



**UNIVERSIDADE DO ESTADO DA BAHIA - UNEB
DEPARTAMENTO DE CIÊNCIAS DA VIDA - DCV
CURSO DE BACHARELADO EM FARMÁCIA**

TAINARA NERI DOURADO

**ACESSO A MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS NO BRASIL: ANÁLISE
DAS PROPOSIÇÕES DO LEGISLATIVO FEDERAL NO PERÍODO DE 2014 A
2024.**

**SALVADOR - BA
2025**

TAINARA NERI DOURADO

**ACESSO A MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS NO BRASIL: ANÁLISE
DAS PROPOSIÇÕES DO LEGISLATIVO FEDERAL NO PERÍODO DE 2014 A 2024.**

Monografia apresentada ao curso de Farmácia da Universidade do Estado da Bahia como requisito para obtenção do título de bacharel em farmácia.

Orientadora: Prof^a. Dra. Patrícia Sodré Araújo

Co-orientadora: Dra. Amanda dos Santos Teles Cardoso

SALVADOR - BA

2025

TAINARA NERI DOURADO

**ACESSO A MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS NO BRASIL: ANÁLISE
DAS PROPOSIÇÕES DO LEGISLATIVO FEDERAL NO PERÍODO DE 2014 A 2024.**

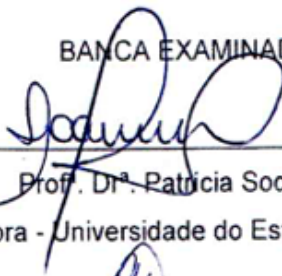
Monografia apresentada ao curso de Farmácia da Universidade do Estado da Bahia como requisito para obtenção do título de bacharel em farmácia.

Orientadora: Prof^a. Dra. Patrícia Sodré Araújo

Co-orientadora: Dra. Amanda dos Santos Teles Cardoso

Aprovado em: 15 / 12 / 25

BANCA EXAMINADORA



Prof. Dr.ª Patrícia Sodré Araújo
(Orientadora - Universidade do Estado da Bahia/ UNEB)



Prof. M.Sc. Mila Palma Pacheco
(Examinadora Interna - Universidade do Estado da Bahia / UNEB)



Prof. M.Sc. Gizelly Braga Pires
(Examinadora externa - Universidade do Estado de Feira de Santana/ UEFS)

Salvador – BA

2025

"Para que todos vejam, e saibam, e considerem, e juntamente entendam que a mão do Senhor fez isto"

- Isaiás 41:20.

AGRADECIMENTOS

Ao longo dessa caminhada, tantas vezes difícil, longa e desafiadora, tive pessoas essenciais que tornaram possível a realização deste sonho. Agradeço primeiramente a Deus, que me sustentou em todos os momentos, que não permitiu que eu desistisse e que me mostrou, dia após dia que somos mais do que vencedores por meio d'Ele que nos amou.

Ao meu noivo, presente de Deus, que viveu cada batalha ao meu lado desde o início. Obrigada por me acolher, me apoiar, me ajudar nos momentos de crise e por nunca permitir que nada me faltasse no caminho. Obrigada por acreditar em mim.

Aos meus pais, que jamais colocaram em mim qualquer semente de desistência, mesmo diante das dificuldades. Sei que realizo um sonho que vocês não tiveram a oportunidade de viver, e por isso, a vontade que têm de me ver crescer é o meu maior combustível para seguir e provar que sou capaz. Obrigada, minha mãezinha, por cada oração, vídeo e mensagem bíblica, foram meu sustento diário.

À minha irmã, para quem busco ser o melhor exemplo. Em você encontrei acolhimento, acalento e alegria nos dias difíceis; seu amor preenche o meu coração e me deu forças para continuar.

À minha amiga Dani, irmã de coração e companheira de lar, com quem dividi momentos difíceis, felizes e de muitas conquistas também. O início da caminhada ficou mais fácil tendo você comigo.

Aos meus amigos que a UNEB me deu (Jane, Lara Monyque, Vitória Dias, Vitória Alcântara, Luiza Simões, Michel Chagas, Lara Karine, Carolainy Santana, Rodrigo Machado, Larissa Sant'Anna, Lua d'Albuquerque, Leilane Santa Rita e Catarina Menezes), levarei vocês comigo por toda vida! Muito obrigada pelas conversas, risadas e encontros durante essa jornada. Foi incrível ter uma turma unida e poder viver tudo isso junto com vocês. Em especial, cito minhas amigas Jane e Lara Monyque, com quem, desde o primeiro semestre, construí uma amizade marcada pelo companheirismo e pela ajuda mútua em todos os momentos; e à minha amiga Luiza Simões, que foi meu braço forte neste último ano tão desafiador. Minha caminhada foi leve por ter vocês.

