

O DIREITO À SAÚDE DOS PORTADORES DE DOENÇAS RARAS E A NECESSIDADE DE POLÍTICAS PÚBLICAS PARA A EFETIVAÇÃO DESTES DIREITOS

*Christianny Diógenes Maia**
*Marina dos Santos Memória***

SUMÁRIO: 1 Introdução. 2 Aspectos preliminares sobre a efetividade dos direitos sociais. 3 Por uma política pública direcionada ao tratamento das doenças raras. 3.1 As doenças raras como relevante questão de saúde pública. 3.2 O direito à saúde e a integralidade de assistência como diretriz constitucional e como princípio norteador das políticas públicas do SUS. 3.3 A efetivação do direito à saúde dos portadores de doenças raras: problematizando o tema. 3.3.1 As Políticas Públicas de recuperação e de prevenção: crítica à insuficiência das medidas adotadas. 3.3.2 A judicialização da política de saúde: o caso das doenças raras. 3.3.3 Ratificando as medidas inclusivas defendidas. 4 Considerações finais. 5 Referências.

RESUMO

A Constituição Federal de 1988 e a Lei Orgânica da Saúde (Lei 8.080/90) inauguraram, ao certo, um novo momento na história da saúde do nosso país, conferindo ampla tutela a esse direito. Entretanto, os portadores de doenças raras têm dificuldades em acessar o Sistema Único de Saúde. Além disso, o Brasil não dispõe de dados oficiais acerca do perfil de incidência dessas patologias, no intuito de darem direcionamento ao Poder Público sobre as necessidades reais desses pacientes e, conseqüentemente, à elaboração de políticas públicas específicas. A partir dessa realidade, o presente artigo, baseado em pesquisas normativas, jurisprudenciais e doutrinárias, tem por escopo justificar a necessidade de adoção de critérios diferenciados no tratamento desses pacientes. Concluímos que, no Brasil, os meios ofertados para que os pacientes em questão tenham acesso à saúde são ainda insuficientes, e apesar da atuação destacada do Poder Judiciário ao garantir tal direito, há necessidade de abordagem do problema por meio de políticas públicas mais incisivas.

* Doutoranda em Direito Constitucional pela Universidade de Fortaleza. Mestre em Direito Constitucional pela Universidade Federal do Ceará. Professora de Direito Constitucional e de Direitos Humanos e Fundamentais da Faculdade Christus. Colaboradora do Escritório de Direitos Humanos – EDH da mesma Faculdade.

** Graduanda em Direito pela Faculdade Christus. Bolsista do Programa de Iniciação Científica da referida Instituição.

Palavras-chave: Direitos fundamentais sociais. Direito à saúde, Doenças raras. Políticas públicas.

1 INTRODUÇÃO

A Constituição de 1988 (CF/88) apresenta um significativo rol de direitos fundamentais, mas, apesar de sua força normativa, alguns desses direitos ainda carecem de maior efetividade, notadamente os direitos sociais, econômicos e culturais, tais como o direito à saúde.

É inquestionável a fundamentalidade desse direito para o desenvolvimento de uma vida digna, tanto é que o Poder Constituinte Originário assim o reconheceu (art. 6º, CF/88), impondo ao Estado a obrigação de garantir a todos tal direito (arts. 196 a 200, CF/88). É notório, também, que muito ainda há de ser feito para que esse direito tão essencial seja plenamente garantido, basta verificar as recorrentes notícias que denunciam a carência do nosso Sistema de Saúde.

Porém, um número significativo de pessoas sofre ainda mais com a insuficiência da prestação desse direito. Trata-se dos portadores de doença rara, aos quais dedicamos as pesquisas desenvolvidas para a confecção deste trabalho, inseridas, portanto, na problemática da efetivação do direito à saúde.

Portanto, o presente artigo, sob um prisma crítico e inclusivo, objetiva tratar da insuficiência na abordagem, dos portadores de doenças raras, pelo Sistema Único de Saúde (SUS) e justificar a premente necessidade de políticas públicas que considerem as particularidades desse grupo de pacientes.

Para tanto, utilizamos o método dedutivo, partindo de uma pesquisa bibliográfica mais geral, de teorias já afirmadas, envolvendo os seguintes temas: direitos fundamentais sociais, princípio da dignidade da pessoa humana, mínimo existencial e cláusula da reserva do possível, dimensões objetiva e subjetiva dos direitos fundamentais e princípio da máxima efetividade das normas constitucionais. O desenvolvimento desses temas constitui uma análise preliminar, que foi inserida no item dois deste artigo, e que é essencial para contextualizar o problema das doenças raras na necessária efetivação dos direitos fundamentais.

Em seguida, no item três, passamos à análise das razões que exigem a implementação de uma política voltada às doenças raras. Dividimos esse item em três subitens: no primeiro, trazemos dados, inclusive estatísticos, por meio dos quais pretendemos demonstrar a relevância de abordagem da problemática ora posta; no segundo, propomos o estudo da integralidade da saúde como princípio e diretriz que deve pautar as políticas públicas, vinculando as ações do Poder Público à da efetivação do direito à saúde dos pacientes com doenças raras; no terceiro, com mais três subdivisões, apontamos a insuficiência das medidas de recuperação da saúde e de prevenção de agravos voltadas às patologias raras na política vigente, analisamos a judicialização da saúde e, por fim, ratificamos as medidas que consideramos necessárias para o enfrentamento da problemática.

Certas de que todos os instrumentos internacionais e nacionais que consagram direitos humanos e fundamentais não representam mero reconhecimento desses direitos, mas também vinculam os particulares e, mais especificamente em nossa abordagem, o Estado, condicionando a dignidade das pessoas com doenças raras a determinadas prestações estatais, desenvolvemos este trabalho, buscando contribuir para a efetivação do direito fundamental à saúde dessa minoria de pessoas, hoje, mal assistida pelo sistema público de saúde brasileiro.

2 ASPECTOS PRELIMINARES SOBRE A EFETIVIDADE DOS DIREITOS SOCIAIS

Os direitos sociais, econômicos e culturais pertencem à segunda dimensão de direitos fundamentais, que, segundo Paulo Bonavides, foram introduzidos no constitucionalismo das distintas formas de Estado Social, fruto das ideologias e das reflexões antiliberais do século XX, lembrando, ainda, que tais direitos nasceram abraçados ao princípio da igualdade, do qual não se podem separar.¹

Também denominados de direitos de prestação, segundo parte da doutrina, estes se diferenciam dos direitos de defesa (de *status negativus*), de primeira dimensão, por ensejarem ações positivas estatais que, por sua vez, implicam custos para o Estado. Em posição contrária, Ingo Sarlet defende que todos os direitos fundamentais são, de certo modo, direitos positivos.² Ora, os direitos de liberdade ou direitos de defesa também exigem, em geral, um conjunto de medidas positivas do Poder Público, que abrangem a alocação de recursos materiais e humanos para a sua proteção e implementação, lembramos, por exemplo, os custos do Estado para proteger o direito individual de propriedade ou para garantir o direito de petição, os quais são de primeira dimensão. Ingo Sarlet destaca, ainda, que o fator “custo” nunca constituiu um elemento impeditivo da efetivação dos direitos de defesa pela via jurisdicional, ao contrário do que se costuma ressaltar em relação aos direitos sociais, cujos “custos” assumem especial relevância no âmbito de sua efetivação, ao menos para significativa parcela doutrinária.³

Boa parte da doutrina defende, também, que os direitos de defesa e os direitos de prestação se distinguem quanto à sua forma de positivação e à sua estrutura jurídico-normativa. Segundo Ricardo Lobo Torres:

Os direitos sociais e econômicos estremam-se da problemática dos direitos fundamentais porque dependem da concessão do legislador, estão despojados do *status negativus*, não geram por si sós a pretensão às prestações positivas do Estado, carecem de eficácia *erga omnes* e se subordinam à idéia de justiça social. Revestem eles, na Constituição, a forma de princípios de justiça, de normas programáticas ou de *policy*, sujeitos sempre à *interpositio legislatoris*, especificamente na via do orçamento público, que é o documento de quantificação dos valores éticos, a conta corrente da ponderação dos princípios

constitucionais, o plano contábil da justiça social, o balanço das escolhas dramáticas por políticas públicas em um universo fechado de recursos financeiros escassos e limitados.⁴

A partir desse raciocínio, alguns doutrinadores entendem que as normas de direitos sociais não teriam aplicabilidade imediata, já que necessitariam da intervenção do legislador para se concretizarem, pois, por serem normas programáticas, apenas orientariam as ações dos Poderes Públicos, estabelecendo programas a serem seguidos. Por outro lado, destacamos as seguintes lições de Robert Alexy:

[...] a todos são conferidas posições no âmbito do direitos a prestações, na forma de direitos fundamentais sociais, que, do ponto de vista do direito constitucional, são tão importantes que a decisão sobre garanti-las ou não garanti-las não pode ser simplesmente deixada para a maioria parlamentar simples. [...]

Mesmo os direitos fundamentais sociais mínimos têm, especialmente quando são muitos que deles necessitam, enormes efeitos financeiros. Mas, isso, isoladamente considerado, não justifica uma conclusão contrária à sua existência. A força do princípio da competência orçamentária do legislador não é ilimitada. Ele não é um princípio absoluto.⁵

Apesar de as normas programáticas necessitarem de intervenção legislativa para se materializarem, questionamos: até que ponto vai a discricionariedade do Legislador ou do Executivo em concretizar esses programas constitucionais? Entendemos que a programaticidade de algumas normas de direitos sociais não implica uma liberdade absoluta dos Poderes Públicos, pois, se assim fosse, não haveria de se falar em imperatividade das normas constitucionais, ou ainda, em força vinculante da Constituição, características do atual momento constitucional. Para reforçar nosso entendimento, tomamos as lições de Crisafulli, citado por Paulo Bonavides, sobre o conceito de normas programáticas:

Com referência àquelas postas não numa lei qualquer, mas numa Constituição do tipo rígido, qual a vigente entre nós, pode e deve dar-se um passo adiante, **definindo como programáticas as normas constitucionais, mediante as quais um programa de ação é adotado pelo Estado e cometido aos seus órgãos legislativos, de direção política e administrativa, precisamente como programa que obrigatoriamente lhes incumbe realizar nos modos e formas da respectiva atividade.** Em suma, um programa político, encampado pelo ordenamento jurídico e traduzido em termos de normas constitucionais, ou seja, provido de eficácia prevalente com respeito àquelas normas legislativa ordinárias: subtraído, portanto, às mutáveis oscilações e à variedade de critérios e orientações de partido e de governo e assim obrigatoriamente prefixados pela Constituição como fundamento e limite destes.⁶ (grifo nosso)

É dever dos Poderes Públicos assegurar os ditames constitucionais, observando ao máximo a garantia dos fundamentos do Estado Democrático de Direito, dentre eles, o princípio da dignidade da pessoa humana (art. 1º, III, CF/88).

