

# **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)



## **ACESSO À SAÚDE E DOENÇAS RARAS: AS POLÍTICAS PÚBLICAS NO CONTEXTO LEGAL BRASILEIRO**

### **ACCESS TO HEALTH AND RARE DISEASES: PUBLIC POLICIES IN THE BRAZILIAN LEGAL CONTEXT**

**Marta Rodrigues Maffei** <sup>1</sup>  
**Gleyzielen Santos de Santana Vicente** <sup>2</sup>

#### **Resumo**

As doenças raras são um grande desafio para a medicina moderna. Elas afetam um grande número de indivíduos em todo o mundo e sua complexidade e gravidade muitas vezes são enormes. Nesta perspectiva, este artigo tem como objetivo discutir as principais características das doenças raras, bem como abordar as dificuldades enfrentadas pelos pacientes e suas famílias. Além disso, serão apresentadas algumas iniciativas e avanços recentes na pesquisa e no tratamento dessas doenças, enfatizando a importância de se promover mais investimentos em pesquisa e divulgação de informações sobre as doenças raras. A análise é multidisciplinar porque esse problema não se resolve sozinho, é preciso que diversos setores como os operadores do Direito, os profissionais da saúde e as três esferas de poder: Executivo, Legislativo e Judiciário para que a legislação proposta seja de fato efetivada, pois a mera criação de uma lei não é garantia de que todos terão seus Direitos resguardados.

**Palavras-chave:** Doenças raras, Direito à saúde, Políticas públicas, Direitos humanos, Acesso à saúde

#### **Abstract/Resumen/Résumé**

Rare diseases are a major challenge for modern medicine. They affect a large number of individuals around the world and their complexity and severity are often enormous. From this perspective, this article aims to discuss the main characteristics of rare diseases, as well as address the difficulties faced by patients and their families. In addition, some recent initiatives and advances in research and treatment of these diseases will be presented, emphasizing the importance of promoting more investment in research and dissemination of information about rare diseases. The analysis is multidisciplinary because this problem cannot be resolved alone, it is necessary that several sectors such as legal operators, health

---

<sup>1</sup> Bacharel e Doutora em Direito pela USP. Professora Associada da Faculdade de Direito De Ribeirão Preto da USP. Juíza de Direito do Tribunal de Justiça do Estado de São paulo

<sup>2</sup> Pós-graduanda em Direitos Humanos e Saúde pela Escola Nacional de Saúde Pública da Fundação Oswaldo Cruz (FIOCRUZ). Membro do Grupo de Pesquisa em Direito Médica e Bioética da USP-RP.

professionals and the three spheres of power: Executive, Legislative and Judiciary so that the proposed legislation is actually implemented, as the mere creation of a law is not a guarantee that everyone will have their rights protected.

**Keywords/Palabras-claves/Mots-clés:** Rare diseases, Right to health, Public policies, Human rights, Access to healthcare

## **Introdução:**

Pessoas com de doenças raras têm o acesso aos tratamentos especializados e fornecimento de medicamentos de modo bastante limitado e burocrático. Sem contar que o desenvolvimento desses medicamentos é extremamente caro, e as empresas farmacêuticas têm pouco incentivo e interesse para investir nesse setor, devido à pequena porcentagem da população acometida por essas doenças. Isso torna a disponibilidade de medicamentos ainda mais restrita, especialmente nos países em desenvolvimento, como o Brasil. Essas doenças atingem cerca de 13 milhões<sup>1</sup> de brasileiros e a grande variedade de sintomas dificulta os diagnósticos; ademais, 95% dos pacientes não alcançam a cura, contando apenas com cuidados paliativos e serviços de reabilitação. Apesar de serem doenças individualmente raras, elas acometem um percentual alto da população, o que as tornam uma pauta de saúde coletiva, e já que possuem um impacto social significativo. Existem em torno de 7 mil doenças raras e em sua maioria não existe um manejo adequado ou um protocolo a ser seguido e pouco se fala sobre elas na formação dos profissionais da saúde. Além disso, os tratamentos para doenças raras geralmente são caros, difíceis de encontrar e contam com uma pluralidade de profissionais, o que pode levar a problemas financeiros para as famílias dos pacientes. A falta de conhecimento e conscientização sobre doenças raras também pode levar a um diagnóstico tardio e à falta de tratamento adequado. Tudo isso acarreta um impacto social para os pacientes, incluindo problemas psicológicos, isolamento social, exclusão e falta de suporte emocional. Sem contar a falta de interesse da indústria farmacêutica em pesquisar e criar remédios para esse público por ser economicamente inviável.

Outra dificuldade importante é a falta de conhecimento e capacitação dos profissionais de saúde para lidar com as doenças raras, que muitas vezes não são diagnosticadas corretamente ou tratadas de forma adequada. Isso pode levar a um atraso no diagnóstico e tratamento errôneo, o que pode ter graves consequências para a saúde dos pacientes. Além disso, a falta de coordenação entre os diferentes órgãos governamentais e

---

<sup>1</sup> Segundo a Organização Mundial da Saúde (OMS), aproximadamente 350 milhões de pessoas sofrem com estas enfermidades, 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, ou aproximadamente um caso para cada duas mil pessoas. De acordo com números do Ministério da Saúde, no Brasil são 13 milhões de pacientes. Para falar sobre a realidade dos portadores dessas doenças, convidamos Tânia Bacheга, presidente da Sociedade Brasileira de Triagem Neonatal Erros Inatos do Metabolismo (SBTEIM). Tânia explica como ocorrem as alterações (cerca de 80% destas doenças são causadas por alterações genéticas, hereditárias ou adquiridas), a importância do diagnóstico precoce e os tratamentos disponíveis. (Senado federal, 2023)

instituições de saúde também dificulta a implementação de políticas públicas mais eficazes para o manejo de tais doenças.