Às minhas amigas de Iniciação Científica, Bianca e Ana Beatriz. Dividimos tantos anos dessa caminhada, e foi uma honra ter vocês como parceiras de pesquisa.

À minha querida professora e orientadora por tantos anos, Patrícia Sodré, por quem desenvolvi um carinho que ultrapassa a relação acadêmica. Obrigada por me tratar como parte da sua família, foi minha mãe acadêmica dentro e fora da Universidade. Obrigada pelo seu apoio, a senhora é minha inspiração e referência na área de Assistência Farmacêutica. Minha eterna gratidão por cada ensinamento.

À minha querida co-orientadora, que foi minha parceira em congressos, compartilhamos hospedagens, projetos e interesses acadêmicos. Agradeço por sua orientação sempre competente e generosa ao longo desses anos de construção do TCC. Sou imensamente grata pelos momentos que vivemos dentro e fora do ambiente acadêmico e por cada mensagem de apoio que recebi ao longo deste ano. Muito obrigada por tudo.

A todos os meus queridos professores, com quem tive o privilégio de aprender, expressei minha profunda gratidão. Cada um plantou uma semente ao longo da minha trajetória, e esta primeira colheita também pertence a vocês. O curso de Farmácia da UNEB é extraordinário graças ao corpo docente de excelência que o compõe. Sinto-me honrada por ter vivido a UNEB e por ter aprendido um pouco com cada um de vocês.

Em especial, ao professor Marcelo, por acreditar no meu potencial, por cada conselho e principalmente, por apoiar meus anseios futuros; ao professor André, nosso amigo de turma, sempre presente com conselhos valiosos sobre investimentos e crescimento pessoal; ao professor Walker, por toda ajuda, carinho e consideração; à professora Valdirene, pela delicadeza e cuidado com todos; ao professor Aníbal, pelos ensinamentos e orientação; ao professor Saback, por inspirar em mim o desejo de ser uma profissional de excelência, assim como ele; à professora Mila, por sempre nos incentivar a dar o nosso melhor; ao professor José Luiz, que me fez amar ainda mais a Química; e à professora Terezita, por me inspirar sobre a importância de amar a profissão e ao professor Mileno, que me inspira pela capacidade de conciliar tantas responsabilidades e ainda assim desempenhá-las com excelência.

Por fim, agradeço a todos que direta ou indiretamente, contribuíram para que este trabalho fosse possível. A todos vocês, meu mais sincero e profundo agradecimento.

RESUMO

As doenças raras, caracterizadas por sua baixa prevalência e elevada complexidade clínica, afetam milhões de pessoas no Brasil e representam um desafio significativo para o sistema público de saúde, especialmente no que se refere ao acesso a medicamentos. Nesse contexto, o Poder Legislativo exerce papel estratégico nas discussões e aprovações de proposições Legislativas que ampliam o acesso a terapias para essa população. Este trabalho tem como objetivo analisar as proposições do Legislativo Federal Brasileiro voltadas ao acesso a medicamentos para doenças raras, no período de 2014 a 2024. Trata-se de uma pesquisa qualitativa, documental e retrospectiva, que se baseia na análise de conteúdo de instrumentos legislativos da Câmara dos Deputados e do Senado Federal. Foram analisados 98 documentos legislativos que obteve um crescimento ao longo dos anos, das quais evidenciaram que as características biográficas dos autores são um ponto chave para a iniciativa das proposições. 18 medicamentos foram alvos de discussão, especialmente o medicamento Zolgensma® para Atrofia Muscular Espinhal. O resultado do Iramuteq evidenciou que o Legislativo tem grande interesse sobre assuntos regulatórios, mostrando uma disputa entre poderes e atuações. A análise política das proposições legislativas relacionadas ao acesso a medicamentos para doenças raras permitiu compreender como o tema tem se consolidado na agenda do Poder Legislativo brasileiro ao longo da última década, revelando uma atuação marcada por tensões institucionais, cooperação entre atores e crescente sensibilidade social.

Palavras-chave: Doenças raras; Legislativo Federal; Medicamentos; Proposições legislativas; Acesso a medicamentos.