A Constituição de 1988 traz um rol amplo de direitos fundamentais, das mais diversas dimensões, pautados no princípio da dignidade da pessoa humana, fundamento da República Federativa do Brasil. Tais direitos são complementares e interdependentes entre si, de modo que a dignidade humana só se concretiza com a efetividade das variadas dimensões dos direitos fundamentais. Nessa linha de raciocínio, destacamos o conceito de dignidade da pessoa humana lecionado por Ingo Sarlet:

Temos por dignidade da pessoa humana a qualidade intrínseca e distinta reconhecida em cada ser humano que faz merecer do mesmo respeito e consideração por parte do estado e da comunidade, implicando, neste sentido, **um complexo de direito e deveres fundamentais que assegurem a pessoa tanto contra todo e qualquer ato de cunho degradante e desumano, como venham a lhe garantir as condições existenciais mínimas para uma vida saudável, além de propiciar e promover sua participação ativa e co-responsável nos destinos da própria existência e da vida em comunhão com os demais seres humanos.**⁷ (grifo nosso)

Podemos afirmar, portanto, que o princípio da dignidade da pessoa humana possui uma dupla dimensão, tanto negativa quanto positiva, consistindo não apenas na garantia negativa de que a pessoa não será alvo de ofensas ou humilhações, mas agregando também a afirmação positiva do pleno desenvolvimento da personalidade de cada indivíduo⁸, ou seja, implica não só o dever negativo de não prejudicar ninguém, mas também o dever positivo de favorecer a felicidade⁹ alheia, justificando o reconhecimento, além dos direitos individuais, também dos direitos de conteúdo econômico e social, dignidade como “limite e tarefa”.¹⁰

Reafirmando o compromisso da nova ordem constitucional com os direitos sociais e sua relação com o princípio da dignidade humana, Clémerson Clève leciona que “os direitos fundamentais sociais devem ser compreendidos por uma dogmática constitucional singular, emancipatória, marcada pelo compromisso com a dignidade da pessoa humana e, pois, com a plena efetividade dos comandos constitucionais”.¹¹

Assim, o princípio da dignidade da pessoa humana, enquanto fundamento do Estado Democrático de Direito brasileiro, impõe um *facere* aos Poderes Públicos, vinculando suas ações, é o que leciona Clémerson Clève ao discorrer sobre a *dogmática constitucional emancipatória*:

Na moderna concepção do direito constitucional desenvolveu-se uma renovada linha doutrinária conhecida como *dogmática*

constitucional emancipatória, tendo, esta vertente, o objetivo de estudar o texto constitucional à luz da idéia de dignidade da pessoa humana. Consiste em formação discursiva que procura demonstrar a radicalidade do Constituinte de 1988, tendo em vista que o tecido constitucional passou a ser costurado a partir de uma hermenêutica prospectiva que não procura apenas conhecer o direito como ele é operado, mas que, conhecendo suas entranhas e processos concretizadores, ao mesmo tempo fomenta uma mudança teórica capaz de contribuir para a mudança da triste condição que acomete a formação social brasileira.

O foco desta dogmática não é o Estado, mas, antes, a pessoa humana exigente de bem-estar físico, moral e psíquico. Esta dogmática distingue-se da primeira (*dogmática da razão do Estado*), pois não é positivista, embora respeite de modo integral a normatividade constitucional, emergindo de um compromisso principialista e personalizador para afirmar, alto e bom som, que o direito Constitucional realiza-se, verdadeiramente, na transformação dos princípios constitucionais, dos objetivos fundamentais da República Federativa do Brasil e dos direitos fundamentais em verdadeiros dados inscritos em nossa realidade existencial.¹²

É certo que a garantia de muitos direitos fundamentais depende de uma destinação orçamentária que, por sua vez, não é ilimitada, levando o Estado, muitas vezes, a invocar o *princípio da reserva do possível*, que corresponde ao fenômeno da limitação dos recursos disponíveis diante das necessidades a serem supridas pelo Poder Público. Defendemos, no entanto, que há um *mínimo existencial*, formado pelas condições materiais básicas para a existência, dentre as quais se insere o direito à saúde, correspondendo a uma fração nuclear do princípio da dignidade da pessoa humana à qual se deve reconhecer a eficácia jurídica positiva, que deve corresponder às prioridades do Estado na implantação de suas políticas públicas voltadas à garantia dos direitos fundamentais¹³, conforme destaca Ana Paula de Barcellos:

Se os meios financeiros são limitados, os recursos disponíveis deverão ser aplicados prioritariamente no atendimento dos fins considerados essenciais pela Constituição, até que eles sejam realizados. Os recursos remanescentes deverão de ser destinados de acordo com as opções políticas que a deliberação democrática apurar em cada momento. [...]

A meta central das Constituições modernas, e da CF/88 em particular, pode ser resumida, como já exposto, na promoção do bem-estar do homem, cujo ponto de partida está em assegurar as condições de sua própria dignidade, que inclui, além da proteção dos direitos individuais, condições materiais mínimas de existência. **Ao apurar os elementos fundamentais dessa dignidade (o mínimo existencial) estar-se-ão estabelecendo exatamente os alvos prioritários dos gastos públicos. Apenas depois de**

atingi-los é que se poderá discutir, relativamente aos recursos remanescentes, em que outros projetos se deverá investir. O mínimo existencial como se vê, associado ao estabelecimento de prioridades orçamentárias, é capaz de conviver produtivamente com a reserva do possível.¹⁴ (grifo nosso)

O entendimento de que o mínimo existencial obriga o Poder Público a garantir os direitos essenciais a uma vida digna está contemplado na seguinte jurisprudência do Supremo Tribunal Federal (STF), que entende necessária a atuação do Poder Judiciário quando os outros Poderes falharem na materialização desse mínimo fundamental à dignidade humana:

Não obstante a formulação e a execução de políticas públicas dependam de opções políticas a cargo daqueles que, por delegação popular, receberam investidura em mandato eletivo, cumpre reconhecer que não se revela absoluta, nesse domínio, a liberdade de conformação do legislador, nem a de atuação do Poder Executivo. É que, se tais Poderes do Estado agirem de modo irrazoável ou procederem com a clara intenção de neutralizar, comprometendo-a, a eficácia dos direitos sociais, econômicos e culturais, afetando, como decorrência causal de uma injustificável inércia estatal ou de um abusivo comportamento governamental, aquele núcleo intangível consubstanciador de um conjunto irreduzível de condições mínimas necessárias a uma existência digna e essenciais à própria sobrevivência do indivíduo, aí, então, justificar-se-á, como precedentemente já enfatizado - e até mesmo por razões fundadas em um imperativo ético-jurídico -, a possibilidade de intervenção do Poder Judiciário, em ordem a viabilizar, a todos, o acesso aos bens cuja fruição lhes haja sido injustamente recusada pelo Estado¹⁵.

Além do exposto, convém, também, destacarmos as dimensões subjetiva e objetiva dos direitos fundamentais, que reforçam seu caráter vinculante. Corroborando com o entendimento da melhor doutrina, no sentido de que tais direitos geram para os indivíduos a faculdade de ingressarem junto ao Judiciário pleiteando o cumprimento da obrigação, por parte do Estado, de garantir determinado direito fundamental, Dimitri Dimoulis e Leonardo Martins dispõem sobre a dimensão subjetiva dos direitos fundamentais:

A dimensão subjetiva aparece também nos direitos fundamentais que fundamentam pretensões jurídicas próprias do *status positivus*. Quando o indivíduo adquire um *status* de liberdade positiva (liberdade para alguma coisa) que pressupõe a ação estatal, tem como efeito a proibição de omissão por parte do estado. Trata-se aqui de direitos sociais e políticos e de *garantias processuais* entre as quais a mais relevante é a garantia de acesso ao Judiciário para apreciação de toda lesão ou ameaça a direito (art. 5º, XXXV). O efeito para o Estado é o dever de fazer algo.¹⁶

Além disso, a dimensão objetiva dos direitos fundamentais reforça a tese Neoconstitucional de que tais direitos ocupam um *status* privilegiado no nosso Ordenamento Jurídico, funcionando como um “sistema de valores” para o intérprete, irradiando-se por todas as normas jurídicas. Nessa linha de raciocínio, Paulo Bonavides destaca que:

Com efeito, os direitos e garantias ao extrapolarem aquela dimensão cidadão-Estado, adquirem, segundo Böckenforde, uma dimensão até então ignorada - a de norma objetiva, de validade universal, de conteúdo indeterminado e aberto, e que não pertencem nem ao Direito Público, nem ao Direito Privado, mas que compõe a abóbada de todo o ordenamento jurídico enquanto direito constitucional de cúpula.¹⁷

Com isso, entendemos que a dimensão objetiva dos direitos fundamentais ressalta que a efetividade de tais direitos constitui a verdadeira finalidade do Estado e da Sociedade, implicando, até mesmo, uma mudança de postura da sociedade, como adverte Daniel Sarmento:

A dimensão objetiva decorre do reconhecimento de que os direitos fundamentais condensam os valores mais relevantes para determinada comunidade política. E, como garantia de valores morais coletivos, os direitos fundamentais não são apenas um problema do Estado, mas de toda a sociedade. Neste sentido, é preciso abandonar a perspectiva de que a proteção dos direitos humanos constitui um problema apenas do Estado e não também de toda a sociedade. A dimensão objetiva liga-se a uma perspectiva comunitária dos direitos humanos, que nos incita a agir em sua defesa, não só através dos instrumentos processuais pertinentes, mas também no espaço público, através de mobilizações sociais, da atuação em ONG's e outras entidades, do exercício responsável do direito de voto.¹⁸

Ademais, lembremos, ainda, o *princípio da máxima efetividade* das normas constitucionais, ou seja, tais normas são dotadas de eficácia jurídica e devem ser interpretadas e aplicadas, buscando sua máxima efetividade, reforçando, portanto, a materialização da dignidade da pessoa humana, conforme é ressaltado por Paulo Bonavides:

Toda problemática do poder, toda a porfia de legitimação da autoridade e do Estado no caminho da redenção social há de passar, de necessidade, pelo exame do papel normativo do princípio da dignidade da pessoa humana. Sua densidade jurídica no sistema constitucional há de ser, portanto, máxima, e se houver reconhecidamente um princípio supremo no trono da hierarquia das normas, esse princípio não deve ser outro senão aquele em que todos os ângulos éticos da personalidade se acham consubstanciados.¹⁹

A Constituição Cidadã, portanto, ao estabelecer o Estado Democrático de Direito fundado no princípio da dignidade humana, impõe ações voltadas para a garantia dos direitos fundamentais e cria, no País, um sentimento constitucional que fortalece a cidadania, impulsionando a luta por direitos e potencializando a participação dos brasileiros nos espaços de decisões. Assim, a Constituição deixa de ser uma promessa vazia para assumir um protagonismo, sem precedentes, no universo jurídico.