Em relação às políticas públicas, é importante destacar que existem alguns avanços, como a criação de programas específicos para doenças raras em alguns países, incluindo o Brasil. No entanto, ainda há muito a ser feito para melhorar o acesso aos medicamentos e tratamentos, aumentar a conscientização sobre essas doenças e capacitar os profissionais de saúde. Em resumo, a pesquisa e análise das Doenças Raras e Drogas Órfãs revelam que este é um problema complexo e desafiador que requer ação conjunta de governos, indústrias farmacêuticas, profissionais de saúde e organizações da sociedade civil. É necessário investir em pesquisa e desenvolvimento de medicamentos órfãos, melhorar o diagnóstico e tratamento das doenças raras.

As doenças raras são um grande desafio para a medicina moderna. Elas afetam um número significativo de indivíduos em todo o mundo e sua complexidade e gravidade muitas vezes são enormes. Nesta perspectiva, este artigo tem como objetivo discutir as principais características das doenças raras, bem como abordar as dificuldades enfrentadas pelos pacientes e suas famílias. Além disso, serão apresentadas algumas iniciativas e avanços recentes na pesquisa e no tratamento dessas doenças, enfatizando a importância de se promover mais investimentos em pesquisa e divulgação de informações sobre as doenças raras. A análise é multidisciplinar porque esse problema não se resolve sozinho, é preciso unir o Direito, os profissionais da saúde e as três esferas de poder: Executivo, Legislativo e Judiciário.

## 1 Breve síntese das doenças raras

A Organização Mundial de Saúde, define uma Doença rara (DR) como aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos. As Doenças Raras são caracterizadas por uma ampla diversidade de sinais e sintomas e variam não só de doença para doença, mas também de pessoa para pessoa acometida pela mesma condição. Nesse mesmo sentido seguiu o Ministério da Saúde na Portaria 199/2014, cujo art. 3º adotou expressamente a definição de doença rara disposta pela OMS<sup>2</sup>.

---

<sup>2</sup> Ministério da Saúde. **Diretrizes para atenção integral à pessoa com doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde** – SUS. Brasília: Ministério da Saúde, 2014. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes\\_atencao\\_integral\\_pessoa\\_doencas\\_raras\\_SUS.pdf](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes_atencao_integral_pessoa_doencas_raras_SUS.pdf). Acesso em: 28 abril 2024.

Manifestações relativamente frequentes podem simular doenças comuns, dificultando o seu diagnóstico, causando elevado sofrimento clínico e psicossocial aos afetados, bem como para suas famílias. As Doenças Raras são geralmente crônicas, progressivas, degenerativas e até incapacitantes, afetando a qualidade de vida das pessoas e de suas famílias. O número exato de doenças raras não é conhecido, havendo uma estimativa de 6.000 e 8.000 tipos diferentes. Oitenta por cento delas decorrem de fatores genéticos, as demais advêm de causas ambientais, infecciosas, imunológicas, entre outras. Muito embora sejam individualmente raras, como um grupo elas acometem um percentual significativo da população, o que resulta em um problema de saúde relevante. O diagnóstico das doenças raras é difícil e demorado, o que leva os pacientes a ficarem meses ou até mesmo anos visitando inúmeros serviços de saúde, sendo submetidos a tratamentos inadequados, até que obtenham o diagnóstico definitivo.

As pessoas que vivem com uma doença rara enfrentam desafios distintos e significativos que surgem da infrequência da sua condição médica. Os desafios incluem uma longa jornada de diagnóstico, gestão clínica inadequada, e acesso limitado ao conhecimento e a tratamentos eficazes<sup>3</sup>.

Não seria possível organizar uma Diretriz abordando as doenças raras de forma individual devido ao grande número de doenças. Essa proposta foi organizada na forma de eixos estruturantes, que permitem classificar as doenças raras de acordo com suas características comuns, com a finalidade de maximizar os benefícios aos usuários. As Doenças Raras foram classificadas em sua natureza como: de origem genética e de origem não genética. Desta forma, foram elencados dois eixos de DR, sendo o primeiro composto por DR de origem genética: 1-Anomalias Congênitas ou de Manifestação Tardia, 2-Deficiência Intelectual, 3-Erros inatos do Metabolismo; e o segundo formado por DR de origem não genética. O eixo das anomalias congênitas inclui toda a anomalia funcional ou estrutural do desenvolvimento do feto, decorrente de fator originado antes do nascimento, seja genético, ambiental ou desconhecido, mesmo quando os defeitos não forem aparentes no recém-nascido e só se manifeste mais tarde (OPAS, 1984). Para o eixo II - Doenças Raras de Natureza não Genética - foram propostos os seguintes grupos de causas: 1- Infecciosas, 2-Inflamatórias, 3- Autoimunes, e 4 – Outras Doenças Raras de origem não Genética.