ABSTRACT

Rare diseases, characterized by their low prevalence and high clinical complexity, affect millions of people in Brazil and represent a significant challenge for the public health system, especially regarding access to medication. In this context, the Legislative Branch plays a strategic role in the discussions and approval of legislative proposals that expand access to therapies for this population. This work aims to analyze the proposals of the Brazilian Federal Legislature focused on access to medication for rare diseases, from 2014 to 2024. This is a qualitative, documentary, and retrospective research, based on the content analysis of legislative proposals from the Chamber of Deputies and the Federal Senate. Ninety-eight legislative proposals were analyzed, showing growth over the years, and revealing that the biographical characteristics of the authors are a key factor in initiating these proposals. Eighteen medications were the subject of discussion, especially the Zolgensma® medication for Spinal Muscular Atrophy. The results of Iramuteq showed that the Legislative branch has a great interest in regulatory matters, revealing a dispute between powers and actions. The political analysis of legislative proposals related to access to medications for rare diseases allowed us to understand how the topic has been consolidated on the agenda of the Brazilian Legislative branch over the last decade, revealing an action marked by institutional tensions, cooperation between actors, and growing social sensitivity.

Keywords: Rare diseases; Federal Legislature; Drugs; Legislative proposals; Access to medicines.

LISTA DE SIGLAS E ABREVIATURAS

AME – Atrofia Muscular Espinhal
ANVISA – Agência Nacional de Vigilância Sanitária
CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias
DMD – Distrofia Muscular de Duchenne
ELA – Esclerose Lateral Amiotrófica
EM – Esclerose Múltipla
HPN – Hemoglobinúria Paroxística Noturna
INC – Indicação
MPV – Medida provisória
MPS – Mucopolissacaridose
ODS – Objetivos de desenvolvimento sustentável
ONU – Organização das Nações Unidas
PDC – Projeto de Decreto Legislativo
PEC – Proposta de Emenda à Constituição
PL – Projetos de Lei
PLP – Projetos de Lei Complementar
PNTN – Programa Nacional de Triagem Neonatal
PRC – Projeto de Resolução
RDC – Resolução de Diretoria Colegiada
REQ – Requerimento
RIC – Requerimento de Informações
RAS – Rede de Atenção à Saúde
SHUa – Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica
SNM – Neurônio Motor de sobrevivência
SUS – Sistema Único de Saúde

LISTA DE FIGURAS

Figura 1:Doenças raras	21
Figura 2:Fisiopatologia da Atrofia Muscular Espinhal.....	22
Figura 3:Esquema de organização na planilha Excel.....	30
Figura 4:Fluxograma das etapas metodológicas do estudo	35
Figura 5:Identificação das proposições legislativas.....	36
Figura 6:Quantitativo de proposições legislativas identificadas por grupo.	37
Figura 7:Frequência de proposições legislativas (2014-2024)	38
Figura 8:Distribuição das proposições legislativas segundo as barreiras de acesso.	42
Figura 9:Dendograma da Classificação Hierárquica Descendente (CHD) do corpus das proposições Legislativas referente ao acesso a medicamentos para doenças raras.	44

LISTA DE QUADROS

Quadro 1: Interesses dos parlamentares autores das proposições legislativas	39
Quadro 2: Lista de medicamentos discutidos e suas justificativas	40

LISTA DE GRÁFICO

Gráfico 1: Medicamentos para doenças raras aprovados por categoria (2019 a 2023).	24
---	----

SUMÁRIO

1. INTRODUÇÃO	14
2. OBJETIVOS	16
2.1 Objetivo geral	16
2.2 Objetivos específicos	16
3. FUNDAMENTAÇÃO TEÓRICA	17
3.1 A saúde como um direito e o acesso a medicamentos.	17
3.2. Atuação do Legislativo Federal na construção de Políticas Públicas de Saúde	19
3.3. Doenças raras e os Marcos Regulatórios no Brasil.....	20
3.4. Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras	25
4. MATERIAIS E MÉTODOS	28
4.1 Revisão do Estado da Arte	28
4.2 Desenho do estudo	28
4.3. Estratégias de investigação e coleta dos dados.....	29
4.4 Critérios de inclusão e exclusão.....	30
4.5. Instrumento de coleta	30
4.6. Processamento e análise dos dados.....	31
4.7 Aspectos éticos	35
5. RESULTADOS	36
5.1. Mapeamento político: Principais autores e instrumentos legislativos	36
5.2 Medicamentos em destaque nas proposições legislativas	39
5.3. Análise das proposições pós-institucionalização da Política Nacional de Doenças Raras.....	42
5.3.1 <i>Debate público e incorporação de medicamentos.</i>	45
5.3.2 <i>Financiamento de medicamentos de alto custo</i>	46
5.3.3 <i>Responsabilidade estatal no fornecimento de medicamentos.</i>	47
5.3.4 <i>O medicamento como expressão do direito à saúde</i>	48
5.3.5 <i>Judicialização e garantia do direito à saúde</i>	49
6. DISCUSSÃO	51
7. CONSIDERAÇÕES FINAIS	63
REFERÊNCIAS	65