Dentre os direitos fundamentais sociais, inclui-se o direito à saúde, tema central deste trabalho, que se encontra protegido constitucionalmente no *caput* do art. 6º e nos arts. 196 a 200 da Carta Constitucional, sobre o qual passaremos a discorrer, focando o direito à saúde dos pacientes de doenças raras e as problemáticas em torno do tema.

3 POR UMA POLÍTICA PÚBLICA DIRECIONADA AO TRATAMENTO DAS DOENÇAS RARAS

3.1 As doenças raras como relevante questão de saúde pública

Os pacientes com doenças raras estão mais suscetíveis às deficiências do sistema público de saúde, e a baixa incidência dessas doenças contribui para torná-los grupo vulnerável em saúde. Para auxiliar esse entendimento, destacamos as lições de Adriana Miranda e Rosane Lacerda, ao assinalarem que a vulnerabilidade se relaciona a duas situações de suscetibilidade: a desigualdade e a diferença. Nesse contexto, as autoras defendem que grupos com certas especificidades devem ser submetidos a tratamento jurídico diferenciado, permitindo a sua inclusão social:

Os princípios da igualdade, universalidade e equidade, aliados à garantia do direito de participação na formulação das políticas públicas em saúde, são portanto de importância capital para que **os grupos vulneráveis – consideradas tanto as suas identidades e necessidade específicas quanto às situações desvantajosas a que são submetidos – tenham garantidos o mesmo direito à saúde que os demais segmentos, sendo contudo respeitados em suas necessidades específicas.** [...] ²⁰ (grifo nosso)

Podemos dizer que os pacientes com doenças raras, em virtude das próprias características dessas patologias (rápida progressão, sintomas severos, característica crônicas e degenerativas), necessitam de abordagem diferenciada, razão pela qual afirmamos que constituem grupo vulnerável de pacientes.

Ratificando a relevância da temática, a Organização Europeia de Doenças Raras (EURORDIS) afirma que existem implicações médicas e sociais para os portadores de doenças raras: as médicas dizem respeito ao fato de serem

doenças pouco estudadas, sendo o diagnóstico preciso, quando ocorre, dado tardiamente. As conseqüências sociais são relativas à cobertura inadequada do sistema público de saúde, requerendo políticas específicas.²¹

Um estudo realizado pela referida organização, em 2006, por meio da aplicação de questionários a pacientes, em instituições de 17 países europeus que trabalham com doenças raras, apresentou os seguintes dados: para 25% dos pacientes, o diagnóstico correto levou de 5 a 30 anos, a contar do início dos sintomas; 40% dos pacientes receberam diagnóstico errado ou não o receberam. Quando impreciso, os diagnósticos levaram a intervenções desnecessárias: 16% passaram por cirurgia, 33% não receberam tratamento adequado e em 10% foram considerados portadores dos casos psicossomáticos. Além disso, o trabalho cita a peregrinação dos pacientes em busca do diagnóstico: 25% viajaram para outra região para obter confirmação e 2% relataram que tiveram que buscar ajuda fora do seu país.²²

A preocupação pública com as dificuldades enfrentadas pelos portadores de doenças raras foi primeiramente apresentada pelos Estados Unidos, por intermédio do Comitê Nacional de Doenças Raras do governo, em 1989, ao identificar os problemas que afetam o tratamento desses pacientes, como pouca informação sobre doenças raras, dificuldades de financiamento de pesquisa, obstáculos na promoção da adequada cobertura de tratamento, e disponibilidade limitada de tratamentos efetivos.²³

Trazendo o tema para o cenário brasileiro, destacamos alguns dos problemas, apontados por Mônica Vinhas de Souza *et al.*, que exigem a implementação de uma política específica para doenças raras: 1) As doenças raras representam importante causa de mortalidade infantil no Brasil; 2) 85-90% das doenças raras são graves e põem em risco a vida dos pacientes; 3) o número de pacientes diagnosticados com esse tipo de doença tende a aumentar; 4) o custo dos medicamentos geralmente é elevado; 5) inexistência de uniformidade de conduta dos estados brasileiros no enfrentamento dessa problemática, com relação à implantação de programas para o atendimento dos pacientes; 6) judicialização da saúde, já que a maioria dos medicamentos é obtida por demandas judiciais.²⁴

Os problemas acima elencados colocam os pacientes à mercê de decisões judiciais subjetivas. Tais decisões podem refletir um caráter conservador, quando não reconhecem os direitos em questão, devido ao fato de os condicionarem à observância de critérios legais objetivos, que entendemos não se adequarem às especificidades desse grupo de pacientes, e assim, não poderiam ser parâmetros para julgamento. Entretanto, essas decisões podem ser progressistas, ao garantir a efetividade de tais direitos fundamentais, conforme destaques jurisprudenciais apresentados adiante. De todo modo, inevitavelmente, tais problemas evidenciam a situação de insegurança jurídica que permeia a vida de quem tem doença rara.

A análise de Paloma Oliveto também nos mostra a dimensão das dificuldades desses pacientes e ratifica a necessidade premente de enfrentamento dos problemas relacionados à efetivação do direito à saúde do grupo em estudo:

A preocupação com essas pessoas é tão pouca no país que nem existe um levantamento oficial para determinar quantos pacientes são acometidos por males desconhecidos mesmo por profissionais da saúde. De acordo com a organização não governamental Europeia Eurordis, formada por associações de portadores, no mundo todo cerca de 8% da população é vítima de alguma doença chamada rara. Na realidade brasileira, isso significaria mais de 15 milhões de habitantes sofrendo de um dos 5 mil tipos de enfermidades reconhecidas pela Organização Mundial de Saúde. O número equivale a sete vezes a população do Distrito Federal (grifo nosso).²⁵

A partir dos dados apresentados, é possível concluir que a mobilização governamental, com elaborações de políticas públicas específicas, faz-se necessária, primeiramente, para capacitar os profissionais de saúde para o correto atendimento e tratamento de doenças ainda pouco conhecidas, o que prolonga, portanto, as dificuldades enfrentadas por pacientes e por seus familiares em busca de respostas e de alívio para sintomas, geralmente, de rápida progressão que colocam a dignidade dos pacientes em questão; em segundo lugar, para a organização em centros de referência, como vem ocorrendo em diversos países²⁶, permitindo uma maior cooperação entre os pacientes e os gestores na disseminação de informações, o que contribui para uma melhor condição de vida dos pacientes.

3.2. O direito à saúde e a integralidade de assistência como diretriz constitucional e como princípio norteador das políticas públicas do SUS

Saúde, segundo a Constituição da Organização Mundial de Saúde (OMS), é um “estado de completo bem estar físico, mental e social, e não consiste apenas na ausência de doença ou enfermidade”, sendo reconhecida como um dos “direitos fundamentais de todo ser humano, sem distinção de raça, religião, credo político e condição econômica ou social”.²⁷

Na CF/88, o direito à saúde representa não só um direito fundamental, mas também um *dever fundamental*, estabelecido no *caput* do art. 196: “Saúde é direito de todos e dever do Estado”, que se materializa em duas dimensões, uma defensiva, relacionada à proteção da saúde, e outra *lato sensu*, relacionada ao dever de promoção à saúde, ambas sendo destinadas aos particulares e, principalmente, ao Poder Público, apontando-se, portanto, para a importância da dimensão objetiva do direito à saúde, que gera, para além dos efeitos genéricos relacionados à dimensão objetiva de todos os direitos fundamentais, deveres derivados e originários, dependentes de regulamentação normativa infraconstitucional e impostos diretamente pela própria Constituição, respectivamente.²⁸

O conceito de saúde albergado pela CF/88 é amplo e conexo com aquele proposto pela OMS e, nesse sentido, a Carta Magna, “ao aduzir à ‘recuperação’, estaria conectada ao que se convencionou chamar de saúde curativa; as expressões ‘redução do risco de doença’ e ‘proteção’, por seu turno, teriam relação com

a saúde preventiva; enquanto, finalmente, o termo ‘promoção’ estaria ligado à busca de qualidade de vida”.²⁹

Assim, nessa definição, é possível incluir todos os meios necessários ao alcance do equilíbrio preconizado pela OMS e acatado pela CF/88, que deve ser materializado por meio de medidas de “promoção, proteção e recuperação” da saúde, nos termos do art. 196 da CF/88, as quais são viabilizadas por políticas públicas.

Maria Paula Dallari Bucci estabelece o seguinte conceito para políticas públicas, sentido que emprestamos ao termo, nesse artigo:

Política pública é o programa de ação governamental que resulta de um processo ou conjunto de processos juridicamente regulados – processo eleitoral, processo de planejamento, processo de governo, processo orçamentário, processo legislativo, processo administrativo, processo judicial – visando coordenar os meios à disposição do Estado e as atividades privadas, para a realização de objetivos socialmente relevantes e politicamente determinados. Como tipo ideal, política pública deve visar à realização de objetivos definidos, expressando a seleção de prioridades, a reserva de meios necessários à sua consecução e o intervalo de tempo em que se espera o atingimento dos resultados.³⁰

A política pública de saúde brasileira, com dispositivos relacionados ao Sistema Único de Saúde, foi prevista na Lei 8.080/1990, conhecida como Lei Orgânica da Saúde. Essa Política Pública, mais abrangente, dá origem a políticas públicas específicas, que são parte do SUS e que visam a atender determinados grupos de pacientes.

Dessa forma, as políticas públicas de saúde direcionadas a determinados objetivos são desdobramentos de uma política mais abrangente, estabelecida pela Lei Orgânica da Saúde (Lei 8.080/1990), que traz disposições sobre o Sistema Único de Saúde, cujos princípios, coadunados às diretrizes constitucionais estabelecidas no artigo 198 da Constituição Federal³¹, devem orientar o gestor público na tomada de decisões:

[...] Uma vez estabelecidos os princípios que organizam o SUS, a Constituição aponta caminhos (diretrizes) que devem ser seguidos para que se alcancem os objetivos nela previstos. Se os princípios são os alicerces do Sistema, as diretrizes são os seus contornos. O recado dado pela Constituição resta evidente: os objetivos do SUS devem ser alcançados de acordo com os princípios fundamentais e em consonância com diretrizes expressamente estabelecidas pela Constituição e pela Lei Orgânica da Saúde. Tais princípios e diretrizes vinculam todos os atos realizados no âmbito do Sistema (sejam eles da Administração Direta ou Indireta, sejam eles normativos ou fiscalizatórios).³²

Os princípios do Sistema Único de Saúde encontram-se elencados no art. 7º da Lei 8.080/90³³, dentre os quais destacamos a integralidade de assistência, definida como “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”.

