós-Graduação em Direito (CONPEDI), que congrega as temáticas e trabalhos desenvolvidos pelos pesquisadores da área do Direito das mais diversas localidades nacionais, e neste evento, de forma virtual. Os resumos são fruto do VII Encontro Virtual do CONPEDI, com o tema central: Inclusão e Transdisciplinaridade, realizado nos dias 24 a 28 de junho de 2024.

Passa-se a uma breve apresentação dos trabalhos:

No artigo intitulado “JUDICIALIZAÇÃO DO TRATAMENTO DOMICILIAR (HOME CARE) NA SECRETARIA ESTADUAL DA SAÚDE DO RIO GRANDE DO SUL” de autoria de Marcia Andrea Bühring e Fabio de Freitas Floriano busca-se examinar a jurisprudência pátria, a doutrina, os artigos sobre o tema home care e os dados obtidos pela Assessoria Jurídica (AJ) da SES/RS, realizando-se uma análise crítica sobre a mencionada situação.

Os autores José Adelar de Moraes, Tereza Rodrigues Vieira e Horácio Monteschio no artigo intitulado “TUTELA JURISDICIONAL DAS PESSOAS PORTADORAS DE DOENÇAS RARAS E O ACESSO AOS MEDICAMENTOS ÓRFÃOS” visam destacar a eficácia da tutela jurisdicional no acesso aos medicamentos órfãos para pessoas portadoras de doenças raras.

No artigo intitulado “O PROCESSO ESTRUTURAL COMO INSTRUMENTO DE APERFEIÇOAMENTO DA INTERVENÇÃO DO PODER JUDICIÁRIO NA JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE NO MARANHÃO” de autoria de Felipe Costa Camarão, Sérgio Felipe de Melo Silva e Taynah Soares de Souza Camarao tem como objetivo investigar se o processo estrutural é capaz aperfeiçoar a prestação jurisdicional na seara da judicialização da saúde pública.

Os autores Ruan Patrick Teixeira Da Costa e Sandro Nahmias Melo no trabalho intitulado “A BANALIDADE DO MAL E A PANDEMIA DA COVID-19 NA CIDADE DE MANAUS /AM” visam traçar um paralelo entre a banalidade do mal (conceito tratado por Hannah Arendt) existente na sociedade e os desdobramentos da pandemia do novo coronavírus

(covid-19), a qual atingiu praticamente todos os países do globo terrestre, resultando na morte de milhões de pessoas e um colapso nos sistemas de saúde, que não estavam preparados para um evento dessa magnitude.

No artigo intitulado “A CONCRETIZAÇÃO DO DIREITO FUNDAMENTAL À SAÚDE PELO ESTADO DE BEM-ESTAR SOCIAL: OS DESAFIOS DA SAÚDE PÚBLICA” os autores Maria Eduarda Granel Copetti e José Francisco Dias Da Costa Lyra visam refletir sobre a concretização do direito fundamental à saúde pelo Estado de Bem-Estar Social, a partir de uma observação da obra “Do mágico ao social”, de autoria de Moacyr Scliar.

As autoras Nair de Fátima Gomes e Tereza Rodrigues Vieira no trabalho intitulado “A TUTELA JURÍDICA COMO INSTRUMENTO DE INCLUSÃO E IGUALDADE PARA PESSOAS OBESAS OU COM SOBREPESO NO BRASIL” tem por objetivo analisar a falta de atenção, os desafios e o apoio aos indivíduos obesos ou com sobrepeso, segundo a perspectiva da dignidade humana como direito fundamental dessas pessoas estereotipadas e estigmatizadas pela sociedade em geral.

No artigo intitulado “DIREITO À SAÚDE E POLÍTICAS PÚBLICAS: UMA ANÁLISE DECOLONIAL DA INCLUSÃO DE CORPOS TRANSEXUAIS NAS POLÍTICAS DE SAÚDE” as autoras Janaína Machado Sturza, Cláudia Marília França Lima Marques e Gabrielle Scola Dutra tem como objetivo debater sobre o desenho das políticas públicas a partir do pensamento decolonial.

As autoras Maria Eduarda Granel Copetti e Charlise Paula Colet Gimenez no artigo intitulado “A DIGNIDADE DA PESSOA HUMANA ENQUANTO PRINCÍPIO DE GARANTIA DO DIREITO FUNDAMENTAL À SAÚDE” visam explorar a exigibilidade do Direito à Saúde a partir do princípio da dignidade da pessoa humana, em uma tentativa de elaborar ações voltadas ao exercício eficiente da cidadania, possibilitando à sociedade reduzir as desigualdades e garantir o bem-estar da população. Logo, o direito à saúde no Brasil, conforme destaca a Constituição Federal de 1988, é um direito de todos e um dever do Estado, fundamentado no que preza o artigo 196 da Constituição e assegurado por meio de políticas econômicas e sociais que almejam à redução do risco de doença e ao acesso igualitário e universal aos serviços e ações para sua proteção e recuperação.

No artigo intitulado “A EVOLUÇÃO DA POLÍTICA DE VACINAÇÃO CONTRA A COVID-19 À LUZ DOS DESAFIOS HISTÓRICOS E DAS DISTORÇÕES

INFORMATIVAS” de autoria de Vera Lúcia Pontes explora os normativos da política de vacinação contra a Covid-19, com análise das distinções entre a pandemia Covid-19 e o evento Revolta da Vacina de 1904.

Os autores Marta Rodrigues Maffei, Wilson Salgado Jr e Vinicius de Paula Pimenta Salgado no trabalho intitulado “CIRURGIA BARIÁTRICA NÃO REGULAMENTADA PELO CFM: LIMITES DA ATUAÇÃO DO PODER JUDICIÁRIO” visam analisar as controvérsias jurídicas da responsabilidade civil do médico cirurgião bariátrico em procedimentos não regulamentados pelo Conselho Federal de Medicina (CFM).

No trabalho intitulado “GORDOFOBIA E PESOCENTRISMO: OS PERCURSOS DA INVISIBILIDADE DOS DIREITOS DA PESSOA OBESA” de autoria de Tais Martins, Paulo de Tarso de Oliveira Tavares e Robson Luiz Souza visa abordar a obesidade de forma eficaz requer uma compreensão abrangente de todos esses elementos e um enfoque multidisciplinar que envolva não apenas a medicina, mas também a nutrição, a psicologia, a política pública, direito, psicologia e outros campos.