1. INTRODUÇÃO

A Portaria nº 199/2014 do Ministério da Saúde estabelece que uma doença rara é aquela que acomete até 65 pessoas a cada 100.000 indivíduos, o que corresponde a aproximadamente 1,3 pessoa para cada 2.000 habitantes (Brasil, 2014). No Brasil, estima-se que cerca de 13 milhões de pessoas convivam com alguma doença rara, configurando um impacto expressivo tanto para as famílias quanto para o sistema de saúde (Iriart *et al.*, 2019). Embora tenham ocorrido avanços importantes nas últimas décadas, persistem lacunas significativas no atendimento às necessidades das pessoas que vivem com essas condições no país (Giugliani *et al.*, 2025).

O interesse pelas doenças raras tem aumentado nos últimos anos, uma vez que se trata de um tema complexo e multifacetado, que envolve dimensões políticas, econômicas, científicas e sociais (Novaes e Soares, 2019; Austin *et al.*, 2018). Do ponto de vista científico, a baixa incidência dessas enfermidades reduz significativamente o interesse da indústria farmacêutica em investir no desenvolvimento de novas terapias. Isso ocorre porque o elevado custo de pesquisa, desenvolvimento e registro de um medicamento muitas das vezes não é compensado resultante de um mercado pequeno (Pirett *et al.*, 2018; Pereira, 2022).

Do ponto de vista social, essas enfermidades têm um impacto profundo na qualidade de vida dos pacientes e de suas famílias. Cerca de 95% das doenças raras não possuem cura e, em sua maioria, são condições crônicas, progressivas, debilitantes e frequentemente incapacitantes (Atkins e Padgett, 2024). A ausência de alternativas terapêuticas dificulta análises comparativas de custo-efetividade, e o subdiagnóstico prolonga a jornada do paciente por múltiplas especialidades até o diagnóstico definitivo (Sampaio, 2023; Vicente *et al.*, 2022)

Sob a ótica econômica, observa-se que o Ministério da Saúde distribuiu mais de 74 milhões de unidades farmacêuticas destinadas ao tratamento dessas condições, com investimentos que ultrapassaram R\$ 4,1 bilhões, evidenciando o expressivo impacto orçamentário associado a essas terapias (Brasil, 2024a). Uma parcela significativa desses gastos decorre de demandas judiciais, que pressionam o orçamento público e ampliam os desafios de financiamento. Em 2019, dos R\$1,3 bilhão destinados às despesas com judicialização, aproximadamente R\$1,2 bilhão foi destinado exclusivamente ao custeio de medicamentos para doenças raras (Cancian, 2020; Brasil, 2022a).

Casos emblemáticos reforçam essa pressão, como o do medicamento Elevidys®, indicado para a Distrofia Muscular de Duchenne, cujo custo por dose é estimado em cerca de R\$11,7 milhões (Brasil, 2025e). Situações como essa evidenciam as tensões inerentes entre garantir acesso equitativo a terapias inovadoras e assegurar a sustentabilidade financeira do Sistema Único de Saúde.

Do ponto de vista político, sabe-se que o acesso a medicamentos é amplamente reconhecido como um pilar fundamental na formulação das políticas públicas (Caetano *et al.*, 2025). No campo das doenças raras, esse debate torna-se ainda mais complexo, pois tais condições funcionam como um “objeto de fronteira”, capaz de mobilizar múltiplos atores, espaços sociais e significados, revelando interesses diversos e, por vezes, conflitantes (Huyard, 2009). A construção dessas políticas exige atuação coordenada, destacando-se o papel do Poder Legislativo na elaboração de leis e audiências públicas que respondam às necessidades coletivas, legitimem ações governamentais e fortaleçam o controle social (Torrens, 2013; Câmara dos Deputados, 2025b).

Desde 2011, o Congresso Nacional contribuiu diretamente para a criação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, promulgada oficialmente em 2014, realizando audiências públicas e apresentando proposições legislativas que consolidaram direitos e ampliaram o acesso a tratamentos especializados (Câmara dos Deputados, 2013; Pascarelli *et al.*, 2022). A formulação dessas políticas reflete a complexa interação entre diferentes atores sociais e políticos, evidenciando como decisões públicas são moldadas por consensos, disputas e mobilizações no campo institucional (Alencar, 2016).