A integralidade assume, simultaneamente, o papel de princípio e de diretriz constitucional, por força do art. 7º da Lei 8.080/90 e do inciso II do art. 198 da CF/88, respectivamente, estabelecendo um atendimento com prioridade para as atividades preventivas. A esse respeito, Fernando Aith faz interessante afirmação ao analisar a relação entre a integralidade e suas implicações, quando da não observância do Estado às ações preventivas:

A diretriz de integralidade às ações e serviços públicos de saúde representa um importante **instrumento de defesa do cidadão contra eventuais omissões do Estado**, pois este é obrigado a oferecer, **prioritariamente, o acesso às atividades preventivas de proteção da saúde. A prevenção é fundamental para evitar a doença, entretanto, sempre que esta acometer um cidadão, compete ao Estado oferecer um atendimento integral, ou seja, todos os cuidados de saúde cabíveis para cada tipo de doença, dentro do estágio de avanço do conhecimento científico existente [...]**³⁴. (grifo nosso)

Uma política pública de cuidados integrais poderia voltar-se, por exemplo, para enfrentar as seguintes situações: casais com histórico de doenças genéticas na família, que precisam avaliar a probabilidade de a enfermidade acometer seus descendentes; pacientes, em decorrência das complicações da doença, que necessitam de tratamento multiprofissional em saúde, muitas vezes para que os benefícios proporcionados pelo tratamento farmacológico sejam alcançados a contento; capacitação profissional para a identificação dos primeiros sinais e sintomas de enfermidades raras, proporcionando aptidão e segurança na abordagem clínica do paciente, contando com uma estrutura mínima para a realização dos procedimentos necessários em cada caso; pesquisas que precisam ser impulsionadas. Entretanto, muito ainda há que ser feito para que propostas como essas se tornem acessíveis.

Além de políticas públicas preventivas, ressaltamos a importância das ações curativas ou de recuperação, que estão mais diretamente relacionadas aos tratamentos, sobretudo medicamentoso. Sobre o assunto, ressalta Marcos Maselli Gouvêia:

Questionável a eficácia do art. 196 da Constituição como supedâneo para o pedido de fornecimento estatal de medicamentos, resta tal óbice ultrapassado quando se tem em mente **o art. 6º, I, d, da Lei 8.080/90 que, de modo peremptório, inclui no campo de atuação do SUS “a execução de ações de assistência**

terapêutica integral, inclusive farmacêutica". Ainda que se compreenda o preceito constitucional como norma programática, impende reconhecer que foi evidente o propósito do legislador de densificá-la, dirimindo qualquer dúvida quanto à existência de um direito subjetivo ao amparo terapêutico e farmacêutico.

Refulge neste dispositivo a menção ao caráter *integral* da assistência a ser prestada, referência esta que, longe de mera figura retórica, desempenha importante papel interpretativo. [...] Quando o art. 6º, VI, da Lei 8.080/90 encarrega o SUS da "formulação da política de medicamentos, equipamentos, imunobiológicos e outros insumos de interesse para a saúde", ou quando estabelece – na esteira da Constituição – um emaranhado sistema de financiamento para as ações de saúde, não está conferindo ao legislador uma autorização para [...] restringir o alcance do direito material, de fundo, à plena assistência farmacêutica. Embora reconhecendo a importância do trabalho de previsão e controle das ações e despesas, é imperioso ter em mente que a ênfase da lei recai [...] sobre **a execução das ações-fim**, com destaque para a prestação da **integral** assistência terapêutico-farmacêutico. [...] ³⁵

Portanto, fica claro que tanto as ações preventivas quanto as curativas são imposições constitucionais, que contornam o SUS por meio de suas diretrizes, não sendo possível que o gestor público restrinja o alcance dos ditames da Lei Maior, ou seja, não se configura uma possibilidade de escolha entre a adoção de uma linha de ação preventiva ou curativa, uma vez que elas devem ser vistas em conjunto, pois são dependentes, devendo ser, nessa condição, respeitadas.

3.3. A efetivação do direito à saúde dos portadores de doenças raras: problematizando o tema

Passaremos a analisar a situação da assistência à saúde dos portadores de doenças raras no Brasil, com foco nas ações curativas e preventivas por parte dos Poderes Públicos e em um estudo da atuação do Poder Judiciário na efetivação dos direitos desses pacientes. Apontamos, outrossim, medidas inclusivas para o atendimento deles pela política pública de saúde vigente.

3.3.1. As Políticas Públicas de recuperação e de prevenção: crítica à insuficiência das medidas adotadas

O direito à saúde não pode ser dissociado do acesso aos medicamentos, pois eles têm papel essencial em todos os níveis de cuidado, sendo indispensáveis à manutenção e à recuperação da saúde, bem como à prevenção de doenças.

Entretanto, os medicamentos para doenças raras carecem de incentivos governamentais à pesquisa e à produção. Tais medicamentos são denominados órfãos porque os investimentos em pesquisas não são retornáveis, economicamente, da maneira desejada pelas indústrias, em virtude do reduzido número

de pacientes destinatários dos produtos:

Medicamentos órfãos são produtos médicos destinados à prevenção, diagnóstico ou tratamento de doenças muito graves ou que constituem um risco para a vida e que são raras. [...] Estes medicamentos são designados como órfãos porque, em condições normais de mercado, a indústria farmacêutica tem pouco interesse no desenvolvimento de produtos dirigidos para o pequeno número de doentes afetados por doenças muito raras. Para as companhias farmacêuticas, os custos do desenvolvimento de um medicamento dirigido a uma doença rara não seriam recuperados pelas vendas esperadas para esse produto [...]³⁶

Assim, a pesquisa e a produção desses medicamentos necessitam ser impulsionadas pelo Poder Público. O estudo com a experiência de outros países no enfrentamento dessa problemática mostra que o desenvolvimento de medicamentos órfãos pode ser aperfeiçoado, conforme afirmam Patrice Trouiller *et al*, por parcerias entre os setores público, representado, por exemplo, pelas agências governamentais, pela academia, pelas instituições de apoio a pacientes e pelas fundações, e o setor privado, representado pelas indústrias farmacêuticas. No caso, podem ser oferecidos créditos fiscais, exclusividade de mercado e proteção da propriedade intelectual, com a contrapartida da pesquisa e desenvolvimento de medicamento destinado ao tratamento de doença rara, o que é feito, por exemplo, nos Estados Unidos, desde 1983, com o *Orphan Drug Act*, legislação que foi estabelecida visando à regulamentação dessa parceria entre setor público e privado.

No que tange às políticas públicas relacionadas à acessibilidade aos medicamentos órfãos, no Brasil, a Assistência Farmacêutica³⁷ disponibiliza alguns medicamentos para o tratamento de doenças raras, por meio de seu atual Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), instituído pela Portaria 2.981/2009.³⁸

A partir de uma análise normativa do CEAF, observamos que este continua seguindo a linha da *Medicina Baseada em Evidências*³⁹, por meio dos *Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas* (PCDT)⁴⁰, mas com uma reorganização da assistência farmacêutica básica e especializada, resultando em uma ampliação no financiamento do CEAF de R\$ 402,8 milhões e otimização de R\$ 250 milhões ao ano⁴¹.

Ressaltamos que o aumento do financiamento proporcionado pelas mudanças, por si só, não é capaz de mudar a realidade de quem vive com uma doença rara. A alocação de recursos deve ser concatenada à elaboração de novos protocolos clínicos e à revisão periódica dos Componentes da Assistência Farmacêutica, visando à inclusão de novos medicamentos, permitindo que, progressivamente, os portadores de doenças raras tenham seus direitos garantidos e efetivados no âmbito do SUS.

Portanto, a inclusão de tratamento para algumas doenças raras à Assistên-

cia Farmacêutica do SUS é *insuficiente* para a concretização do direito à saúde de pacientes com essas patologias, revestindo-se tal conduta de cunho meramente paliativo, uma vez que não é reflexo de estratégias voltadas a esse escopo, ou seja, à ampliação do rol de pacientes a serem atendidos pelo SUS. Nesse contexto, destacamos os esforços envidados pelas associações de pacientes para que as doenças raras sejam, também, alvo de atuação do sistema público de saúde.

No entanto, afirmamos ainda ser insuficiente a ampliação proporcionada pelo Poder Público, pois, no presente, a atualização do CEARF, com inclusão de novos medicamentos, esbarra em critérios relacionados aos parâmetros e aos procedimentos adotados para inclusão de novos produtos ao SUS, que são genéricos, utilizados para todas as patologias. Esses critérios são inadequados, porque não é razoável avaliar a incorporação de tecnologias ou de medicamentos da mesma forma para doenças que atingem milhões de pessoas ou que sejam diagnosticadas com facilidade e para aquelas que os dados oficiais de incidência são ainda pouco conhecidos.

Essa situação é agravada pela própria condição de raridade das doenças, que não atingindo um número significativo de pacientes, não chama atenção das autoridades, não compele o Poder Público a adotar novas condutas, ao contrário do que ocorre com as dificuldades enfrentadas por um número maior de pacientes, pois geram repercussão mais expressiva e, de certa forma, adquirem maior visibilidade.

Lembremos, ainda, que o Estado deve dar preferência às ações preventivas, sem prejuízo dos serviços de assistência, nos termos da CF/88 e, nesse contexto de prevenção de agravos, a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica (PNAIGC), instituída no âmbito do SUS por meio da Portaria 81/2009, terá grande importância, uma vez que cerca de 80% das doenças raras tem origem genética.⁴²

O texto dessa Portaria define como objetivos da PNAIGC, em linhas gerais, tratar e reabilitar portadores de doenças genéticas, em todos os níveis de atenção, contando com equipe multiprofissional, para “possibilitar a identificação de determinantes e condicionantes de principais problemas de saúde relacionados a anomalias congênitas e doenças geneticamente determinadas”, o que, por seu turno, fornecerá “subsídios para a elaboração de ações e políticas públicas no setor, sem prejuízo da participação social”, além de incentivar a pesquisa e a incorporação de novas tecnologias em genética, bem como qualificar a assistência e promover a educação permanente dos profissionais da área, estabelecendo-se ações de promoção e de prevenção em genética.