Os autores o trabalho intitulado “GORDOFOBIA, ALIMENTOS ULTRAPROCESSADOS E AS CARÊNCIAS LEGISLATIVAS SOBRE A OBESIDADE” de autoria de Tais Martins, Paulo de Tarso de Oliveira Tavares e Robson Luiz Souza visa analisar a gordofobia e a obesidade, assuntos abrangentes e desafiadores.

No trabalho “JUDICIALIZAÇÃO DO DIREITO À SAÚDE: O EMBATE DOUTRINÁRIO ENTRE O EXCESSO DA INSTITUTO DA JUDICIALIZAÇÃO CONTRA A UTILIZAÇÃO DESTE PARA GARANTIA DA SAÚDE” de autoria de Ana Paula dos Santos Ferreira, Krishina Day Carrilho Bentes Lobato Ribeiro tem por objetivo investigar o fenômeno da Judicialização da Saúde, e para tal se utiliza do estudo de duas correntes, as quais posicionam-se de maneira favorável e contrária à Judicialização.

O autor Douglas Loroza Farias no artigo intitulado “NOVOS CONTORNOS DO DIREITO À SAÚDE E ALTERIDADE INDÍGENA” procura propor a ampliação dos contornos do direito à saúde dos povos indígenas, de modo a abarcar as exigências de tratamento diferenciado impostas pela alteridade.

No artigo “O CONSENTIMENTO LIVRE E ESCLARECIDO E O DIREITO À INFORMAÇÃO NA RELAÇÃO MÉDICO-PACIENTE: A CONSTRUÇÃO DA AUTONOMIA PARA DECIDIR” de autoria de Daniela Zilio tem como objetivo discorrer sobre o consentimento livre e esclarecido como objeto de exteriorização da autonomia do

paciente, coadunado ao direito à informação na relação médico-paciente, imprescindível na construção da autonomia para decidir.

Os autores Gabriele Ana Paula Danielli Schmitz e Matheus Luiz Sbardeloto no trabalho intitulado “O DIREITO FUNDAMENTAL À VIDA DIGNA: UMA ANÁLISE DO USO DO CANABIDIOL E DO TETRAHIDROCANABINOL A PARTIR DAS DECISÕES JUDICIAIS PROFERIDAS PELO SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL E SUPERIOR TRIBUNAL DE JUSTIÇA” tem por objeto a análise do uso dos compostos naturais canabidiol (CBD) e tetrahydrocannabinol (THC) para fins medicinais.

No artigo intitulado “OS IMPACTOS DA AUSTERIDADE NEOLIBERAL NA GARANTIA DO ACESSO À SAÚDE NO BRASIL” de autoria de Luanna da Costa Santos e Suzy Elizabeth Cavalcante Koury tem como objetivo analisar os impactos da austeridade neoliberal instituída pela Emenda Constitucional 95/2016 na garantia do direito à saúde no Brasil.

Os autores Caroline Regina dos Santos e Nivaldo Dos Santos no trabalho intitulado “PATENTE DE INVENÇÃO NO SETOR FARMACEUTICO E O CONTRATO DE COMPARTILHAMENTO DE RISCOS PARA O ACESSO A MEDICAMENTO DE ALTO CUSTO NO BRASIL” tem como objetivo apresentar conceitos da patente de invenção no setor farmacêutico, o panorama histórico mundial e no Brasil sobre o acesso a medicamentos.

No artigo intitulado “PROTEÇÃO DE DADOS PESSOAIS E DECISÕES AUTOMATIZADAS NA ÁREA DA SAÚDE: DESAFIOS EM RELAÇÃO À TELETRIAGEM MÉDICA” de autoria de José Luiz de Moura Faleiros Júnior e Vanessa Schmidt Bortolini tem como objetivo analisar os aspectos jurídicos da teletriagem, projetando adaptações legais e tecnológicas necessárias para fortalecer a prática médica remota e garantir a segurança e a privacidade dos pacientes.

Desejamos uma boa leitura!

Francielle Benini Agne Tybusch (Universidade Federal de Santa Maria - UFSM)

Janaína Machado Sturza (Universidade Regional do Noroeste do Estado do Rio Grande do Sul – UNIJUI)

Liton Lanes Pilau Sobrinho (Universidade do Vale do Itajaí/Universidade de Passo Fundo - UPF)



# TUTELA JURISDICIONAL DAS PESSOAS PORTADORAS DE DOENÇAS RARAS E O ACESSO AOS MEDICAMENTOS ÓRFÃOS

## JURISDICTIONAL PROTECTION OF PEOPLE WITH RARE DISEASES AND THE ACCESS OF ORPHAN MEDICINES

**José Adelar de Moraes** <sup>1</sup>  
**Tereza Rodrigues Vieira** <sup>2</sup>  
**Horácio Monteschio** <sup>3</sup>

### **Resumo**

As doenças raras, também conhecidas como doenças órfãs, são condições médicas que afetam um número pequeno de pessoas em relação a população geral. Nos Estados Unidos, por exemplo, uma doença considerada rara quando afeta menos de 200.000 pessoas. Este artigo visa destacar a eficácia da tutela jurisdicional no acesso aos medicamentos órfãos para pessoas portadoras de doenças raras. O estudo aborda a relevância dessa questão diante das dificuldades enfrentadas por esses pacientes para obter tratamentos adequados. O objetivo principal é destacar a importância da tutela jurisdicional para garantir o acesso a esses medicamentos. A metodologia adotada envolve uma revisão bibliográfica e consulta a sites especializados, destacando o acesso a medicamentos órfãos, pois a inclusão de medicamentos para doenças raras no Sistema Único de Saúde (SUS) é um desafio que envolve equilibrar a necessidade de acesso a tratamentos eficazes com a disponibilidade limitada dos recursos públicos. Ao final, espera-se contribuir para o debate sobre a tutela jurisdicional das pessoas portadoras de doenças raras, fornecendo insights para aprimorar as políticas públicas e a aplicação do direito no acesso aos medicamentos essenciais para essa parcela vulnerável da população

**Palavras-chave:** Doenças raras, Medicamentos órfãos, Dignidade da pessoa humana, Políticas públicas, Tecnologias

### **Abstract/Resumen/Résumé**

Rare diseases, also known as orphan diseases, are medical conditions that affect a small number of people relative to the general population. In the United States, for example, a disease is considered rare when it affects fewer than 200,000 people. This article aims to

---

<sup>1</sup> Mestrando em Direito Processual e Cidadania na Universidade Paranaense. Bolsista PROSUP/CAPES /UNIPAR. Especialista em Responsabilidade Civil e Penal no Direito Médico pela Faculdade IBMEC- São Paulo. Advogado

<sup>2</sup> Pós-Doutorado pela Université de Montreal. Doutorado e Mestrado pela PUC-SP. Docente do Mestrado em Direito Processual e Cidadania e dos cursos de Medicina e Direito na Universidade Paranaense-UNIPAR.