Nesse contexto, torna-se essencial analisar a atuação do Legislativo Federal entre 2014 e 2024, caracterizando as proposições relacionadas ao acesso a medicamentos para doenças raras. Essa investigação permite compreender o papel do Congresso na formulação de políticas públicas e sua relevância científica, política e social diante do impacto dessas condições na vida de milhões de brasileiros (Novaes *et al.*, 2019; Austin *et al.*, 2017; Iriart *et al.*, 2019). Diante disso, surge o seguinte questionamento: como o Legislativo Federal brasileiro atuou, nos últimos dez anos, em relação ao acesso a medicamentos para doenças raras?

2. OBJETIVOS

2.1 Objetivo geral

Analisar as proposições do Legislativo Federal Brasileiro relacionadas ao acesso de medicamentos para doenças raras, no período de 2014 a 2024.

2.2 Objetivos específicos

- Identificar e caracterizar os principais parlamentares envolvidos em proposições para o acesso a medicamentos para doenças raras;
- Elencar os medicamentos que foram alvos de proposições do legislativo brasileiro;
- Relacionar as proposições legislativas às barreiras de acesso a medicamentos de alto custo definidas pela Organização Pan-americana de saúde;
- Discutir as proposições do Legislativo federal pós-institucionalização da Política Nacional de Doenças Raras, voltadas à ampliação do acesso a medicamentos.

3. FUNDAMENTAÇÃO TEÓRICA

3.1 A saúde como um direito e o acesso a medicamentos

No Brasil, o direito à saúde é uma garantia fundamental assegurada pela Constituição Federal de 1988, que estabelece a responsabilidade do Estado em promovê-lo. Para isso, o Poder Público deve implementar políticas sociais e econômicas voltadas à prevenção de doenças, à redução de riscos e à garantia do acesso universal e equitativo aos serviços de saúde para toda a população (Brasil, 2016).

Compete ao Estado a responsabilidade central de estruturar mecanismos que viabilizem, de maneira participativa, o acesso da população à saúde. Nesse sentido, as estratégias sociais delineadas pelo poder público, especialmente no campo da saúde, materializam-se nas políticas públicas voltadas para essa área. Tais políticas não se restringem a diretrizes abstratas, mas resultam de um processo dinâmico em que diferentes atores sociais, com interesses diversos, exercem influência e moldam as ações implementadas (Alencar, 2016).

O acesso a medicamentos é um direito essencial à saúde e, por isso, constitui um dos pilares fundamentais da saúde pública, além de representar um elemento indispensável da assistência farmacêutica (Santos *et al.*, 2016). Cabe ao Estado a responsabilidade de garantir e implementar ações que promovam esse acesso de forma equitativa, contribuindo para a redução das desigualdades sociais. Nesse contexto, as políticas públicas configuram-se como um conjunto de ações governamentais estratégicas voltadas à transformação da realidade social (Bermudez *et al.*, 2019).

Dessa forma, o acesso a medicamentos é definido como a relação entre a necessidade da população e a disponibilidade desses produtos no sistema de saúde (Santos *et al.*, 2016; Bermudez *et al.*, 2019). A Organização Pan-Americana da Saúde (OPAS, 2009) identifica diversas barreiras que dificultam o acesso a medicamentos de alto custo. Esses obstáculos servem como referência para orientar o planejamento, a formulação e a implementação de estratégias e políticas públicas voltadas à sua superação.

Entre eles, destacam-se: (1) Problemas de Pesquisa e Desenvolvimento, relacionados à ausência de incentivos do Estado e restrições orçamentárias; (2) Problemas de Disponibilidade, decorrentes do elevado custo dos medicamentos, que

inviabiliza sua aquisição frente à demanda existente 3) Limitações dos Serviços de Saúde, como barreiras geográficas e restrições na cobertura assistencial; 4) Limitações no Sistema de Fornecimento, vinculadas a falhas de gestão e distribuição; 5) Limitações de Acessibilidade, caracterizadas pelo desequilíbrio entre os recursos financeiros disponíveis e a necessidade de custeio desses tratamentos. Esses desafios comprometem a equidade no acesso e a efetivação do direito à saúde (Lopes-Junior *et al.*, 2022).