Não restam dúvidas, portanto, de que a concretização dessa portaria traria grandes ganhos para os pacientes, atualmente sem uma devida assistência. De acordo com o texto do artigo 5º da Portaria 81/2009, a plena estruturação da PNAIGC compete à Secretaria de Atenção à Saúde, do Ministério da Saúde, que, em recente nota publicada à imprensa⁴³, afirma que estão sendo anali-

sados aspectos “técnicos e operacionais” relativos à Política instituída, “para estabelecer parâmetros de necessidades de serviços, regulação de atendimento e protocolos de atendimento para pessoas portadoras de alterações genéticas. O estudo técnico encontra-se em análise no Ministério e entrará em consulta pública assim que esta fase for finalizada”. Entretanto, não foi mencionada previsão para finalização desse estudo e para a implementação da Política.

Salmo Raskin alerta para a premente necessidade da concretização da genética no SUS e da dignidade dos pacientes com doenças raras:

Em janeiro de 2009, foi publicada a Portaria 81/ 20 de janeiro de 2009, que instituiu, no âmbito do SUS, a Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica, assinada pelo Ministro da Saúde, José Gomes Temporão. Porém a Secretaria de Atenção à Saúde (SAS) não publicou as medidas necessárias para plena estruturação da política. [...]

A maioria das doenças raras são graves, incuráveis, crônicas, frequentemente degenerativas e progressivas, além de constituírem risco de vida. A qualidade de vida dos pacientes é frequentemente afetada pela perda ou diminuição da autonomia. Os pacientes e suas famílias enfrentam o preconceito, a marginalização, a falta de esperança nas terapias e a falta de apoio para o dia-a-dia. Isso acontece em todo o mundo, não apenas no Brasil.

[...] devemos todos os dias assegurar que o bem mais precioso do ser humano – A VIDA – seja garantido e tratado com dignidade. Podemos dizer que dignidade é viver com qualidade, podendo usufruir de todas as conquistas da humanidade. Negar ao ser humano, qualquer uma destas conquistas, significa degradar sua dignidade. [...] ⁴⁴

Vimos que a própria condição de raridade dificulta o acesso à saúde por pacientes com doenças raras. Essa realidade é agravada quando inexiste legislação voltada ao desenvolvimento e à pesquisa dos chamados medicamentos órfãos e quando da burocrática implementação de serviços de saúde, colocando a dignidade desses pacientes em xeque. Nesse contexto, há necessidade de atuação mais incisiva do Poder Executivo e Legislativo, destacando-se a atuação do Poder Judiciário na materialização de direitos negados ou violados pelos outros Poderes, sobre a qual passaremos a discorrer.

3.3.2. A judicialização da política de saúde: o caso das doenças raras

Salvo alguns casos de pacientes que tiveram o tratamento incluído na lista da Assistência Farmacêutica, o direito fundamental à saúde dos portadores de doenças raras tem sido concretizado por via judicial. Recentemente, inclusive,

o STF manifestou-se sobre a questão do fornecimento de medicamento não elencado em lista do SUS, para tratamento de doença rara:

O Tribunal negou provimento a agravo regimental interposto pela União contra a decisão da Presidência do STF que, por não vislumbrar grave lesão à ordem, à economia e à saúde públicas, indeferira pedido de suspensão de tutela antecipada formulado pela agravante contra acórdão proferido pela 1ª Turma do Tribunal Regional Federal da 5ª Região. Na espécie, o TRF da 5ª Região determinara à União, ao Estado do Ceará e ao Município de Fortaleza que fornecessem a jovem portadora da patologia denominada Niemann-Pick tipo C certo medicamento que possibilitaria aumento de sobrevida e melhora da qualidade de vida, mas o qual a família da jovem não possuiria condições para custear. [...] Relativamente à possibilidade de intervenção do Poder Judiciário, reportou-se à decisão proferida na ADPF 45 MC/DF (DJU de 29.4.2004), acerca da legitimidade constitucional do controle e da intervenção do Poder Judiciário em tema de implementação de políticas públicas, quando configurada hipótese de injustificável inércia estatal ou de abusividade governamental. [...] Afastaram-se, da mesma forma, os argumentos de grave lesão à economia e à saúde públicas, haja vista que a decisão agravada teria consignado, de forma expressa, que o alto custo de um tratamento ou de um medicamento que tem registro na ANVISA não seria suficiente para impedir o seu fornecimento pelo poder público.⁴⁵

O reconhecimento da existência de um direito subjetivo bem como a apreciação pelo Poder Judiciário não afastam a necessidade de abordagem da problemática pelo Poder Público; pelo contrário, ratifica-se que o acesso dos pacientes portadores dessas doenças ao SUS é obstacularizado, denunciando, portanto, a necessidade de esses pacientes terem seus direitos garantidos, reconhecidos e efetivados no Sistema Público de Saúde Brasileiro, que precisa ser reorganizado de modo a acolher essas demandas, considerando-se as necessidades inerentes a esse grupo, e permitindo a coexistência com os demais serviços de saúde estabelecidos e o respeito ao direito dos demais pacientes, não sendo possível estabelecer “relativismo” nessa área, de acordo com Andreas Krell:

Nesse contexto, não parece ser bem escolhido o exemplo trazido pelo autor, que deveria ficar ao critério do Executivo a escolha se tratará com os recursos disponíveis “milhares de doentes vítimas de doenças comuns à pobreza ou um pequeno número de doentes terminais de doenças raras ou de cura improvável”. A resposta coerente na base da principiologia da Carta de 1988 seria: tratar todos! E se os recursos não são suficientes, deve-se retirá-los de outras áreas [...] onde sua aplicação não está tão intimamente ligada aos direitos mais essenciais do homem: sua vida, sua integridade física e saúde. Um relativismo nessa área pode levar a

“ponderações” perigosas e anti-humanistas do tipo “por que gastar dinheiro com doentes incuráveis ou terminais?”⁴⁶

Desse modo, não cabe considerar a total discricionariedade do Poder Público quanto à destinação dos recursos para a saúde, já que esse direito, conforme exposto anteriormente, compõe o mínimo existencial, núcleo essencial do princípio da dignidade da pessoa humana, não cabendo, portanto, a invocação da cláusula da reserva do possível. Em casos como os analisados nesse trabalho, em que há visível omissão dos responsáveis pela implementação de políticas públicas, não há que se observar limites de atuação impostos ao Poder Judiciário pelo princípio da separação dos Poderes, pois tal princípio resta superado pela necessária efetivação da dignidade humana.

Ademais, como um dos paradigmas do Neoconstitucionalismo, temos a dimensão objetiva dos direitos fundamentais vinculando as atividades dos particulares e dos entes estatais em prol da efetivação desses direitos. Assim, o Judiciário assume uma posição protagonista na materialização de direitos que “carecem de efetivação, na maioria das vezes, por inércia dos poderes públicos”⁴⁷, e assim, “a luta por direitos transfere-se para o Poder Judiciário, que ao longo dos últimos anos, tem se transformado em um palco de grandes discussões políticas e jurídicas”⁴⁸.

Nesse diapasão, Lenio Luiz Streck:

No Estado Democrático de Direito, o foco de tensão se volta para o Judiciário. Inércias do Executivo e falta de atuação do Legislativo passam a poder ser supridas pelo Judiciário, justamente mediante a utilização dos mecanismos jurídicos previstos na Constituição que estabeleceu o Estado Democrático de Direito. A Constituição não está sendo cumprida. As normas-programa da Lei Maior não estão sendo implementadas. Por isso, na falta de políticas públicas cumpridoras do Estado Democrático de Direito, surge o Judiciário como instrumento para o resgate de direitos não realizados. Por isso a inexorabilidade desse “sensível deslocamento” antes especificado. Com todos os cuidados que isso implica.⁴⁹

Nesse contexto, o Poder Judiciário exerce um relevante papel na efetivação dos direitos fundamentais, revertendo o pseudocaráter programático das normas que tratam de tais direitos.

Ressaltamos que essa transferência das decisões, antes estritamente políticas, para o Judiciário, deve ocorrer democratizando-se esse Poder, por meio da interpretação da Constituição aberta à sociedade, conforme proposto por Peter Häberle, em sua *Sociedade Aberta de Intérpretes*, o que legitima ainda mais o deslocamento provocado pela judicialização das políticas públicas:

A vinculação judicial à lei e a independência pessoal e funcional dos juízes não podem escamotear o fato de que o juiz interpreta a

Constituição na esfera pública e na realidade [...] Seria errôneo reconhecer as influências, as expectativas, as obrigações sociais a que estão submetidos os juízes apenas sob o aspecto de uma ameaça a sua independência. Essas influências contêm também uma parte de legitimação e evitam o livre arbítrio da interpretação judicial. A garantia da independência dos juízes somente é tolerável, porque outras funções estatais e a esfera pública pluralista [...] fornecem material para a lei [...].⁵⁰

Portanto, malgrado as discussões acerca da (i) legitimidade da atuação judicial em matéria de políticas públicas e, no caso em estudo, da efetivação do direito à saúde dos portadores de doenças raras pelo Poder Judiciário, a judicialização marcada por uma *sociedade aberta aos intérpretes de uma sociedade pluralista*, na forma de audiência pública, a exemplo da Audiência em Saúde promovida pelo STF, e realizada em abril e maio de 2009, torna plenamente aceitável o posicionamento a favor da legitimidade das decisões nesse âmbito, pois, além de essas decisões representarem um “reflexo” das necessidades de uma sociedade, apontando as inércias estatais, a atuação judicial, quando comprometida com a efetividade de direitos que, inquestionavelmente, sejam integrantes do mínimo existencial, compromete-se, outrossim, com a concretização e com o fortalecimento do Estado Democrático de Direito.

Para além disso, a tensão gerada pelo Poder Judiciário pela ingerência em matéria de políticas públicas, muitas vezes, é salutar na promoção de uma mudança de postura dos poderes Executivo e Legislativo, que passam a atuar positivamente na efetivação de direitos fundamentais. Destacamos o seguinte julgado, oriundo do Tribunal Regional Federal da 5ª Região (TRF5), que arvora esse entendimento:

Todavia, a interferência judicial em política pública há de ser feita com elevada cautela, de modo a não invadir demasiadamente as esferas dos demais poderes, em especial do Poder Executivo. Por outro lado, não se pode esquecer que muitos dos avanços nas políticas brasileiras se devem a provocações originadas no Poder Judiciário. Exemplo disso, no campo da saúde, foram as inúmeras decisões judiciais, com respaldo no STF, no início da década de 90, assegurando tratamento gratuito aos portadores de HIV, o que, posteriormente, acabou levando a Administração Pública a construir uma política específica para a AIDS, nos termos da Lei n. 9.313/96, que resultou no barateamento dos medicamentos, inclusive com a quebra de patentes, merecendo elogios mundo afora.⁵¹

A problemática requer abordagem pelo Poder Público, objetivando viabilizar a inclusão do atendimento das necessidades dos portadores de doenças raras na política de saúde brasileira, pois entendemos que, somadas todas as doenças raras, seja significativo o número de pacientes à margem de um sistema de saúde que se propõe “universal e igualitário”, à espera de atendimento pro-

fissional, de medicamentos, de exames e de outras prestações condicionantes da (in) existência da vida com dignidade.