<sup>3</sup> Pós-Doutor pelo Ius Gentium Conimbrigae da Universidade de Coimbra; Doutor em Direito pela FADISP. Mestrado pela Unicesumar. Professor Titular do Programa de mestrado da UNIPAR.



highlight the effectiveness of judicial protection in accessing orphan drugs for individuals with rare diseases. The study addresses the relevance of this issue given the challenges faced by these patients in obtaining appropriate treatments. The main objective is to emphasize the importance of judicial protection in ensuring access to these medications. The methodology adopted involves a literature review and consultation of specialized websites, emphasizing access to orphan drugs, as the inclusion of drugs for rare diseases in the Unified Health System (SUS) is a challenge that involves balancing the need for access to effective treatments with the limited availability of public resources. Ultimately, the goal is to contribute to the debate on judicial protection for individuals with rare diseases, providing insights to enhance public policies and the enforcement of rights in accessing essential medications for this vulnerable segment of the population.

**Keywords/Palabras-claves/Mots-clés:** Rare diseases, Orphan drugs, Human dignity, Public policies, Technologies

## 1 INTRODUÇÃO

Existem diversos grupos de vulnerabilidade que enfrentam desafios específicos que muitas vezes não são adequadamente considerados pela sociedade em geral. Esses grupos podem incluir minorias étnicas, LGBTQIAPN+, pessoas com deficiência, refugiados, pessoas em situação de rua, entre outros. Cada um desses grupos tem suas próprias experiências de discriminação, preconceito e desigualdade, que precisam ser abordadas de forma sensível e específica.

A falta de reconhecimento dessas questões muitas vezes leva à invisibilidade social desses grupos, o que significa que suas lutas e desafios são ignorados ou minimizados. Isso pode resultar em um ciclo de exclusão, onde esses grupos não têm acesso igualitário a recursos, serviços e oportunidades, perpetuando assim sua vulnerabilidade.

Neste contexto, encontram-se os portadores de doenças raras, que são caracterizadas por afetar um número limitado de pessoas em comparação com doenças mais comuns.

A questão das doenças raras é de extrema importância, pois afeta um segmento da população, muitas vezes, esquecido e negligenciado. Embora individualmente essas doenças possam afetar um número limitado de pessoas, sua soma resulta em uma população significativa.

Os estudos que abrangem as doenças raras parecem tomar cada vez mais importância na área social. Uma das possíveis causas deste crescimento é explicada pelo impacto da atuação das associações civis de doenças raras na sociedade.

As associações civis de doenças raras desempenham um papel vital na promoção da pesquisa, tratamento e apoio às pessoas afetadas por essas condições. O seu impacto na sociedade é significativo, pois ajudam a impulsionar mudanças na conscientização, políticas de saúde e na melhoria da qualidade de vida das pessoas com doenças raras. À medida que essas organizações ganham mais visibilidade e apoio, a importância dos estudos relacionados a doenças raras continua a crescer e a transformar o cenário da saúde e da pesquisa médica.

Neste contexto, os medicamentos órfãos desempenham um papel crucial no tratamento de pacientes com doenças raras, proporcionando terapias específicas e direcionadas que podem melhorar a qualidade de vida, prolongar a sobrevivência e, em alguns casos, até mesmo curar ou controlar a progressão da doença, proporcionando uma condição de vida condizente com a dignidade da pessoa humana.

Medicamentos órfãos são produtos farmacêuticos desenvolvidos para tratar doenças raras, que afetam apenas uma pequena parte da população. Essas condições são frequentemente negligenciadas pela indústria farmacêutica devido ao pequeno mercado potencial e aos altos custos de pesquisa e desenvolvimento associados.

Os medicamentos órfãos desempenham um papel crucial no fornecimento de tratamentos para pacientes com doenças raras, muitas vezes preenchendo lacunas terapêuticas significativas. Eles podem melhorar a qualidade de vida dos pacientes, reduzir a morbidade e a mortalidade associadas a essas condições, além de oferecer esperança para indivíduos e famílias que enfrentam desafios significativos de saúde.

A questão dos medicamentos órfãos é um extraordinário desafio no campo da saúde, devido ao número reduzido de pacientes afetados por doenças raras. Isso torna esses medicamentos menos interessantes para a indústria farmacêutica, que geralmente busca retornos financeiros expressivos.

Essa situação coloca os pacientes com doenças raras em uma posição vulnerável, já que muitos deles não têm acesso a tratamentos adequados. Para enfrentar essa escassez de opções terapêuticas, os pacientes e suas famílias, frequentemente, recorrem ao sistema judiciário em busca de acesso a medicamentos não padronizados na rede pública ou não aprovados.

Por sua vez, os Tribunais Superiores desempenham um papel fundamental na sistematização da atuação do Poder Judiciário nesses casos. Suas decisões estabelecem precedentes e diretrizes para lidar com as demandas de fornecimento de medicamentos em casos relacionados a doenças raras.

## **2 O DIREITO À SAÚDE COMO DIREITO FUNDAMENTAL**

No Brasil, a Constituição é o pilar central de todo o ordenamento jurídico, “é o direito primordial, porquanto condiciona os demais” ( Reale, 2005, p. 344) e isso significa que, irradia sua força horizontal e verticalmente falando para todos os ramos do direito.

No cenário traçado pelo sistema constitucional e legal vigente, a saúde é reconhecida não apenas como uma contraprestação de serviços devidos pelo Estado às pessoas, mas, fundamentalmente, como um direito fundamental do ser humano.

O direito à saúde é um direito fundamental, de cunho social e exigível perante o poder público, pois não se trata de mera norma programática, na medida em que os direitos sociais são

“prestações positivas proporcionadas pelo Estado direta ou indiretamente, enunciadas em normas constitucionais, que possibilitam melhores condições de vida aos mais fracos, direitos que tendem a realizar a igualização de situações sociais desiguais” (Silva, 2002, p. 285).