---

<sup>3</sup> Rare Diseases International. Disponível em: <https://www.rarediseasesinternational.org/pt-br/definicao-operacional-de-doencas-raras> Acesso em 29/04/2024.

Segundo o Ministério da Saúde as Doenças Raras apresentam as seguintes características.

É comum que os estudos sobre doenças raras não recebam o mesmo nível de financiamento e atenção que outras áreas da pesquisa médica. Na Declaração universal sobre o Genoma Humano e os Direitos Humanos estão a proteção da dignidade humana, a não-discriminação com base em informações genéticas, o direito à privacidade e o acesso equitativo aos benefícios decorrentes do conhecimento do genoma humano.

No que diz respeito às pessoas com doenças raras, a declaração é relevante porque reconhece o direito dessas pessoas a receber os benefícios das pesquisas genômicas, o que pode levar a melhores tratamentos e cuidados de saúde. Além disso, a declaração enfatiza a importância de se evitar a discriminação com base em informações genéticas, o que pode proteger as pessoas com doenças raras de serem tratadas de forma injusta ou inadequada.

Artigo 3: A Dignidade humana, os direitos humanos e as liberdades fundamentais são intangíveis e não podem ser reduzidos ao genoma humano.

Artigo 5: O ser humano não pode ser reduzido à sua dimensão biológica, mas deve ser considerado em sua complexidade biológica, psicológica, cultural e social."

Artigo 10: Os indivíduos têm direito à informação genética que lhes diga respeito. Esse direito inclui o acesso aos resultados de exames genéticos e a qualquer outra informação genética pertinente, bem como o direito de não saber tais resultados.

Artigo 12: Deve-se proteger a dignidade e identidade humanas contra as consequências discriminatórias do uso das informações genéticas.

Artigo 13: Deve-se respeitar o direito das pessoas à privacidade e à confidencialidade no contexto das informações genéticas.

Artigo 15: Os indivíduos têm direito à liberdade de pesquisa relativa ao genoma humano, bem como ao acesso aos benefícios decorrentes desse conhecimento.

Artigo 17: O desenvolvimento e a aplicação do conhecimento genético devem estar orientados para o bem-estar humano, o respeito pelos direitos humanos e as liberdades fundamentais, e para o desenvolvimento sustentável.

Artigo 18: O ser humano tem o direito de recorrer à justiça para exigir que sejam respeitados os princípios enunciados nesta Declaração, sem prejuízo de outros direitos e recursos jurídicos previstos pelo direito nacional e internacional. (Unesco, 1997)

Esses artigos da Declaração Universal sobre o Genoma Humano e os Direitos Humanos destacam a importância de proteger a dignidade e identidade humanas no contexto das informações genéticas, garantir o acesso dos indivíduos às informações genéticas que lhes dizem respeito e preservam a privacidade e a confidencialidade dessas informações. Além disso, destacam o direito à liberdade de pesquisa relativa ao genoma humano e a orientação do desenvolvimento e aplicação do conhecimento genético para o bem-estar humano, respeito pelos direitos humanos e desenvolvimento sustentável, ou seja a falta de interesse de pesquisa é uma violação a esses Direitos, não só isso a discriminação genômica também é presente na vida dos raros.

## **2 Legislação brasileira sobre doenças raras**

Um marco importante no Brasil sobre doenças raras é a Portaria nº 199 de 30 de janeiro de 2014, do Ministério da Saúde, que institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e aprovou as diretrizes para atenção integral às pessoas com doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), além de instituir incentivos financeiros de custeio. Porém, ainda não é uma lei e muitos estados brasileiros ainda não seguem essa política de forma efetiva. A portaria cita outras normativas do SUS que tratam de outras políticas de saúde, e em seu artigo oitavo traz alguns exemplos de responsabilidade:

### **DAS RESPONSABILIDADES**

Art. 8º São responsabilidades comuns do Ministério da Saúde e das Secretarias de Saúde dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios em seu âmbito de atuação:

I - garantir que todos os serviços de saúde que prestam atendimento às pessoas com doenças raras possuam infraestrutura adequada, recursos humanos capacitados e qualificados, recursos materiais, equipamentos e insumos suficientes, de maneira a garantir o cuidado necessário;

II - garantir o financiamento tripartite para o cuidado integral das pessoas com doenças raras, de acordo com suas responsabilidades e pactuações;

III - garantir a formação e a qualificação dos profissionais e dos trabalhadores de saúde de acordo com as diretrizes da Política de Educação Permanente em Saúde (PNEPS);

IV - definir critérios técnicos para o funcionamento dos serviços que atuam no escopo das doenças raras nos diversos níveis de atenção, bem como os mecanismos para seu monitoramento e avaliação;

V - garantir o compartilhamento das informações na RAS e entre as esferas de gestão;

VI- adotar mecanismos de monitoramento, avaliação e auditoria, com vistas à melhoria da qualidade das ações e dos serviços ofertados, considerando as especificidades dos serviços de saúde e suas responsabilidades;