3.3.3. *Ratificando as medidas inclusivas defendidas*

Ao longo desse trabalho, pretendemos mostrar as dificuldades enfrentadas pelos pacientes com doenças raras e as necessidades de medidas diferenciadas, que se voltem a esses pacientes, no âmbito do SUS. Tais medidas decorrem da constatação de falhas na abordagem da problemática das doenças raras, assumindo, portanto, o presente artigo, uma perspectiva crítica e inclusiva.

A partir desse contexto, sentimos a necessidade de reforçar, tornando mais claras as medidas inclusivas que reiteramos nesse trabalho. Portanto, chamamos a atenção para os seguintes pontos, que julgamos relevantes na condução da elaboração de uma política pública direcionada às doenças raras:

1) **necessidade de conhecimento das demandas** – entendemos que para gerir bem, sobretudo num cenário de recursos limitados, conhecer as demandas é essencial para a definição de metas. Assim, a delimitação do perfil de incidência das doenças raras poderá conduzir o gestor público na tomada de decisões, possibilitando alocação racional dos recursos;

2) **revisões periódicas dos protocolos de tratamento e atualização das listas de assistência farmacêutica** – conforme mencionado anteriormente, o aumento dos recursos disponíveis requer, paralelamente, a revisão constante dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas e a incorporação de novos medicamentos às listas de fornecimento gratuito da Assistência Farmacêutica. Para esse objetivo, o conhecimento das demandas também teria grande valia;

3) **incentivo à pesquisa e à produção de medicamentos órfãos** – o modelo americano, depois seguido por diversos países, com sucesso, mostra-nos que nosso sistema precisa ser melhorado. A experiência desses países atesta que a incorporação de leis que dão garantias às indústrias, conferindo uma maior segurança financeira em relação aos gastos envolvidos na pesquisa e na produção, bem como na fase de comercialização dos produtos, atrai as indústrias para o desenvolvimento de medicamentos órfãos e, por conseguinte, permite acesso dos pacientes a esses produtos⁵²;

4) **adequação da política de genética** – evidentemente, uma política pública não pode se materializar sem prévia organização e planejamento, razão pela qual entendemos a demora na implementação da política de genética. Entretanto, nosso objetivo é, também, repisar a necessidade dessa iniciativa e da efetiva tomada de decisões para estruturação da Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica. Sabemos que essa implementação requer vultosos investimentos iniciais. Contudo, lembramos que os benefícios que poderá trazer, a longo prazo, para os pacientes e para o Poder Público, poderão ser aferidos pela melhor qualidade de vida de quem porta doença rara e pelo alcance da

dignidade, conferindo à Administração Pública, por sua vez, maior controle sobre os recursos, reduzindo as constantes – mas, no momento, necessárias – intervenções do Poder Judiciário.

Essas medidas devem balizar as ações do Poder Público na construção de uma política pública voltada às doenças raras. Trata-se de iniciativas que, certamente, já foram pensadas pelos teóricos da Saúde e do Direito e, também, pelos próprios gestores que, com a incumbência de administrar as demandas infundáveis em saúde, em um contexto orçamentário desafiador e de limites fáticos, estabeleceram cuidados direcionados às doenças de maior incidência. Tal priorização, entretanto, não deve obstar medidas que objetivem ampliar o rol de doenças tratadas e de pacientes atendidos. Gradativamente, devem ser traçadas metas para que a política pública alcance novos grupos de pacientes, situação que atualmente não verificamos para as doenças raras.

Assim, os pontos que elencamos representam o que o Poder Público não pode deixar de enfrentar, na tarefa de promover acesso universal, igualitário e integral em saúde.

4 CONSIDERAÇÕES FINAIS

O direito à saúde é protegido constitucionalmente, mas, a despeito disso, é um dos direitos fundamentais que mais carecem de efetividade. À sombra de todos os problemas de saúde existentes, os pacientes de doenças raras, indiscutivelmente, sofrem ainda mais com a insuficiência desse sistema.

O que temos hoje à disposição para os cuidados com doenças raras está muito aquém daquilo previsto pela Constituição Federal de 1988, sob a égide do *princípio da dignidade da pessoa humana*.

Percebemos que a ausência de normas específicas e a burocracia na implementação de atos normativos obstam o acesso às ações e aos serviços de saúde, que se destinariam à proteção, à promoção e à recuperação da saúde dos pacientes com doenças raras. Nesse sentido, evidencia-se uma insegurança jurídica no contexto de efetivação desse direito, apesar da atuação protagonista do Poder Judiciário na concretização do direito social à saúde desses pacientes.

Propomos uma maior aproximação do Poder Público à problemática, com políticas públicas direcionadas a enfrentá-la de forma mais incisiva, por meio, por exemplo, do incentivo à pesquisa e ao desenvolvimento de medicamentos órfãos; da revisão dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas com periodicidade, resultando na efetiva ampliação das doenças tratadas no SUS; da transformação dos dados da Portaria 81/2009, que aprova a genética clínica no SUS, em realidade. Somente com tais medidas há de se falar em uma verdadeira efetivação da dignidade da pessoa humana e, conseqüentemente, em mais um passo rumo à concretização dos fundamentos do Estado Democrático de Direito.

5 REFERÊNCIAS

AITH, Fernando Mussa Abujamra. **Teoria Geral do Direito Sanitário Brasileiro**. 2006. 458 f. 2 v. Tese (Doutorado em Saúde Pública). Universidade de São Paulo – Faculdade de Saúde Pública, São Paulo, 2006.

ALEXY, Robert. In: SILVA, Virgílio Afonso da (Trad.). **Teoria dos Direitos Fundamentais**. São Paulo: Malheiros, 2008.

BARCELLOS, Ana Paula de. **A eficácia jurídica dos princípios constitucionais: o princípio da dignidade da pessoa humana**. Rio de Janeiro: Renovar, 2002.

BUCCI, Maria Paula Dallari. O conceito de política pública em direito. In: BUCCI, Maria Paula Dallari (Org.). **Políticas Públicas: reflexões sobre o conceito jurídico**. São Paulo: Saraiva, 2006.

BIGNAMI, Fabrizia. O que é um medicamento órfão? **Eurordis**, set. 2006. Disponível em: <http://archive.eurordis.org/article.php?id_article=1177>. Acesso em: 14 abr. 2009.

BONAVIDES, Paulo. **Teoria Constitucional da Democracia Participativa: por um Direito Constitucional de luta e resistência, por uma Nova Hermenêutica, por uma repolitização da legitimidade**. São Paulo: Malheiros, 2001.

_____. Paulo. **Curso de direito constitucional**. 13. ed. São Paulo: Malheiros, 2003.

BRASIL. Lei 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. **Planalto**. Disponível em: <<http://www.planalto.gov.br/ccivil/LEIS/l8080.htm>>. Acesso em: 02 mar. 2010.

_____. Resolução 338, de 06 de maio de 2004. Dispõe sobre a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. **Conselho Nacional de Saúde**. Disponível em: <http://portal.saude.gov.br/portal/arquivos/pdf/resol_cns338.pdf>. Acesso em: 02 mar. 2010.

_____. Portaria 2.577, de 27 de outubro de 2006. Aprova o Componente de Medicamentos de Dispensação Excepcional. **Ministério da Saúde**. Disponível em: <<http://dtr2001.saude.gov.br/sas/PORTARIAS/Port2006/GM/GM-2577.htm>>. Acesso em: 02 mar. 2010.

_____. Portaria 2.981, de 26 de novembro de 2009. Aprova o Componente Especializado da Assistência Farmacêutica. **Ministério da Saúde**. Disponível em: <http://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2009/prt2981_26_11_2009.html>. Acesso em: 19 mar. 2010.

_____. Portaria 81, de 20 de janeiro de 2009. Institui, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), a Política Nacional de Atenção Integrada em Genética Clínica. **Ministério da Saúde**. Disponível em: <http://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2009/prt0081_20_01_2009.html>. Acesso em: 19 mar. 2010.

_____. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. **Ministério da Saúde**. Disponível em: <http://portal.saude.gov.br/portal/saude/profissional/visualizar_texto.cfm?idtxt=28510>. Acesso em: 02 mar. 2010.

_____. SUS amplia tratamento gratuito de doenças. **Ministério da Saúde**. Disponível em: <http://portal.saude.gov.br/portal/aplicacoes/noticias/default.cfm?pg=dspDetalheNoticia&id_area=124&CO_NOTICIA=10895>. Acesso em: 17 jan. 2010.

_____. Supremo Tribunal Federal – STF. STA 175 AgR-CE. RELATOR: Min. Gilmar Mendes. Julgado em 17 mar. 2010. Publicado no Diário da Justiça de 25 mar. 2010. INFORMATIVO STF nº 579 (15 a 19 de março de 2010) – Transcrições.

_____. Supremo Tribunal Federal – STF. Arguição de Descumprimento de Preceito Fundamental 45. Rel. Min. Celso de Mello. Julgado em 29 abr. 2004. Diário da Justiça de 04 de maio 2004. INFORMATIVO STF nº 345 (26 a 30 de abril de 2004) – Transcrições.

_____. Tribunal Regional Federal da 5ª Região. Ação Ordinária nº 2008.80.00.003451-8/AL. Juiz Federal Leonardo Resende Martins. Julgado em 09 set. 2008. Publicado no Diário da Justiça de 11 set. 2008.

CLÈVE, Clèmerson Merlin. A eficácia dos direitos fundamentais sociais. **Revista de Direito Constitucional e Internacional**, São Paulo: Revista dos Tribunais, ano 14, n. 54, p. 28-39, jan./mar. 2006.

COMPARATO, Fábio Konder. **A afirmação histórica dos Direitos Humanos**. 4. ed. São Paulo: Saraiva, 2005.

CONFIRA íntegra de nota do Ministério da Saúde sobre doenças raras. **Correio Braziliense**. Disponível em: <<http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia/182/2010/02/28/cienciaesaude,i=176381/CONFIRA+INTEGRA+DE+NOTA+DO+MINISTERIO+DA+SAUDE+SOBRE+DOENCAS+RARAS.shtml>>. Acesso em: 02 mar. 2010.