O direito à vida e à saúde são direitos fundamentais e intrínsecos à existência dos demais direitos, uma vez que são pré-requisitos essenciais para a plena realização do ser humano em sociedade. Esses direitos desempenham um papel central no sistema de direitos humanos, sendo reconhecidos internacionalmente e presentes na maioria das constituições e declarações de direitos humanos ao redor do mundo.

A saúde é um componente crucial para a qualidade de vida e a dignidade das pessoas. Garantir o acesso a cuidados de saúde adequados, prevenção de doenças e tratamento é essencial para preservar a vida e permitir que as pessoas desfrutem de outros aspectos de sua existência. Esse direito inclui o acesso a serviços de saúde de qualidade, medicamentos, tratamento médico e prevenção de doenças.

A garantia do direito à vida e à saúde é uma responsabilidade do Estado e da sociedade como um todo. Governos devem criar políticas públicas que assegurem o acesso universal aos cuidados de saúde e à proteção da vida, bem como a prevenção de ameaças à saúde. Além disso, a sociedade civil desempenha um papel crucial na defesa desses direitos, atuando na fiscalização das autoridades públicas por seu cumprimento.

O SUS, Sistema Único de Saúde, como sistema público de saúde, tem a responsabilidade de fornecer tratamentos e medicamentos a todos os cidadãos de forma integral e universal, como previsto na Constituição Brasileira. No entanto, o sistema de saúde enfrenta limitações orçamentárias e desafios logísticos que podem afetar a disponibilidade de medicamentos não padronizados, aqueles que não fazem parte da lista de medicamentos oferecidos regularmente pelo SUS. Isso pode resultar na necessidade de pacientes recorrerem ao Poder Judiciário para garantir o acesso a tratamentos específicos.

### **3 A TUTELA JURISDICIONAL NA EFETIVAÇÃO DO DIREITO FUNDAMENTAL À SAÚDE**

A Declaração Universal dos Direitos Humanos de 1948 menciona a saúde como parte integrante do direito a um nível de vida adequado. Nos últimos anos, o direito ao mais elevado

nível de saúde possível deu origem ao interesse crescente, especialmente por parte dos órgãos de monitoramento de tratados sobre direitos humanos. Essas iniciativas permitiram esclarecer a natureza do direito à saúde e determinar maneiras de alcançá-lo (OMS, 2009).

Historicamente, a jurisprudência brasileira não reconhecia plenamente o direito à saúde como um direito fundamental explícito, principalmente devido à ausência desse direito no texto constitucional anterior à Constituição de 1988 (Sarlet; Figueiredo, 2011, p.12).

No entanto, após a promulgação da Constituição de 1988, que reconheceu a saúde como um direito fundamental, houve uma lacuna na implementação efetiva desse direito devido à falta de normas claras que delineassem as responsabilidades e competências no sistema de saúde brasileiro, especialmente no âmbito do SUS.

Nesse contexto, “a judicialização é um fato, uma circunstância do desenho institucional brasileiro [...]” (Barroso, 2018, p. 235).

A afirmação de Barroso reconhece que a judicialização não é apenas um fenômeno ocasional, mas sim uma característica estrutural do sistema jurídico e político do Brasil. Isso implica que o Poder Judiciário desempenha um papel fundamental na resolução de conflitos e na defesa dos direitos fundamentais, atuando como um contrapeso aos outros poderes do Estado e preenchendo lacunas deixadas pela ineficiência ou omissão do Legislativo e Executivo.

Eles têm a responsabilidade de avaliar se as decisões do sistema de saúde público ou privado estão em conformidade com a lei e a Constituição. Além disso, os tribunais podem ser acionados para decidir casos individuais, muitas vezes concedendo liminares ou sentenças que obrigam o Estado a fornecer tratamentos ou procedimentos médicos específicos a pacientes.

Os direitos fundamentais são pedras angulares de qualquer sociedade democrática e estão intrinsecamente ligados à dignidade humana, liberdade e igualdade dos indivíduos. Eles são consagrados nas constituições e declarações de direitos de praticamente todos os países democráticos e, como tal, representam um compromisso do Estado em proteger e respeitar esses direitos.

Inexoravelmente, diante de um direito fundamental violado, a intervenção do Poder Judiciário é imprescindível como garantidor do cumprimento dos preceitos constitucionais.

Neste contexto, Marioni; Arenhart; Mitiero (2015, p. 80 *apud* Poltronieri), destacam a importância do Poder Judiciário em intervir quando o legislador não oferece proteção suficiente aos direitos fundamentais. Essa abordagem ressalta a necessidade de o Judiciário utilizar suas

ferramentas e normas processuais para assegurar uma tutela adequada desses direitos. A questão da tutela individual no fornecimento de medicamentos não padronizados nos sistemas públicos de saúde é um tema que tem gerado ampla discussão e ocupado a pauta dos Tribunais Superiores em muitos países, principalmente no Brasil.

Neste diapasão, as Cortes Superiores, desempenham um papel importante na sistematização da atuação do Poder Judiciário nesses casos. Suas decisões estabelecem precedentes e diretrizes para lidar com as demandas de fornecimento de medicamentos não padronizados.

No contexto do direito à saúde, o processo judicial desempenha um papel crucial na materialização desse direito e na proteção das minorias contra possíveis violações por parte da maioria ou do governo.

#### **4 A IMPORTÂNCIA DO SUS NA MATERIALIZAÇÃO DO DIREITO À SAÚDE**

As políticas públicas são criadas para atender às necessidades, demandas e desafios que surgem na sociedade e têm como objetivo principal promover o bem comum e garantir a equidade, a justiça e a eficiência na distribuição de recursos e serviços.

Uma das razões fundamentais para a existência de políticas públicas é a necessidade de resolver conflitos que surgem devido a interesses divergentes na sociedade. Estes conflitos podem ocorrer em várias áreas, incluindo a economia, a educação, a saúde, o meio ambiente, a segurança e outros setores.

No que tange às políticas públicas, Castro e Oliveira (2014, p. 21) explicam:

Dão partida a um circuito de influências bastante complexo em diversos fatores do desenvolvimento, esquematicamente aqui divididos em cinco grandes dimensões: social, econômica, ambiental, territorial e político-institucional. Os resultados esperados do processo de desenvolvimento, considerando essas dimensões, vão depender das combinações de políticas públicas conduzidas pelos diversos Estados nacionais.