VII- promover o intercâmbio de experiências e estimular o desenvolvimento

de estudos e de pesquisas que busquem o aperfeiçoamento, a inovação de tecnologias e a disseminação de conhecimentos voltados à promoção da saúde, à prevenção, ao cuidado e à reabilitação/habilitação das pessoas com doenças raras;

VIII - estimular a participação popular e o controle social visando à contribuição na elaboração de estratégias e no controle da execução da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras;

IX- contribuir para o desenvolvimento de processos e métodos de coleta, análise e produção de informações, aperfeiçoando permanentemente a confiabilidade dos dados e a capilarização das informações, na perspectiva de usá-las para alinhar estratégias de aprimoramento da gestão, disseminação das informações e planejamento em saúde; e

X- monitorar e avaliar o desempenho e qualidade das ações e serviços de prevenção e de controle das doenças raras no país no âmbito do SUS, bem como auditar, quando pertinente. (Ministério da Saúde, 2014)

Com base nisso em 2023 foi instituída a Lei 14.624/2023, a qual não versa especificamente sobre doenças raras, mas oficializa o uso em território nacional de uma fita decorada com girassóis como meio de identificação para pessoas com deficiências não aparentes, ou seja, aquelas que podem não ser imediatamente perceptíveis. De acordo com essa lei, o uso desse símbolo é uma escolha pessoal, porém não elimina a necessidade de apresentar documentos que comprovem a deficiência. É importante ressaltar que o acesso aos direitos das pessoas com deficiência não pode ser condicionado à utilização desse acessório.

Neste passo, houve a atualização da Lei nº 13.146/15 (Estatuto da Pessoa com deficiência) em seu artigo 2º que prevê a possibilidade da utilização do cordão de girassol:

Art. 2º-A. É instituído o cordão de fita com desenhos de girassóis como símbolo nacional de identificação de pessoas com deficiências ocultas. (Incluído pela Lei nº 14.624, de 2023)

§ 1º O uso do símbolo de que trata o *caput* deste artigo é opcional, e sua ausência não prejudica o exercício de direitos e garantias previstos em lei. (Incluído pela Lei nº 14.624, de 2023)

§ 2º A utilização do símbolo de que trata o *caput* deste artigo não dispensa a apresentação de documento comprobatório da deficiência, caso seja solicitado pelo atendente ou pela autoridade competente. (Brasil, 2015)

As doenças raras invisíveis são aquelas que não apresentam sintomas ou

características físicas aparentes, o que dificulta o diagnóstico e pode levar a um tratamento inadequado ou tardio. Essas doenças podem afetar diversos sistemas do corpo humano, como o sistema nervoso, cardiovascular, endócrino, imunológico, entre outros.

Alguns exemplos de doenças raras invisíveis são a *diabetes insipidus*, a síndrome de Ehlers-Danlos, a doença de Lyme, a síndrome de Guillain-Barré, uveíte. Essas doenças podem causar uma série de sintomas, como dores crônicas, fadiga intensa, problemas de memória e concentração, entre outros, mas muitas vezes os pacientes são julgados como saudáveis por não apresentarem sinais físicos evidentes. Por isso, a instituição do Cordão de Girassol como um símbolo é um grande avanço.

Neste passo, no Estado de São Paulo foi criada a Lei 17.802/2023, que trata da emissão de uma carteira de identificação destinada a pessoas que sofrem de doenças raras. Essa legislação estabelece procedimentos para a obtenção desse documento, visando facilitar o acesso a serviços.

E com esses incentivos, o Estado do Rio de Janeiro estabeleceu o estatuto para pessoas com doenças raras, Lei 10.315/24, que representa mais um marco importante nas garantias de acesso à saúde desse grupo de pessoas. Estima-se que existam cerca de sete mil doenças raras no mundo. Para conscientizar a sociedade sobre a importância de discutir o assunto, a Eurordis instituiu o Dia Mundial das Doenças Raras em 28 de fevereiro. No Brasil, essa data foi oficializada pela Lei nº 13.693/2018, que estabelece que esse dia sirva como exemplo de conscientização da população.

No Município de São Paulo foi promulgada a Lei nº 17.083/2019, que trata da implementação do Programa de Assistência a Indivíduos Afetados por Condições Raras e no Apoio a suas Famílias, juntamente com a Secretaria da Saúde e o Conselho Municipal. Trata-se de uma legislação genérica, que não delimita de forma específica a questão de acesso aos tratamentos, pois versa mais sobre apoio educacional.

De qualquer forma, a lei traz importantes contribuições ao prever em seus objetivos, por exemplo, o desenvolvimento de uma linha de cuidados para as pessoas com doenças raras, bem como a promoção de exames de diagnóstico precoce em todas as unidades da Rede Pública Municipal de Saúde. Poderia ter ido além, estabelecendo um efetivo programa de cuidados terapêuticos, mostrando-se tímida nesse aspecto. A lei ainda prevê a criação de um cadastro específico para pessoas com doenças raras, o que é de suma importância para facilitar o acesso dessas pessoas à dispensação de medicamentos, além de outros cuidados terapêuticos.