CONSTITUTION of the World Health Organization, 1946. **World Health Organization**. Disponível em: <<http://apps.who.int/gb/bd/PDF/bd47/EN/constitution-en.pdf>>. Acesso em 28 ago. 2010.

DIMOULIS, Dimitri; MARTINS, Leonardo. **Teoria geral dos direitos fundamentais**. São Paulo: Revista dos Tribunais, 2007.

GOUVÊIA, Marcos Maselli. O Direito ao fornecimento estatal de medicamentos. In: GARCIA, Emerson (Coord.). **A Efetividade dos direitos sociais**. Rio de Janeiro: Lumen Juris, 2004.

HÄBERLE, Peter. In: MENDES, Gilmar Ferreira (Trad.). **Hermenêutica constitucional: a sociedade aberta de intérpretes da constituição: contribuição para a interpretação pluralista e “procedimental” da constituição**. Porto Alegre: Sergio Antonio Fabris Editor, 1997.

KRELL, Andreas Joachim. **Direitos sociais e o controle judicial no Brasil e na Alemanha: os (des) caminhos de um direito constitucional “comparado”**. Porto Alegre: Sergio Antonio Fabris Editor, 2002.

MAIA, Christianny Diógenes. Paradigmas do Neoconstitucionalismo Brasileiro. In SALES, Gabrielle Bezerra; JUCÁ, Roberta Laena Costa (Org.). **Constituição em Foco: 20 anos de um Novo Brasil**. Fortaleza: LCR, 2008.

MIRANDA, Adriana; LACERDA, Rosane. O direito à saúde de grupos vulneráveis. In: COSTA, Alexandre Bernardino *et al.* (Org.). **O Direito achado na rua: Introdução crítica ao direito à saúde**, Brasília: CEAD/UnB, 2008.

OLIVETO, Paloma. Portadores de doenças raras sofrem para conseguir atendimento. **Jornal Correio Braziliense**. Disponível em: <<http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia182/2010/02/28/cienciasaude,i=176378/PORTADORES+DAS+CHAMADAS+DOENCAS+RARAS+SOFREM+PARA+CONSEGUIR+ATENDIMENTO.shtml>>. Acesso em: 02 mar. 2010.

PÉREZ LUÑO, Antônio E. **Derechos Humanos, Estado de Derecho y Constitución**. Madrid: Tecnos, 1995.

RARE diseases: Understanding this Public Health Priority. Paris, nov. 2005. **Organização Europeia De Doenças Raras – EURORDIS**. Disponível em: <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>. Acesso em: 02 mar. 2010.

RASKIN, Salmo. Raras e subdiagnosticadas: um dia para as raras. **Jornal Correio Braziliense**. Disponível em: <<http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia182/2010/02/28/cienciasaude,i=176382/LEIA+ARTIGO+DO+GENETICISTA+SALMO+RASKIN+PRESIDENTE+DA+SOCIEDADE+BRA SILEIRA+DE+GENETICA+MEDICA.shtml>>. Acesso em: 15 ago. 2010.

RODRIGUES, Greice; MAGRO, Maíra. A difícil vida de quem tem doença rara no Brasil. **Revista Isto é**, São Paulo: Três Editorial, ano 32, n. 2087, p. 114-116, 11 nov. 2009.

SARLET, Ingo Wolfgang. **A eficácia dos direitos fundamentais**. 4. ed. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2004.

_____. Ingo Wolfgang. **Dignidade da pessoa humana e direitos fundamentais na constituição federal de 1988**. 4. ed. Porto Alegre: Livraria do Advogado Editora, 2006.

_____. Ingo Wolfgang; FIGUEIREDO, Mariana Filchtiner. Algumas considerações sobre o direito fundamental à proteção e promoção da saúde aos 20 anos da Constituição de 1988. **Revista de Direito do Consumidor**, São Paulo: Revista dos Tribunais, ano 17, n. 67, p. 125-172, jul/set 2008.

SARMENTO, Daniel. **Direitos Fundamentais e Relações Privadas**. 2. ed. Rio de Janeiro: Lumen Juris, 2006.

SCHIEPPATI, Arrigo; HENTER, Jan-Inge; DAINA, Erica; APERIA, Anita.

Why are rare diseases an important medical and social issue. **The Lancet**, v. 371, jun 2008 disponível em: <[http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736\(08\)60872-7/fulltext](http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(08)60872-7/fulltext)>. Acesso em: 21 mai. 2009.

SCHWARTZ, Germano André Doederlein. **Direito à saúde**: efetivação em uma perspectiva sistêmica. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2001.

SOUZA, Mônica Vinhas de; KRUG, Bárbara Corrêa; PICON, Paulo Dornelles; SCHWARTZ, Ida Vanessa Doederlein. Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas. **Revista Ciência e Saúde Coletiva**. Disponível em: http://www.abrasco.org.br/cienciaesaudecoletiva/artigos/artigo_int.php?id_artigo=2406>. Acesso em: 27 nov. 2009.

STRECK, Lenio Luiz. **Hermenêutica jurídica e(m) crise**: uma exploração hermenêutica da construção do Direito. 7. ed. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2007.

TEJADA, Paloma. The US Orphan Drug Act celebrates its 25th Anniversary. **Eurordis**, jun. 2008. Disponível em: <http://archive.eurordis.org/article.php?id_article=1751>. Acesso em: 19 nov. 2009.

TORRES, Ricardo Lobo. A Cidadania Multidimensional na Era dos Direitos. In: TORRES, Ricardo Lobo (org.). **Teoria dos direitos fundamentais**. 2. ed. Rio de Janeiro: Renovar, 2001.

TROUILLER, Patrice et al. Drug development for neglected diseases: a deficient market and a public-health policy failure. **The Lancet**, v.359, jun. 2002. Disponível em: <[http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736\(09\)62123-1/fulltext](http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(09)62123-1/fulltext)>. Acesso em: 27 nov. 2009.

- 1 BONAVIDES, Paulo. **Curso de direito constitucional**. 13. ed. São Paulo: Malheiros, 2003, p. 564.
- 2 SARLET, Ingo Wolfgang. **A eficácia dos direitos fundamentais**. 4. ed. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2004, p. 281.
- 3 Ibid., p. 281.
- 4 TORRES, Ricardo Lobo. A Cidadania Multidimensional na Era dos Direitos. In: TORRES, Ricardo Lobo (org.). **Teoria dos direitos fundamentais**. 2. ed. Rio de Janeiro: Renovar, 2001, p. 282.
- 5 ALEXY, Robert. In: SILVA, Virgílio Afonso da (Trad.). **Teoria dos Direitos Fundamentais**. São Paulo: Malheiros, 2008, p. 511-512.
- 6 CRISAFULLI, 1952 apud BONAVIDES, Paulo. **Curso de direito constitucional**. 13. ed. São Paulo: Malheiros, 2003, p. 248-249.
- 7 SARLET, Ingo Wolfgang. **Dignidade da pessoa humana e direitos fundamentais na constituição federal de 1988**. 4. ed. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2006, p. 60.
- 8 PÉREZ LUÑO, Antônio E. **Derechos Humanos, Estado de Derecho y Constitución**. Madrid: Tecnos, 1995, p. 318.
- 9 Felicidade, neste contexto, segue o sentido usado no preâmbulo da Declaração de Independência dos EUA, ou seja, que a dignidade humana exige que se dêem, a todos, as condições indispensáveis à busca da felicidade (COMPARATO, Fábio Konder. **A afirmação histórica dos direitos humanos**. São Paulo: Saraiva, 2005, p. 103).
- 10 SARLET, op. cit., p. 26.
- 11 CLÈVE, Clèmerson Merlin. A eficácia dos direitos fundamentais sociais. **Revista de Direito Constitucional e Internacional**, São Paulo: Revista dos Tribunais, ano 14, n. 54, jan./mar. 2006, p. 30.

- 12 *Ibid.*, p. 29.
- 13 BARCELLOS, Ana Paula de. **A eficácia jurídica dos princípios constitucionais:** o princípio da dignidade da pessoa humana. Rio de Janeiro: Renovar, 2002, p. 236; 248.
- 14 *Ibid.*, p. 242; 246.
- 15 STF, Arguição de Descumprimento de Preceito Fundamental 45. Rel. Min. Celso de Mello. Julgado em 29 abr. 2004. Diário da Justiça de 04 de maio 2004. INFORMATIVO STF nº 345 (26 a 30 de abril de 2004) – Transcrições.
- 16 DIMOULIS, Dimitri; MARTINS, Leonardo. **Teoria Geral dos Direitos Fundamentais.** São Paulo: Revista dos Tribunais, 2007, pág. 118.
- 17 BONAVIDES, op. cit., p. 541.
- 18 SARMENTO, Daniel. **Direitos Fundamentais e Relações Privadas.** 2. ed. Rio de Janeiro: Lumen Juris, 2006, pág. 107.
- 19 BONAVIDES, Paulo. **Teoria Constitucional da Democracia Participativa:** por um Direito Constitucional de luta e resistência, por uma Nova Hermenêutica, por uma repolitização da legitimidade. São Paulo: Malheiros, 2001, p. 233.
- 20 MIRANDA, Adriana; LACERDA, Rosane. O direito à saúde de grupos vulneráveis. In: COSTA, Alexandre Bernardino *et al.* (Org.). **O Direito achado na rua:** Introdução crítica ao direito à saúde, Brasília: CEAD/UnB, 2008, p. 219.
- 21 RARE diseases: Understanding this Public Health Priority. Paris, nov. 2005. **Organização Europeia De Doenças Raras – EURORDIS.** Disponível em: <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>. Acesso em: 02 mar. 2010.
- 22 SCHIEPPATI, Arrigo; HENTER, Jan-Inge; DAINA, Erica; APERIA, Anita. Why are rare diseases an important medical and social issue. **The Lancet**, v. 371, jun. 2008 disponível em: <[http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736\(08\)60872-7/fulltext](http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(08)60872-7/fulltext)>. Acesso em: 21 mai. 2009.
- 23 *Ibid.*
- 24 SOUZA, Mônica Vinhas de; KRUG, Bárbara Corrêa; PICON, Paulo Dornelles; SCHWARTZ, Ida Vanessa Doederlein. Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas. **Revista Ciência e Saúde Coletiva.** Disponível em: <http://www.abrasco.org.br/cienciasaudecoletiva/artigos/artigo_int.php?id_artigo=2406>. Acesso em: 27 nov. 2009.
- 25 OLIVETO, Paloma. Portadores de doenças raras sofrem para conseguir atendimento. **Jornal Correio Braziliense.** Disponível em: <<http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia182/2010/02/28/cienciasaude,i=176378/PORTADORES+DAS+CHAMADAS+DOENCAS+RARAS+SOFREM+PARA+CONSEGUIR+ATENDIMENTO.shtml>>. Acesso em: 02 mar. 2010.
- 26 Suécia, Inglaterra, Dinamarca, Bélgica, França e Itália, conforme apontado por SCHIEPPATI *et al.*, op. cit.
- 27 CONSTITUTION of the World Health Organization, 1946. **World Health Organization.** Disponível em: <<http://apps.who.int/gb/bd/PDF/bd47/EN/constitution-en.pdf>>. Acesso em 28 ago. 2010.
- 28 SARLET, Ingo Wolfgang; FIGUEIREDO, Mariana Filchtiner. Algumas considerações sobre o direito fundamental à proteção e promoção da saúde aos 20 anos da Constituição de 1988. **Revista de Direito do Consumidor**, São Paulo: Revista dos Tribunais, ano 17, n. 67, jul/set 2008, p. 132-135.
- 29 SCHWARTZ, Germano André Doederlein. **Direito à saúde:** efetivação em uma perspectiva sistêmica. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2001, p. 27.
- 30 BUCCI, Maria Paula Dallari. O conceito de política pública em direito. In: BUCCI, Maria Paula Dallari (Org.). **Políticas Públicas:** reflexões sobre o conceito jurídico. São Paulo: Saraiva, 2006, p. 39.
- 31 Art. 198. As ações e serviços públicos de saúde integram uma rede regionalizada e hierarquizada e constituem um sistema único, organizado de acordo com as seguintes diretrizes: I - descentralização, com direção única em cada esfera de governo; II - atendimento integral, com prioridade para as atividades preventivas, sem prejuízo dos serviços assistenciais; III - participação da comunidade.
- 32 AITH, Fernando Mussa Abujamra. **Teoria Geral do Direito Sanitário Brasileiro.** 2006. 458 f. 2 v. Tese (Doutorado em Saúde Pública). Universidade de São Paulo – Faculdade de Saúde Pública, São Paulo, 2006, p.394.
- 33 Art. 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 art. 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 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; III - preservação da autonomia das pessoas na defesa de sua integridade física e moral; IV - igualdade da assistência à saúde, sem preconceitos ou privilégios de qualquer