Conforme o disposto no art. 197 da Constituição Federal brasileira, as ações e serviços de saúde revestem-se da característica de relevância pública e constituem um sistema único, hierarquizado e regionalizado, organizado de acordo com a diretriz do atendimento integral à saúde. Por sua vez, a Lei Orgânica da Saúde (Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990) seguindo

as diretrizes constitucionais, também prioriza a assistência integral, na forma dos seguintes dispositivos:

Artigo 7º. As ações e serviços públicos de saúde e os serviços privados contratados ou conveniados que integram o Sistema Único de Saúde - SUS são desenvolvidos de acordo com as diretrizes previstas no artigo 198 da Constituição Federal, obedecendo ainda aos seguintes princípios:

I - universalidade de acesso aos serviços de saúde em todos os níveis de assistência;

II- integralidade de assistência, entendida como um conjunto articulado e contínuo das ações e serviços preventivos e curativos, individuais e coletivos, exigidos para cada caso em todos os níveis de complexidade do sistema (Brasil, 1990).

[...]

A universalidade decorre “da necessidade de extensão universal dos direitos, tendo como único requisito para tanto a condição de pessoa para a sua titularidade [...]” (Piovesan, 2003, p. 238-239). A universalidade é um dos pilares fundamentais do Sistema Único de Saúde, assegurando que todos os cidadãos brasileiros, têm direito ao acesso às ações e serviços de saúde, sem qual qualquer tipo de discriminação ou restrição.

Isso significa que a saúde é um direito fundamental e que todos têm o direito de receber atenção à saúde, independentemente de sua condição financeira, social, de gênero, étnica, ou qualquer outra.

Por sua vez, o princípio da integralidade está previsto no artigo 198 da Constituição Federal e na Lei Orgânica da Saúde (Lei nº 8.080/1990) e desempenha um papel crucial na organização e prestação de serviços de saúde no país. A integralidade está intimamente ligada ao objetivo de garantir o acesso universal e igualitário à saúde para todos os cidadãos.

Neste sentido:

[...] "o reconhecimento de um direito originário a prestações, no sentido de um direito subjetivo individual a prestações materiais (ainda que limitadas ao estritamente necessário para a proteção da vida humana), diretamente deduzido da Constituição, constitui exigência inarredável de qualquer Estado (social ou não) que inclua nos seus valores essenciais a humanidade e a justiça" (Sarlet, 1998, p.299).

Isso impede o Estado de se abster do dever de prestar a saúde de forma completa, ou seja, é vedado ao ente estatal fornecer apenas algumas prestações e negar outras ou se limitar a fornecer apenas aquilo que os recursos materiais e os protocolos indicam, desconsiderando as reais necessidades dos usuários do SUS em face dos avanços da medicina moderna e da

possibilidade de lhes proporcionar maior dignidade e qualidade de vida.

## **5 AS DOENÇAS RARAS E OS MEDICAMENTOS ÓRFÃOS**

O termo “doenças raras” é empregado para se aludir a doenças que atingem um número relativamente pequeno de pessoas. Assim, as doenças raras constituem um desafio complexo que é comumente ignorado nos cuidados de saúde. Muitas vezes são seguidos de dificuldades específicas devido à sua raridade (SCIENSANO, 2024).

As doenças raras aparecem com maior frequência na infância e estima-se que mais de 70% delas tenham causa genética, embora ainda estejamos longe de saber a origem de todas as doenças raras já descritas. Ademais, ainda faltam conhecimentos médicos e científicos sobre muitas destas doenças. É por isso que muitas vezes é difícil diagnosticá-las e, principalmente, tratá-las. Muitas afetam significativamente a qualidade de vida dos pacientes. Em aproximadamente um em cada dois casos, estão associadas a um déficit motor, sensorial ou intelectual (INSERM, 2024).

No entanto, registraram-se progressos espectaculares no tratamento de algumas destas doenças, graças ao desenvolvimento de terapias genéticas e celulares, mas também através da descoberta de tratamentos medicamentosos eficazes (por exemplo, contra a fibrose cística, a síndrome de Cloves ou o hemangioma infantil). E a investigação biomédica continua e intensifica os seus esforços.

Os medicamentos órfãos, também conhecidos como medicamentos para doenças raras, são produtos farmacêuticos desenvolvidos para tratar doenças raras. Essas, são frequentemente chamadas de “órfãs” porque, devido à sua baixa prevalência, muitas vezes não atraem o interesse das indústrias farmacêuticas para o desenvolvimento de tratamentos.

As doenças raras podem variar de país para país. Malgrado sua baixa prevalência, estas condições comprometem coletivamente uma quantia significativa da população. Estima-se que entre 3,5 e 5,9% da população mundial viva diariamente com uma enfermidade rara, ou seja, entre 263 e 446 milhões de pessoas (SCIENSANO, 2024).

Segundo a Organização Mundial da Saúde, doença rara é a que atinge menos de 65 pessoas em cada grupo de cem mil, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos. São degenerativas, crônicas, progressivas e incapacitantes, e não contam com o interesse da indústria farmacêutica por serem relativamente poucos os pacientes.



As doenças raras são notáveis pela sua grande diversidade de sinais e sintomas. Cada doença rara pode se manifestar de maneira diferente, não apenas de uma doença para outra, mas também de pessoa para pessoa que é afetada pela mesma condição. Essa variabilidade torna o diagnóstico e o tratamento ainda mais desafiadores, uma vez que não há um padrão rígido de sintomas.

Segundo o Ministério da Saúde, atualmente, existem mais de 8.000 doenças raras conhecidas e classificadas cada uma dessas doenças é, por definição, rara, afetando um número limitado de indivíduos, mas a agregação desses números é surpreendentemente significativa quando olhamos para o quadro geral da saúde global. A estimativa de que cerca de 8% da população mundial seja afetada por uma doença rara é realmente impactante. Isso equivale a mais de meio bilhão de pessoas em todo o mundo.