No contexto das Políticas de Assistência Farmacêutica, a construção de um marco referencial apresenta desafios significativos devido à complexidade inerente ao medicamento, seu objeto central. Segundo Araújo (2016) essa complexidade decorre das múltiplas dimensões e significados que essa tecnologia incorpora, tornando sua abordagem uma tarefa multidisciplinar. Dessa forma, os medicamentos podem ser compreendidos sob diferentes perspectivas: simbólica, econômica, ideológica, técnico-científica e política.

Correlacionando esse contexto descrito por Araújo (2016), os medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras são frequentemente vistos como a única (ou principal) fonte de esperança para os pacientes que, muitas vezes, não dispõem de alternativas terapêuticas (Lima *et al.*, 2018), o que evidencia sua dimensão simbólica. No contexto econômico, elas podem ser consideradas mercadorias, com alto valor agregado (D'ippolito e Gadelha, 2019).

Do ponto de vista ideológico, os medicamentos para doenças raras refletem a produção social de sentido, influenciando a percepção sobre o direito ao tratamento e a responsabilidade do Estado em garantir o acesso (Santos *et al.*, 2016). Sob a ótica técnico-científica, eles são tecnologias em saúde que podem trazer benefícios significativos (Villalón-Garcia *et al.*, 2020). Além disso, esses medicamentos possuem uma forte dimensão política que influencia diretamente nas decisões do Estado (Pascarelli; Pereira, 2022).

Considerando os elevados custos envolvidos, os medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras são majoritariamente fornecidos pelo Ministério da Saúde, seguindo diretrizes clínicas específicas. A incorporação desses fármacos de alto custo ao SUS adiciona camadas de complexidade à manutenção e ao equilíbrio do sistema. Trata-se de uma equação desafiadora: preços extremamente elevados pressionam o orçamento público e comprometem a capacidade dos sistemas de

saúde de assegurar acesso amplo, equitativo e sustentável à população (Santos *et al.*, 2025).

Nesse cenário apresentado, percebe-se que o papel do Estado é fundamental na formulação de políticas de saúde para garantir o acesso a esse objeto complexo (Santos *et al.*, 2016). No entanto, sua atuação pode variar entre a ação, com a implementação de estratégias para viabilizar esses medicamentos, ou a omissão, que pode comprometer a garantia do direito à saúde dos indivíduos, das populações e de seus determinantes (Paim; Teixeira, 2006). Para assegurar a efetivação desse direito e de outros princípios fundamentais, o Estado Democrático de Direito foi estabelecido pela Constituição de 1988, sendo estruturado em três poderes, são eles: o Poder Legislativo, Executivo e Judiciário (Brasil, 1988).

3.2. Atuação do Legislativo Federal na construção de Políticas Públicas de Saúde

Dentre os princípios norteadores para a construção do Estado Democrático de Direito, identifica-se como maior destaque a divisão de poderes e funções. Esse modelo tripartite é assegurado através do art. 2º da Constituição brasileira de 1988, que estabelece:

Art. 2º São Poderes da União, independentes e harmônicos entre si, o Legislativo, o Executivo e o Judiciário.” (Brasil, 1988).

Cada poder é independente dos demais, sendo essencial a existência de mecanismos de freios e contrapesos para garantir o equilíbrio e a harmonia entre eles, de modo a evitar que um poder se sobreponha aos outros (Camargo; Justo, 2013). De acordo com o art. 44 da Constituição Federal de 1988, o Poder Legislativo é exercido pelo Congresso Nacional, composto pela Câmara dos Deputados e pelo Senado Federal. Trata-se, portanto, de um poder organizado sob a forma bicameral, caracterizado pela atuação conjunta de duas casas legislativas com competências distintas e complementares.

A Câmara dos Deputados é o local onde se inicia o trâmite da maioria das proposições legislativas, dentre elas pode-se destacar: Propostas de Emenda à Constituição (PEC), Projetos de Lei Complementar (PLP), Projetos de Lei Ordinária (PL), Requerimento de Informações (RIC), Requerimento (REQ), Medida provisória (MPV), Projeto de Decreto Legislativo (PDC), Projeto de Resolução (PRC), Indicação (INC), entre outros. E o Senado Federal também desempenha um papel fundamental na aprovação das leis discutidas na Câmara (Brasil, 2025b).

Muito pouco se discute sobre o papel do Legislativo como parte integrante das políticas públicas. O Legislativo desempenha um papel fundamental na legitimação, no controle político, na fiscalização e na supervisão das ações governamentais, além de atuar como um importante canal de comunicação entre o Estado e a sociedade (Souza; Alencar, 2023). Costa *et al.* (2016) destacam a crescente produção acadêmica voltada à análise das complexas relações entre a sociedade e o Poder Legislativo, com ênfase na capacidade desse Poder de representar as demandas de diversos movimentos sociais.