- espécie; V - direito à informação, às pessoas assistidas, sobre sua saúde; VI - divulgação de informações quanto ao potencial dos serviços de saúde e a sua utilização pelo usuário; VII - utilização da epidemiologia para o estabelecimento de prioridades, a alocação de recursos e a orientação programática; VIII - participação da comunidade; IX - descentralização político-administrativa, com direção única em cada esfera de governo: a) ênfase na descentralização dos serviços para os municípios; b) regionalização e hierarquização da rede de serviços de saúde; X - integração em nível executivo das ações de saúde, meio ambiente e saneamento básico; XI - conjugação dos recursos financeiros, tecnológicos, materiais e humanos da União, dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios na prestação de serviços de assistência à saúde da população; XII - capacidade de resolução dos serviços em todos os níveis de assistência e XIII - organização dos serviços públicos de modo a evitar duplicidade de meios para fins idênticos.
- 34 AITH, op. cit., p. 397-398.
 - 35 GOUVÊIA, Marcos Maselli. O Direito ao fornecimento estatal de medicamentos. In: GARCIA, Emerson (Coord.). **A Efetividade dos Direitos Sociais**. Rio de Janeiro: Lumen Juris, 2004, p. 212.
 - 36 BIGNAMI, Fabrizia. O que é um medicamento órfão? **Eurordis**, set. 2006. Disponível em: <http://archive.eurordis.org/article.php3?id_article=1177>. Acesso em: 14 abr. 2009.
 - 37 Resolução nº 338/2004, art. 1º, III, do Conselho Nacional de Saúde, *in verbis*: “A Assistência Farmacêutica trata de um conjunto de ações voltadas à promoção, proteção e recuperação da saúde, tanto individual como coletivo, tendo o medicamento como insumo essencial e visando ao acesso e ao seu uso racional. Este conjunto envolve a pesquisa, o desenvolvimento e a produção de medicamentos e insumos, bem como a sua seleção, programação, aquisição, distribuição, dispensação, garantia da qualidade dos produtos e serviços, acompanhamento e avaliação de sua utilização, na perspectiva da obtenção de resultados concretos e da melhoria da qualidade de vida da população”. Disponível em: <http://portal.saude.gov.br/portal/arquivos/pdf/resol_cns338.pdf>. Acesso em: 02 mar. 2010.
 - 38 O CEAF revogou o Componente de Medicamentos de Dispensação Excepcional (Portaria 2.577/2006), que, embora fosse voltado para tratamento de doenças raras ou de baixa prevalência, não definia critérios objetivos para a caracterização dessas doenças, o que deixa à discricionariedade do gestor público a inclusão de medicamentos.
 - 39 A Medicina Baseada em Evidências propõe que toda intervenção médica seja orientada, apoiando-se em quatro áreas distintas: epidemiologia, clínica, metodologia científica, estatística e informática. (SOUZA *et al.*, op. cit.). Representa, portanto, um instrumento de segurança para o paciente, sendo, também, útil ao gestor público no conhecimento do perfil das doenças, possibilitando que a tomada de decisões em saúde tenha maior respaldo técnico e científico.
 - 40 Os protocolos têm o “objetivo de estabelecer claramente os critérios de diagnóstico de cada doença, o algoritmo de tratamento das doenças com as respectivas doses adequadas e os mecanismos para o monitoramento clínico em relação à efetividade do tratamento e a supervisão de possíveis efeitos adversos. Observando ética e tecnicamente a prescrição médica, os PCDT, também, objetivam criar mecanismos para a garantia da prescrição segura e eficaz. Portanto, no âmbito do CEAF, os medicamentos devem ser dispensados para os pacientes que se enquadrarem nos critérios estabelecidos nos respectivos PCDT”. Disponível em <http://portal.saude.gov.br/portal/saude/profissional/visualizar_texto.cfm?idtxt=28510>. Acesso em: 02 mar. 2010.
 - 41 Segundo dados publicados no *site* oficial do Ministério da Saúde, disponíveis em <http://portal.saude.gov.br/portal/aplicacoes/noticias/default.cfm?pg=dspDetalheNoticia&id_area=124&CO_NOTICIA=10895>. Acesso em: 17 jan. 2010.
 - 42 Conforme RODRIGUES, Greice; MAGRO, Máira. A difícil vida de quem tem doença rara no Brasil. **Revista Isto é**, São Paulo: Três Editorial, ano 32, n. 2087, 11 nov. 2009, p.114.
 - 43 Nota na íntegra disponível em: <<http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia182/2010/02/28/cienciasaude,i=176381/CONFIRA+INTEGRA+DE+NOTA+DO+MINISTERIO+DA+SAUDE+SOBRE+DOENCAS+RARAS.shtml>> Acesso em 02 mar. 2010.
 - 44 RASKIN, Salmo. Raras e subdiagnosticadas: um dia para as raras. **Jornal Correio Braziliense**. Disponível em: <<http://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia182/2010/02/28/cienciasaude,i=176382/LEIA+ARTIGO+DO+GENETICISTA+SALMO+RASKIN+PRESIDENTE+DA+SOCIEDADE+BRASILEIRA+DE+GENETICA+MEDICA.shtml>>. Acesso em: 15 ago. 2010.
 - 45 STF. STA 175 AgR-CE. RELATOR: Min. Gilmar Mendes. Julgado em 17 mar. 2010. Publicado no Diário da Justiça de 25 mar. 2010. INFORMATIVO STF nº 579 (15 a 19 de março de 2010) – Transcrições.
 - 46 KRELL, Andreas Joachim. **Direitos sociais e o controle judicial no Brasil e na Alemanha**: os (des) caminhos de um direito constitucional “comparado”. Porto Alegre: Sergio Antonio Fabris Editor, 2002, p. 52-53.

- 47 MAIA, Christianny Diógenes. Paradigmas do Neoconstitucionalismo Brasileiro. In SALES, Gabrielle Bezerra; JUCÁ, Roberta Laena Costa (Org.). **Constituição em Foco: 20 anos de um Novo Brasil**. Fortaleza: LCR, 2008, p.62.
- 48 *Ibid.*, p. 62.
- 49 STRECK, Lenio Luiz. **Hermenêutica jurídica e(m) crise: uma exploração hermenêutica da construção do Direito**. 7 ed. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2007, p. 54-55.
- 50 HÄBERLE, Peter. **Hermenêutica constitucional - a sociedade aberta de intérpretes da constituição: contribuição para a interpretação pluralista e "procedimental" da constituição**. Tradução de Gilmar Ferreira Mendes. Porto Alegre: Sergio Antonio Fabris Editor, 1997, p.31-32.
- 51 TRF5. Ação Ordinária nº 2008.80.00.003451-8 / AL. Juiz Federal Leonardo Resende Martins. Julgado em 09 set. 2008. Publicado no Diário da Justiça de 11 set. 2008.
- 52 Para análise do impacto da Legislação Americana sobre Medicamentos Órfãos, de 1983 a abril de 2008, 1841 drogas receberam a designação de droga órfã, das quais 325 receberam autorização para comércio. Na década anterior ao estabelecimento da norma, somente 10 produtos como esses chegaram ao mercado. Estima-se que mais de 17 milhões de pessoas se beneficiam com a legislação medicamentos órfãos, nos Estados Unidos (TEJADA, Paloma. The US Orphan Drug Act celebrates its 25th Anniversary. **Eurordis**, jun. 2008. Disponível em: <http://archive.eurordis.org/article.php?id_article=1751>. Acesso em: 19 nov. 2009).

THE RIGHT TO HEALTH OF PATIENTS LIVING WITH RARE DISEASES AND THE NEED OF PUBLIC POLICIES FOR PERMITTING THE EXERCISE OF THIS RIGHT

ABSTRACT

The Brazilian Constitution of 1988 and the Organic Law on Health (Law 8.080/90) inaugurated a new moment in the history of health in Brazil, due to the rules it includes, which offer a broad protection of that right. However, patients with rare diseases still find difficulties in accessing the public health care system in Brazil. Besides that, Brazil does not have official figures available about the profile of the incidence of these diseases, in order to offer to the government the correct guidelines on the real needs of these patients and hence to permit the promotion of the development of specific public policies in this area. From this fact, this paper, based on normative, case law and doctrinal researches, aims to demonstrate the need to adopt different criteria for treating patients with rare diseases. We conclude that the means of access to health care offered to patients with rare diseases in Brazil are still not sufficient, and despite the outstanding performance of the Judiciary to ensure that right, it is still necessary to approach the problem through more emphatic public policies.

Keywords: Fundamental social rights. Right to health. Rare diseases. Public policies.