No entanto, é importante considerar que, embora uma grande parcela da população mundial seja de alguma forma afetada por uma doença rara, a magnitude real do impacto de cada doença pode variar amplamente. Algumas doenças raras ocorrem apenas em alguns casos de pessoas em todo o mundo, enquanto outras podem ter milhares de casos detectados. Ainda assim, o somatório dessas condições representa um desafio substancial para a saúde pública, a pesquisa médica e a sociedade em geral.

O diagnóstico de doenças raras é um desafio significativo que afeta não apenas os pacientes, mas também seus familiares e a comunidade médica em geral.

Neste sentido:

As pessoas com doenças raras precisam saber onde podem buscar ajuda, precisam saber quem são os profissionais que podem auxiliá-las, sem que tenham o receio de ter sua saúde mais prejudicada por tratamentos errados ou por diagnósticos equivocados, precisam saber se têm o direito a medicamento e tecnologias assistiva, se podem se aposentar ou receber benefício previdenciário por sua condição (Monsorens, 2013, p.22).

O Ministério da Saúde por meio da Portaria GM/MS nº 199 de 30/01/2014, instituiu as diretrizes para atenção integral às pessoas com doenças raras, em decorrência do trabalho de insistência e coesão de associações de pacientes com doenças raras.

Essa coesão entre associações de pacientes é um fator-chave na promoção da conscientização, no combate à invisibilidade e no avanço na assistência a pessoas com doenças raras. Essa colaboração desempenha um papel essencial na superação dos desafios únicos que as doenças raras apresentam, incluindo a escassez de evidências científicas, contribuindo para o

desenvolvimento de tratamentos mais eficazes e seguros. Além disso, fortalece a defesa dos direitos dos pacientes, garantindo que suas necessidades sejam atendidas de forma adequada e equitativa.

Ao produzir evidências sólidas e confiáveis sobre as condições das pessoas afetadas pela doença, as organizações de pacientes estão estabelecendo uma base sólida para sua representatividade. Essas evidências servem como um argumento convincente para as autoridades de saúde, os legisladores, os profissionais de saúde e a sociedade em geral, demonstrando que a organização é uma voz legítima e autorizada para defender os interesses dos pacientes.

Com dados e informações tangíveis, as organizações ganham credibilidade e influência, e podem efetivamente influenciar políticas de saúde, melhorar o acesso a tratamentos e serviços e promover mudanças que beneficiam a qualidade de vida e o bem-estar das pessoas afetadas. Isso é essencial para garantir que as vozes dos pacientes sejam ouvidas e respeitadas.

A Câmara dos Deputados (2023, *on-line*), por intermédio da Comissão de Ciência, Tecnologia e Inovação, debateu em 14/06/2023, em audiência pública, sobre o tratamento de doenças raras no SUS.

De acordo com a matéria veiculada, estima-se que, atualmente, o Brasil tenha 13 milhões de pessoas com doenças raras, com grande chance de óbito precoce, se não forem diagnosticadas e tratadas a tempo.

Na matéria, conforme sustentado pela Deputada Federal Luisa Canziani, “diante do alto custo de diagnósticos e tratamentos, torna-se fundamental a busca por soluções inovadoras que possam trazer, quanto antes, melhor qualidade de vida para os pacientes, principalmente no âmbito da rede pública de saúde”.

Atualmente, tramita na Câmara dos Deputados, o Projeto de Lei n. 9.299/2017, que dispõe sobre os direitos de pessoas diagnosticadas com doenças graves e raras, deveres do Sistema Único de Saúde, medicamentos órfãos e incentivos à sua produção e pesquisa.

Os pacientes com doenças raras enfrentam uma série de desafios sociais e econômicos. Muitos pais, em especial as mães, precisam dedicar uma quantidade significativa de tempo e esforço ao cuidado de seus filhos com doenças raras. Isso pode resultar na perda de empregos ou na necessidade de reduzir suas horas de trabalho, afetando negativamente a renda familiar. Essa situação também pode levar ao abandono de outros filhos e membros da família, que podem não

receber a atenção e o suporte necessários.

Além disso, o alto custo dos tratamentos e medicamentos para doenças raras é um fator adicional que coloca pressão sobre as famílias afetadas. Muitos desses tratamentos são caros e nem sempre estão cobertos por seguros de saúde, o que pode resultar em dificuldades financeiras significativas.

Assim, é preciso ampliar a atenção integral aos portadores de doenças raras. Segundo a senadora Mara Gabrilli, São Paulo terá um hospital referência em tratamento para doenças raras, contudo, considera ela que esse passo deveria ser mais largo:

Isso aconteceria, por exemplo, se a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, a Conitec, avaliasse em menor tempo um maior número possível de tecnologias para tratamentos de doenças raras, encontrando modelos alternativos de incorporação, que é o que já ocorre em outros países. Afinal, é essa morosidade no processo de incorporação que leva famílias a apelarem à judicialização para acessar o que necessitam. Um caminho que exige maiores cifras da União atinge poucas pessoas e que gera desgaste físico, emocional e financeiro para quem já está em situação de extrema vulnerabilidade (Gabrilli, 2022, *on-line*).

Um ponto importante a ser destacado é que 30% dos pacientes com doenças raras morrem antes dos cinco anos de idade. Isso evidencia a gravidade de muitas dessas condições e a urgência em melhorar o acesso ao diagnóstico precoce e tratamento. Inúmeras doenças raras são severas e potencialmente fatais, o que torna essencial o desenvolvimento de pesquisas e intervenções médicas direcionadas para melhorar a qualidade de vida e a sobrevida desses pacientes.

Segundo dados da FIOCRUZ (2022, *on-line*), “cerca de 70% das doenças raras se iniciam na infância e mais 10% se iniciam entre a infância e a vida adulta. De modo que 80% das doenças raras acabam passando pelo pediatra. Daí a enorme importância do pediatra e da pediatria na qualidade de vida de pessoas com doenças raras”.

Essa perspectiva destaca a gravidade de muitas dessas condições e a urgência em melhorar o acesso ao diagnóstico precoce e tratamento. Muitas doenças raras são severas e potencialmente fatais, o que torna essencial o desenvolvimento de pesquisas e intervenções médicas direcionadas para melhorar a qualidade de vida e a sobrevida desses pacientes.

O Hospital Pequeno Príncipe (2023, *on-line*), em Curitiba, no Estado do Paraná, foi o primeiro hospital habilitado como serviço de referência no país, e chama a atenção para a importância do diagnóstico precoce:

Segundo o Ministério da Saúde, para 95% dos acometidos por uma doença rara não há tratamento, mas com o diagnóstico definido é possível realizar cuidados paliativos e serviços de reabilitação. Outros 3% têm tratamento cirúrgico ou medicamentoso que atenua os sintomas. Os demais podem ser curados com medicamentos ou ainda com a realização de transplantes.