Ainda, aponta dentre seus objetivos a inclusão de cursos de qualificação para

profissionais de saúde e programas de estágios em serviços especializados para doenças raras no Plano Municipal de Educação Permanente, o que é muito bem vindo diante da necessidade de qualificação profissional no atendimento às pessoas portadoras de doenças raras.

A importância da qualificação profissional permeia no auxílio do diagnóstico precoce<sup>4</sup>, o apoio psicológico aos pacientes e suas famílias é altamente necessário, para acolher essas pessoas e não deixá-las no isolamento e desamparo, tendo que lidar com uma situação delicada de saúde, pois quando existem uma pessoa com doença rara na família todo o ambiente é afetado e atribuir um programa de atenção psicológica para essas pessoas desde a atenção básica até o ambiente mais complexo hospitalar ajuda a amenizar os impactos negativos.<sup>5</sup>

Outro ponto bastante importante do Programa é realizar campanhas de esclarecimento sobre doenças raras, seus sintomas, tratamentos e locais de atendimento, a fim de promover a informação correta e necessária para as pessoas aprenderem a lidar com essas situações. Promover informação clara e precisa é obrigação do Poder Público, a fim de implementar uma efetiva política pública de acesso ao sistema de saúde, divulgando à sociedade as características das doenças raras, bem como os locais em que é prestada. Assim,

<b>Legislação</b>	<b>Nome/Descrição da Lei</b>	<b>Ano</b>
Portaria nº 199/2014 do Ministério da Saúde	Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e aprova as diretrizes para atenção integral às pessoas com doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), além de instituir incentivos financeiros de custeio.	2014
Portaria nº 981/2014 do Ministério da Saúde	Altera, acresce e revoga dispositivos da Portaria nº 199/GM/MS, de 30 de janeiro de 2014, que 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	2014
Lei Federal nº 13.693/2018	Oficializa o Dia Mundial das Doenças Raras no Brasil.	2018
Lei Municipal de São Paulo nº 17.083 /2019	Institui, no âmbito do Município de São Paulo, o Programa de Apoio às Pessoas com Doenças Raras, e seus familiares, de acordo com a Política Municipal de Pessoas com Doenças Raras.	2019
Lei Federal nº 14.624/2023	Oficializa o uso nacional de uma fita decorada com girassóis como meio de identificação para pessoas com deficiências não aparentes.	2023
Lei Estadual nº 17.802/2023	Trata da emissão de uma carteira de identificação destinada a pessoas que sofrem de doenças raras no Estado de São Paulo.	2023

<sup>4</sup> Governo Federal lança programa de capacitação em doenças raras. Disponível em: <https://www.gov.br/mdh/pt-br/assuntos/noticias/2022/marco/governo-federal-lanca-programa-de-capacitacao-em-doencas-raras>. Acesso em: 28 abril 2024.

<sup>5</sup> Prefeitura de São Paulo. Saúde da Pessoa com Deficiência - Doenças Raras. Disponível em: [https://www.prefeitura.sp.gov.br/cidade/secretarias/saude/atencao\\_basica/index.php?p=306873](https://www.prefeitura.sp.gov.br/cidade/secretarias/saude/atencao_basica/index.php?p=306873). Acesso em: 28 abril 2024.

<b>Legislação</b>	<b>Nome/Descrição da Lei</b>	<b>Ano</b>
Lei Estadual nº 10.315/2024	Estabelece o estatuto para pessoas com doenças raras no Estado do Rio de Janeiro.	2024
Portaria nº 3.132/2024 do Ministério da saúde	Altera o Anexo XXXVIII da Portaria de Consolidação GM/MS nº 2, de 28 de setembro de 2017, para instituir a Câmara Técnica Assessora de Doenças Raras - CTA de Doenças Raras, no âmbito do Ministério da Saúde.	2024

Fonte: quadro criado pelas autoras

A atenção à saúde das pessoas com doenças raras é uma questão de direitos humanos e está contemplada em tratados internacionais, como a Convenção sobre os Direitos das Pessoas com Deficiência da ONU, ratificada pelo Brasil em 2008. Esta convenção reconhece o direito das pessoas com deficiência, incluindo as pessoas com doenças raras, à igualdade de oportunidades e participação na vida econômica, social, cultural e política.

Além disso, a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, mencionada no estudo, é uma iniciativa importante que visa garantir o acesso a cuidados de saúde adequados para as pessoas com doenças raras no Brasil. Essa política reconhece a necessidade de tratamento multidisciplinar e de ações de educação e capacitação para profissionais de saúde, além de estabelecer diretrizes para a produção e distribuição de medicamentos órfãos, pois não são todos os Estados que adotaram essa política de acesso.

A Constituição Federal brasileira de 1988 estabelece o direito à saúde como um direito fundamental dos cidadãos brasileiros. Isso significa que todos os indivíduos têm o direito de receber atendimento médico adequado, seja qual for a natureza de sua doença.

Art. 6º: São direitos sociais a educação, a saúde, o trabalho, o lazer, a segurança, a previdência social, a proteção à maternidade e à infância, a assistência aos desamparados, na forma desta Constituição.

Art. 196: A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação.