O Poder Legislativo constitui um dos espaços institucionais centrais para a busca de direitos e a promoção da cidadania das pessoas com doenças raras. As associações de pacientes, juntamente com outros atores sociais, mobilizam-se por meio de diferentes instrumentos legislativos na tentativa de ampliar suas reivindicações e influenciar na formulação de políticas públicas que reflitam suas necessidades e interesses (Aureliano, 2018; Lima *et al.*, 2018). Trata-se de um espaço privilegiado de participação e mobilização, no qual é possível fortalecer a representação social, dar visibilidade às reivindicações e contribuir ativamente para os debates e processos decisórios (Pascarelli; Pereira, 2022).

Assim, percebe-se que a análise política em saúde demanda não apenas a observação de eventos isolados, mas também a compreensão das conjunturas em que esses eventos se inserem. Isso envolve mapear o posicionamento dos diversos atores, identificar a correlação de forças em jogo, reconhecer conflitos de interesse e projetos em disputa, bem como avaliar os efeitos potenciais dessas interações. Tal análise requer, ainda, a consideração dos determinantes históricos, econômicos, políticos e sociais que moldam e conferem sentido às conjunturas. Nesse contexto, o conceito de fato político pode ser entendido como um fato social resultante da interação entre atores com objetivos e interesses distintos, ora convergentes, ora divergentes, que atuam a partir de capacidades acumuladas e exercem influência no cenário coletivo (Alencar, 2016).

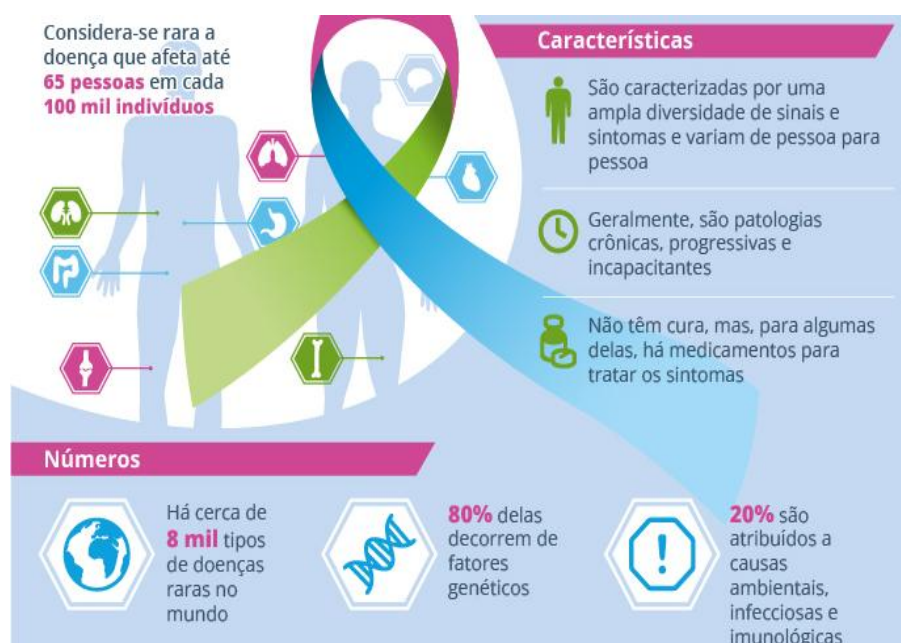
3.3. Doenças raras e os Marcos Regulatórios no Brasil

Segundo o Ministério da Saúde (Brasil, 2025c) as doenças raras constituem um grupo de condições que acometem uma parcela reduzida da população mundial, caracterizando-se por sua baixa prevalência. Em geral, são enfermidades crônicas,

progressivas, degenerativas e, frequentemente, incapacitantes, impactando de forma significativa a qualidade de vida das pessoas afetadas e de seus familiares (Figura 1).

Estima-se que existam entre 7.000 e 10.000 doenças raras, sendo aproximadamente 80% delas decorrentes de distúrbios monogênicos (relacionados a um único gene). As demais incluem anormalidades cromossômicas, neoplasias, infecções, exposições a agentes tóxicos, bem como condições degenerativas ou adquiridas (Epps *et al.*, 2022). Essas condições impõem diversos desafios, entre os quais se destacam: a dificuldade em suprir necessidades médicas ainda não atendidas, o acesso restrito a tratamentos especializados, os altos custos terapêuticos, a heterogeneidade fenotípica e genotípica entre indivíduos com o mesmo diagnóstico, além da incompatibilidade entre exames diagnósticos (Douglas *et al.* 2022).