Essa invisibilidade atinge pessoas com doenças raras, com sofrimento emocional, tendo seus direitos tolhidos pela dimensão utilitarista, onde o bem maior visa atender um maior número de pessoas e a falta de recursos financeiros só faz aumentar a dificuldade de tratamento devido ao alto custo dos medicamentos.

Para enfrentar esses desafios, é essencial que os governos, organizações de saúde e a sociedade em geral reconheçam a importância de dar suporte às pessoas com doenças raras.

Isso inclui o aprimoramento do sistema público de saúde, a criação de centros de referência para a realização do diagnóstico e tratamento, a capacitação dos profissionais de saúde e pediatras para o reconhecimento dos sinais e sintomas, financiamento de pesquisas e o desenvolvimento de políticas de saúde que atendam às necessidades específicas desses pacientes.

Nesse contexto, a participação social desempenha um papel fundamental na superação dos desafios de inclusão de tratamentos para doenças raras no Sistema Único de Saúde e em outros sistemas de saúde em todo o mundo.

A título de ilustração, no Quebec (Canadá), o plano de ação sobre doenças raras de 2023-2027, do Ministério da Saúde e Serviços Sociais enquadra-se na continuidade das três áreas de intervenção: sensibilização e formação, acesso facilitado a cuidados e serviços e promoção da investigação, inovação e da coleta de dados. Assim, o plano de ação é o resultado da colaboração entre pacientes, organizações que trabalham com doenças raras, médicos, investigadores, bem como as diversas autoridades do Ministério da Saúde e Serviços Sociais, o MSSS.

O Eixo Um visa combater a estigmatização, o isolamento e a perambulação médica vividos por pessoas com doenças raras e suas famílias. Essas dificuldades são causadas, em particular, pela falta de conhecimento das doenças raras e pela falta de conhecimentos especializados de um grande número de trabalhadores que integram a Rede de Serviços Sociais e de Saúde (RSSS). Os objetivos e as medidas anexas a este eixo visam, portanto, sensibilizar a comunidade clínica sobre doenças raras, compartilhamento de informações e conhecimentos entre as partes interessadas, organizações comunitárias, parceria com pacientes que assim o desejem, bem como a formação de profissionais de saúde (MSSS, 2023).

As medidas apresentadas no Eixo Dois visam otimizar, no âmbito do RSSS, o percurso

de pessoas que sofrem de uma doença rara. Estabelecendo uma estrutura de serviço, considerada uma estrutura duradoura, permitirá às pessoas afetadas por este tipo de doença atingir todo o seu potencial em termos de saúde e bem-estar. É promovendo acesso equitativo, facilitando-o e concentrando-o nas suas necessidades específicas, para que este objetivo possa ser alcançado. Assim como o eixo 1, o eixo 2 também visa facilitar o acesso diagnósticos, testes de rastreio, especialistas, cuidados e tratamentos (MSSS, 2023).

As medidas expostas no Eixo Três visam apoiar a pesquisa e a adoção de inovações que reduzirão a divagação terapêutica e melhorarão o monitoramento e os tratamentos proporcionados aos pacientes ao longo de sua jornada terapêutica. Eles também visam facilitar o acesso dos pacientes à comunidade científica, que lhes permitirá promover sua experiência e seu conhecimento, ao mesmo tempo em que fornece informações importantes, dados a pesquisadores e profissionais de saúde (MSSS, 2023).

Incluindo estabelecimentos de saúde, centros de referência para doenças raras, ambientes acadêmicos, a indústria de biotecnologia e associações de pacientes, este ecossistema permitirá que toda a população se beneficie de melhoramentos, segundo o Ministério da Saúde e Serviços Sociais do Quebec (2023).

No Brasil, as doenças raras, devido à sua natureza, enfrentam obstáculos substanciais em termos de reconhecimento, diagnóstico, tratamento e apoio.

Nesta senda, os processos judiciais desempenham um papel fundamental na proteção do direito à saúde e na defesa dos interesses das minorias contra possíveis violações. Eles servem como um mecanismo importante para garantir a igualdade de acesso aos serviços de saúde.

## **6 CONCLUSÃO**

A questão da vulnerabilidade e da falta de reconhecimento de certos grupos na sociedade é um tema de extrema importância, pois revela as desigualdades e injustiças presentes em muitos contextos sociais. A falta de consideração das questões enfrentadas por grupos vulneráveis cria um ciclo de marginalização que perpetua o sofrimento e a exclusão. Portanto, a necessidade de criar meios para promover o reconhecimento e a transformação dessas questões em políticas públicas é fundamental para uma sociedade mais justa e inclusiva.

A evolução rápida da medicina em termos de diagnósticos e tratamentos é uma realidade incontestável que apresenta desafios significativos para os sistemas de saúde em todo o

mundo, incluindo o Brasil.

A medicina moderna é altamente especializada e baseada em pesquisas científicas contínuas. Novas tecnologias, terapias e descobertas médicas estão sendo constantemente desenvolvidas. Isso cria um desafio para os sistemas de saúde, que não conseguem acompanhar os avanços da Medicina Baseada em Evidências (MBE), dificultando a aquisição e a incorporação de tecnologias médicas inovadoras, as quais podem ser caras e demoradas, obstaculizando o acompanhamento das últimas evoluções médicas.

A judicialização das demandas de saúde é um reflexo da importância do direito à saúde como um direito fundamental e do papel crítico que os tribunais desempenham na proteção desse direito.

Embora as doenças raras afetem um número limitado de pessoas individualmente, seu impacto global é significativo. É essencial reconhecer a importância de apoiar e tratar pacientes com doenças raras e trabalhar para melhorar o acesso a diagnósticos precisos, tratamentos adequados e apoio holístico para essa população.

A participação da sociedade é fundamental e garante que diferentes olhares e vozes sejam incluídos, democratizando, assim, as escolhas, para a concretização de um sistema de saúde universal e a serviço de todos.

A questão dos medicamentos órfãos é um desafio importante no campo da saúde, visto que se destinam ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas, que afetam uma pequena parcela da população.