Art. 197: São de relevância pública as ações e serviços de saúde, cabendo ao Poder Público dispor, nos termos da lei, sobre sua regulamentação, fiscalização e controle, devendo sua execução ser feita diretamente ou através de terceiros e, também, por pessoa física ou jurídica de direito privado. (Brasil, 1988)

Não obstante, a Carta Magna também prevê que o Estado deve garantir o acesso universal e igualitário aos serviços de saúde, e que o Sistema Único de Saúde (SUS) é o responsável por oferecer esses serviços a todos os cidadãos brasileiros.

Para além da saúde ser considerada um direito fundamental, trata-se de um direito

humano, conforme dispõe a Declaração Universal dos Direitos Humanos da ONU:

Artigo 3: Todo ser humano tem direito à vida, à liberdade e à segurança pessoal.

Artigo 25: 1. Toda pessoa tem direito a um padrão de vida capaz de assegurar a si e a sua família saúde e bem-estar, inclusive alimentação, vestuário, habitação, cuidados médicos e os serviços sociais indispensáveis, e direito à segurança em caso de desemprego, doença, invalidez, viuvez, velhice ou outros casos de perda dos meios de subsistência fora de seu controle. (Organização das Nações Unidas, 1948)

Esses artigos afirmam que todos os seres humanos têm direito à vida, à saúde e ao bem-estar, bem como o direito a um padrão de vida adequado que inclui cuidados médicos e serviços sociais indispensáveis. A Declaração também estabelece que todos os indivíduos têm direito a uma ordem social e internacional em que seus direitos e liberdades sejam plenamente realizados, e que nenhum Estado ou pessoa tem o direito de praticar atos que violem esses direitos.

Ainda no contexto internacional, a Organização Mundial da Saúde, em 1946, definiu a saúde como um estado de completo bem-estar físico, mental e social, e não apenas como a ausência de doença ou enfermidade. As pessoas com doenças raras precisam de tratamento especializado, multiprofissional e multidisciplinar para ter uma melhor qualidade de vida. Então, por que no Brasil ainda não existe uma lei federal que regula o tratamento das pessoas com doenças raras? Muitas vezes além de terem de pagar por remédios, tratamento, transporte, essas pessoas ainda têm que despender custos, por vezes altos, para judicializarem seus pedidos, quando não puderem ser contempladas com o serviço da Defensoria Pública ou por algum advogado dativo, a fim de terem seus direitos assegurados.

De qualquer forma, vale lembrar que a normatização do tema por meio de lei federal não seria medida necessariamente suficiente para a garantia de tais direitos, que poderiam continuar sendo violados por ausência de políticas públicas capazes de suprirem as necessidades desse grupo de pessoas. Mas já equivaleria a um grande avanço, e conseqüentemente o poder executivo estaria obrigado a adotar medidas suficientes para garantia e acesso a esses Direitos.

### **3 A Restrição ao acesso a medicamentos para doenças raras**

No ano de 2022 o Conselho Nacional de Justiça editou a recomendação nº123/2022,

que advertiu os órgãos do Poder Judiciário à observância dos tratados internacionais de Direitos Humanos e o uso da jurisprudência da Corte Interamericana de Direitos Humanos. Logo temos o primeiro questionamento: Um medicamento com eficácia comprovada fora do Brasil em uma agência confiável poderia ser fornecido a esse paciente com pretexto da falta de registro?

A esse respeito, o Supremo Tribunal Federal firmou o seguinte tema: 500/STF.

1. O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais. 2. 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 nº 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 terapêutico com registro no Brasil. 4. As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União. (Supremo Tribunal Federal, 2020)

Conforme se observa, o Tema 500 foi editado pelo Supremo Tribunal Federal para evitar a condenação do Poder Público, por meio da judicialização, em conceder medicamentos não registrados na ANVISA e, portanto, ainda considerados experimentais. No entanto, ao mesmo tempo, a Corte previu a possibilidade de que tais medicamentos sejam fornecidos em casos de doenças raras e ultrarraras. Apesar do Supremo Tribunal ter se posicionado a respeito, a falta de lei federal específica burocratiza esse acesso, porque a primeira resposta normalmente recebida quando o pedido é feito via administrativa, é negativa, já que não existe uma lei determinando a obrigação do Ente Público em dispensar aquele tipo de medicação.

Criar obstáculos para se alcançar um direito fundamental com certeza é um ato que vai diretamente contra nossa Constituição. De antemão, para judicializar a importação de medicamentos sem registro na Anvisa é preciso cumprir 03 requisitos conforme o Tema 500 do STF. Primeiramente a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras).

Medicamento órfão<sup>6</sup> é aquele desenvolvido para tratar doenças raras, e ganhou essa denominação porque a indústria farmacêutica tem pouco interesse financeiro em desenvolver e comercializar produtos destinados a um número muito reduzido de doentes que padecem de doenças raras. A Resolução (RDC) nº 28/2007, traz a seguinte definição:

---

<sup>6</sup> Teste da Bochechinha. Doenças raras: o que são medicamentos órfãos?. Disponível em: <https://testedabochechinha.com.br/doencas-raras-o-que-sao-medicamentos-orfaos/>. Acesso em: 28/04/2024

III - Medicamento Órfão: termo usado para designar medicamento que se mostre eficaz no tratamento ou diagnóstico de doenças raras ou negligenciadas. (Agência Nacional de Vigilância Sanitária, 2007).