Implementar uma Política Pública para pessoas com doenças raras é um dever do Estado brasileiro, pois sendo condições médicas raras que afetam um número limitado de pessoas, acabam frequentemente negligenciadas, numa clara violação à dignidade da pessoa humana, um dos princípios basilares do estado democrático de direito.

## REFERÊNCIAS

BARROSO, Luís Roberto. **Curso de direito constitucional contemporâneo: os conceitos fundamentais e a construção do novo modelo**. 7. ed. São Paulo: Saraiva Educação, 2018.

BRASIL. Câmara dos Deputados. **Comissão Especial destinada a acompanhar as ações de combate ao câncer no Brasil**. Brasília, 2021. Disponível em: [https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/prop\\_mostrarintegra?codteor=2221564](https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/prop_mostrarintegra?codteor=2221564). Acesso em:

05 fev. 2024.

\_\_\_\_\_. Câmara dos Deputados. **Comissão debate tratamento de doenças raras no SUS**. Brasília. 2023. Disponível em: <https://www.camara.leg.br/noticias/970122-COMISSAO-DEBATE-TRATAMENTO-DE-DOENCAS-RARAS-NO-SUS>. Acesso em: 01 fev. 2024.

BRASIL. Casa Civil. **Lei n. 8.080 de 19 de setembro de 1990**. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. Brasília, 1990. Disponível em: [https://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/leis/18080.htm](https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/18080.htm). Acesso em: 15 fev. 2024.

\_\_\_\_\_. CONITEC. **Doenças raras: Governo, especialistas e pacientes juntos por um sistema de saúde público inclusivo**. Disponível em: <http://antigo-conitec.saude.gov.br/doencas-raras-governo-especialistas-e-pacientes-juntos-por-um-sistema-de-saudepublico-inclusivo#:~:text=Ao%20todo%2C%20s%C3%A3o%2040%20Protocolos,SUS%20para%20pessoas%20com%20raras>. Acesso em: 03 jan. 2024.

\_\_\_\_\_. Constituição (1988). **Constituição da República Federativa do Brasil**. Brasília, DF: Centro Gráfico, 1988.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. Biblioteca Virtual em Saúde. **28/02 Dia das Doenças Raras**. Disponível em: <https://bvsmis.saude.gov.br/28-02-dia-das-doencas-raras/>. Acesso em: 10 fev. 2024.

\_\_\_\_\_. Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. **Portaria nº199 de 30 de janeiro de 2014**. 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. Brasília, 2014. Disponível em: [https://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](https://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html). Acesso em: 12 fev. 2024.

FIOCRUZ. **A Pediatria e as doenças raras**. Fundação Oswaldo Cruz, 2022. Disponível em: <https://www.bio.fiocruz.br/index.php/en/noticias/2828-a-pediatria-e-as-doencas-raras#:~:text=Tr%C3%AAs%20em%20cada%20quatro%20doen%C3%A7as,hemofilias%2C%20talassemias%20e%20anemia%20falciforme>. Acesso em: 07 jan. 2024.

GABRILLI, Mara. **Que se amplie a voz dos raros no Brasil**. Muitos Somos Raros, 2022. Disponível em: <https://muitosmosraros.com.br/2022/02/que-se-amplie-a-voz-dos-raros-no-brasil/>. Acesso em: 07 fev. 2024.

HOSPITAL PEQUENO PRÍNCIPE. **Doenças raras: cerca de 75% dos casos se manifestam na infância**. Complexo Hospitalar Pequeno Príncipe, 2023. Disponível em: <https://pequenoprincipe.org.br/noticia/doencas-raras-cerca-de-75-casos-manifestam-na-infancia/>. Acesso em: 06 nov. 2023.

INSERM. **300 millions de patients exceptionnels – C’est quoi les maladies rares ?** Publicado

em 25 fev. 2020 e modificado 06 fev. 2024. Disponível em: <https://www.inserm.fr/c-est-quoi/300-millions-patients-exceptionnels-c-est-quoi-maladies-rares/#:~:text=Les%20maladies%20rares%20se%20d%C3%A9clarent,les%20maladies%20rares%20d%C3%A9j%C3%A0%20d%C3%A9crites>. Acesso em: 29 mar. 2024.

MSSS. La Direction des communications du Ministère de la Santé et des Services sociaux. Bibliothèque et Archives Nationales du Québec. Plan d'action québécois sur les maladies rares 2023-2027. Gouvernement du Québec, 2023. Disponível em: <https://publications.msss.gouv.qc.ca/msss/fichiers/2023/23-916-02W.pdf>. Acesso em: 29 mar. 2024.

MONSORES, N. **Questões bioéticas sobre doenças genéticas raras**. In Dia Mundial das Doenças Raras. Câmara dos Deputados. Brasília: Centro de Documentação e Informação – Coordenação Edições Câmara, 2013.

OMS. Le droit à la Santé. Fiche d'information n. 31. Haut-Commissariat des Nations Unies aux droits de l'homme. 2009.

PIOVESAN, Flávia. **Proteção internacional dos direitos econômicos, sociais e culturais**. In: Sarlet, Ingo Wolfgang. Direitos fundamentais sociais: estudos de direitos constitucional e comparado. Rio de Janeiro: Renovar, 2003.

POLTRONERI, Fernanda Maria. **A coletivização das ações de medicamentos como amortizador da farmacialização do judiciário**. Dissertação de Mestrado em Direito Processual e Cidadania. Universidade Paranaense – UNIPAR, Umuarama, 2020.

REALE, Miguel. **Lições Preliminares de Direito**. 27. ed. São Paulo: Saraiva, 2005.

SARLET, Ingo Wolfgang. **A eficácia dos direitos fundamentais**. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 1998.

SARLET, Ingo Wolfgang; FIGUEIREDO, Mariana Filchtiner. Algumas considerações sobre o direito fundamental à proteção e promoção da saúde aos 20 anos da Constituição Federal de 1988. **Revista dos Tribunais**. Vol.1. p. 775-829, ago.2011. Disponível em: <https://www.revistadostribunais.com.br>. Acesso em: 30 jan. 2024.

SCIENSANO. Maladies rares. Disponível em: <https://www.sciensano.be/fr/sujets-sante/maladies-rares> Acesso em: 23 mar. 2024.

SILVA, José Afonso. **Curso de Direito Constitucional Positivo**. São Paulo: Malheiros, 2002.