A incorporação desses medicamentos é um processo moroso e por isso muitas vezes é necessário realizar a judicialização. O tema 500 citado neste artigo tenta amenizar a espera para incorporação desses medicamentos pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e posteriormente sua inserção no SUS.

Pois bem o primeiro questionamento que fica é: O paciente que precisa fazer a pesquisa para saber se o medicamento possui registro? Se houver o pedido de registro recente o paciente é obrigado a aguardar o prazo e nesse lapso temporal sofrer com os sintomas da doença e quiçá com risco de morte? Superada essa questão, é preciso verificar a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior: Ou seja, quem vai fazer essa pesquisa de campo? O ideal não seria ter uma farmácia para dispensar e verificar esses casos? Além de otimizar o tempo para busca. Por fim, a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil é o último requisito, mas se tratando de doenças raras é sabido que muitas vezes não existe diretrizes e protocolos clínicos, mas questão que fica é: e se existir um substituto, mas este servir apenas para atenuar os sintomas e o novo medicamento sem registro com potencial de cura, o paciente seria privado? As ações que versarem sobre essa temática devem ser obrigatoriamente propostas contra a União, já que a ANVISA é um órgão descentralizado do Governo Federal.

Por fim, o Supremo Tribunal Federal aponta a necessidade de comprovação de hipossuficiência financeira, a fim de fazer jus ao recebimento do medicamento.

O Tribunal Regional Federal da 3<sup>o</sup> Região já entendeu recentemente neste sentido em 04/02/2022.

**E M E N T A** AGRAVO DE INSTRUMENTO. FORNECIMENTO DE MEDICAMENTO. DIREITO À VIDA E À SAÚDE. HIPOSSUFICIENTE. RESPONSABILIDADE SOLIDÁRIA DOS ENTES DA FEDERAÇÃO. AUSÊNCIA DE REGISTRO NA ANVISA. PREENCHIMENTO DOS REQUISITOS. MEDICAMENTO EFICAZ. AGRAVO PROVIDO. 1. A jurisprudência resta pacificada no sentido de que o funcionamento do Sistema Único de Saúde - SUS é de responsabilidade solidária entre a União, Estados-membros, Distrito Federal e Municípios; por conseguinte, qualquer um dos entes federativos possui legitimidade para figurar no polo passivo de feitos que busquem assegurar fornecimento de medicamentos. 2. A saúde é um direito social (artigo 6<sup>o</sup> da C.F.), decorrente do direito à vida (art.5<sup>o</sup>), certo que a Constituição Federal disciplina, como um dever do Estado a ser garantido mediante políticas sociais e econômicas que

visem à redução de doenças e seus agravos, com acesso universal igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação (art. 196). 3. A questão versada nos autos guarda uma peculiaridade, eis que o medicamento almejado pelo agravante não possui registro na Anvisa e é denominado órfão, ou seja, não possuem similares registrados no Brasil. 4. Acerca de tal questão, o c. Supremo Tribunal Federal já se manifestou ao analisar o Tema 500, Leading Case RE 657718, Relator Min. Marco Aurélio, com tese firmada em 22/05/2019. 5. A documentação acostada aos autos é suficiente para atender aos requisitos excepcionalmente exigidos pela Suprema Corte para o fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa. 6. Agravo de instrumento provido. PODER JUDICIÁRIO Tribunal Regional Federal da 3ª Região (4ª Turma AGRAVO DE INSTRUMENTO (202) Nº 5018304-05.2021.4.03.0000 RELATOR: Gab. 14 - DES. FED. MARCELO SARAIVA AGRAVANTE: B. D. D. O.) ( Tribunal Regional da 3º Região, 2022)

Além do cumprimento de todos esses requisitos para receber os medicamentos nos termos do Tema 500, alguns julgados que regem a matéria ainda exigem a autorização da Anvisa para importar. Sem a autorização de importação seria possível formular esse pedido perante o Poder Judiciário?

#### **4 Conclusões**

A falta de uma lei federal que garanta a equidade e políticas públicas eficientes para o tratamento das doenças raras é uma grave violação dos direitos humanos e constitucionais à saúde. A ausência de uma legislação específica implica em dificuldades para o diagnóstico precoce, tratamento e acompanhamento adequado, além de dificuldades para acesso a medicamentos órfãos e terapias inovadoras, que muitas vezes são caros e não estão disponibilizado no Brasil. Não bastassem essas dificuldades, pessoas portadoras de doenças raras ainda enfrentam uma grande batalha judicial para ter acesso a medicamentos e terapias necessárias.

Infelizmente, a verdade é que muitos medicamentos e terapias utilizados para tratar doenças raras não estão incluídos no Rol de Medicamentos do Sistema Único de Saúde (SUS), tampouco da Agência Nacional de Saúde (ANS), o que dificulta o acesso das pessoas afetadas por essas doenças a tratamentos eficazes. Um dos principais motivos para isso é o fato de que a produção de medicamentos para doenças raras pode não ser economicamente viável para as empresas farmacêuticas, uma vez que esses medicamentos têm um mercado limitado e os custos de pesquisa e desenvolvimento são muito altos. Isso pode levar a um desinteresse da indústria farmacêutica em investir no desenvolvimento de medicamentos para doenças raras.

Outro fator que contribui para a falta de medicamentos para doenças raras no SUS é a carência de incentivos governamentais para a produção de medicamentos para essas

doenças. Sem incentivos adequados, a indústria farmacêutica pode não ter o estímulo necessário para desenvolver novos tratamentos para doenças raras.

Isso acaba gerando uma situação de exclusão e desigualdade para as pessoas que sofrem de doenças raras, que muitas vezes são abandonadas pelo sistema de saúde, o que pode levar a complicações graves, incapacidade e até morte prematura, pois o acompanhamento médico deve ser multiprofissional e interdisciplinar. Essa falta de políticas públicas também prejudica o desenvolvimento de pesquisas e a criação de novos medicamentos e terapias para essas doenças.

É fundamental que haja uma maior conscientização e mobilização social sobre a importância de uma legislação específica para as doenças raras e a criação de políticas públicas eficazes para garantir o acesso igualitário a diagnóstico, tratamento e acompanhamento adequado para todas as pessoas afetadas por essas doenças o mais precoce possível. É necessário que o Estado assuma sua responsabilidade em relação à saúde pública e que seja garantido o direito à vida e à saúde para todas as pessoas, independentemente de sua condição de saúde ou de sua capacidade financeira.

É muito importante que as universidades da área da saúde incluam o estudo das doenças raras em suas grades curriculares, de forma a preparar os futuros profissionais de saúde adequadamente para lidar com as particularidades e desafios que as doenças raras apresentam. Também é importante que as universidades promovam a conscientização sobre as doenças raras entre os estudantes e a comunidade em geral, por meio de campanhas de informação e eventos de conscientização. A conscientização pode ajudar a reduzir o estigma e o preconceito em relação às pessoas com doenças raras, além de estimular a solidariedade e o engajamento da sociedade na busca por soluções para essas doenças.

## **Referências bibliográficas**

AITH, Fernando et al. **Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica**. Revista de Direito Sanitário, v. 15, n. 1, p. 10-39, 2014;

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Resolução RDC nº 28, de 26 de julho de 2007**. Dispõe sobre os requisitos mínimos para registro de medicamentos novos. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 27 jul. 2007. Seção 1, p. 63-64. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/legislacao/resolucoes-anvisa/2007/resolucao-28-26-de-julho-de-2007-1732032.pdf> Acesso em: 29 abril 2024;

BRASIL. MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras**. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html) Acesso em: 08 mar. 2024;

BRASIL. Ministério da Saúde. Doenças Raras. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/saes/doencas-raras>. Acesso em: 29 de abril de 2024.

BRASIL. MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt> . Acesso em: 08 mar. 2024;

BRASIL. MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Teste do Pezinho**. Disponível em: <https://bvsmms.saude.gov.br/teste-do-pezinho/> . Acesso em: 08 mar. 2024;

CONSTITUIÇÃO DA REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL. Brasília, DF: Senado Federal, 1988;

DIRETRIZES PARA ATENÇÃO INTEGRAL ÀS PESSOAS COM DOENÇAS Raras NO SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE – SUS. Portaria GM/MS nº 199 de 30/01/2014;

BODIN DE MORAES, Maria Celina. **Danos à pessoa humana: uma leitura civil-constitucional dos danos morais**. 2. ed. Rio de Janeiro: Processo, 2017;

ORPHANET BRASIL. **Orphanet Brasil**. Disponível em: <https://www.orphanetbrasil.org.br/> Acesso em: 08 mar. 2023;

ORGANIZAÇÃO DAS NAÇÕES UNIDAS. **Declaração Universal dos Direitos Humanos**. Paris, 10 dez. 1948. Disponível em: <https://nacoesunidas.org/wp-content/uploads/2018/10/DUDH.pdf> Acesso em: 08 mar. 2024;

**SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL (STF)**. Recurso Extraordinário (RE) nº 657718. Relator: Ministro Marco Aurélio. Tema 500 - Dever do Estado de fornecer medicamento não registrado pela ANVISA. Brasília. Disponível em: <https://portal.stf.jus.br/jurisprudenciaRepercussao/verAndamentoProcesso.asp?incidente=4143144&numeroProcesso=657718&classeProcesso=RE&numeroTema=500> Acesso em: 01 abr. 2024

TRIBUNAL REGIONAL FEDERAL DA 3ª REGIÃO (BRASIL). 4ª Turma. Agravo de Instrumento (202) Nº 5018304-05.2021.4.03.0000. Relator: Gab. 14 - Des. Fed. Marcelo Saraiva. Agravante: B. D. D. O. **Ementa: Fornecimento de medicamento. Direito à vida e à saúde. Hipossuficiente.** Responsabilidade solidária dos entes da federação. Ausência de registro na ANVISA. Preenchimento dos requisitos. Medicamento eficaz. Agravo provido. Intimação em: 04/02/2022.

UNESCO. **declaração universal sobre o genoma humano e os direitos humanos**. Paris. 1997. Disponível em: <https://www2.ufrb.edu.br/cep/images/PDF/Declarao-Universal-sobre-o-Genoma-Humano-e-os-direitos-humanos.pdf> Acesso em: 01 de março de 2024;