Figura 1:Doenças raras.



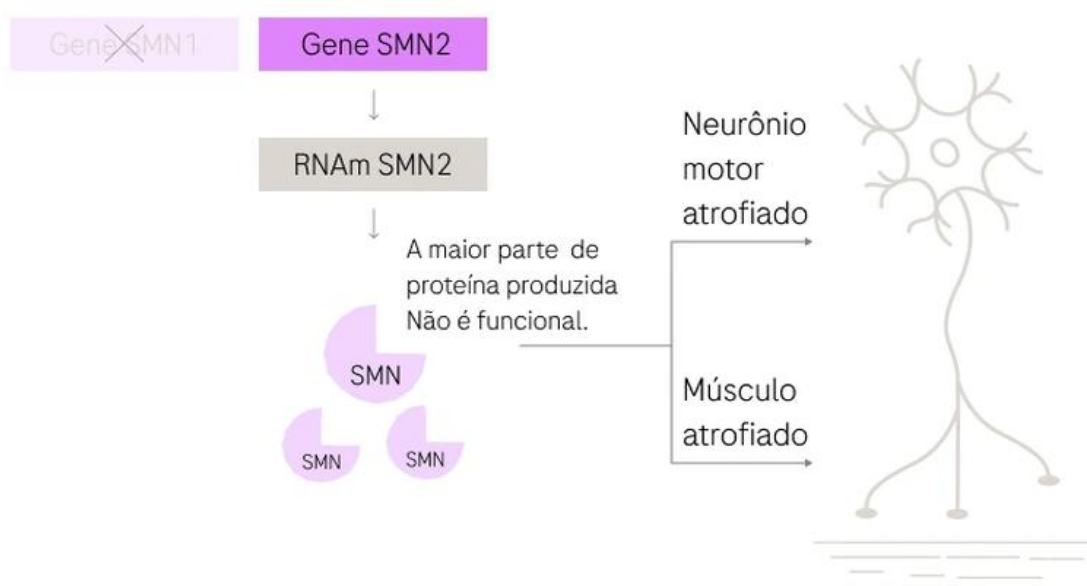
Fonte: Brasil (2023).

Atualmente, apenas uma pequena parcela dessas doenças conta com opções terapêuticas capazes de modificar sua progressão. No Brasil, algumas das condições que contam com tratamentos disponíveis incluem a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), Fibrose Cística, Atrofia Muscular Espinhal (AME), Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA) e Mucopolissacaridose (Biblioteca Virtual em Saúde, 2023).

Segundo a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (2022), a AME, embora seja classificada como uma condição rara, é

reconhecida como a principal causa genética de mortalidade na infância (Ross *et al*, 2023; Brasil, 2022). Trata-se de uma doença hereditária autossômica recessiva, rara e altamente debilitante, causada por uma mutação no gene do neurônio motor de sobrevivência (SMN1) localizado no braço longo do cromossomo 5q (Figura 2). Esse gene produz uma proteína essencial para o funcionamento dos nervos que controlam nossos músculos; sem ela, essas células nervosas não conseguem funcionar adequadamente e acabam morrendo, levando à fraqueza muscular debilitante (Renade; Belthur, 2024).

Figura 2: Fisiopatologia da Atrofia Muscular Espinhal.



Fonte: Roche (2025).

A AME é subdividida clinicamente em cinco tipos, definidos pela idade de aparecimento dos sintomas e pelas habilidades motoras alcançadas, sendo a tipo 1 a mais grave (Souza *et al.*, 2021). E atualmente, no Brasil, estão disponíveis três medicamentos para o tratamento dessa doença, são eles: Nusinersena®, Risdiplam® e Zolgensma® (Brasil, 2025f). Este último, sendo a primeira terapia gênica aprovada através do compartilhamento de risco. De acordo com o Ministério da Saúde (Brasil, 2024a), entre 2023 e 2024, o Ministério da Saúde incorporou 18 tecnologias para o tratamento de doenças raras, sendo 15 medicamentos e três produtos ou procedimentos. Atualmente, encontram-se disponíveis 152 medicamentos voltados ao tratamento dessas doenças. Estes possuem classificações a depender da sua função e forma de produção, sendo descritas no quadro abaixo:

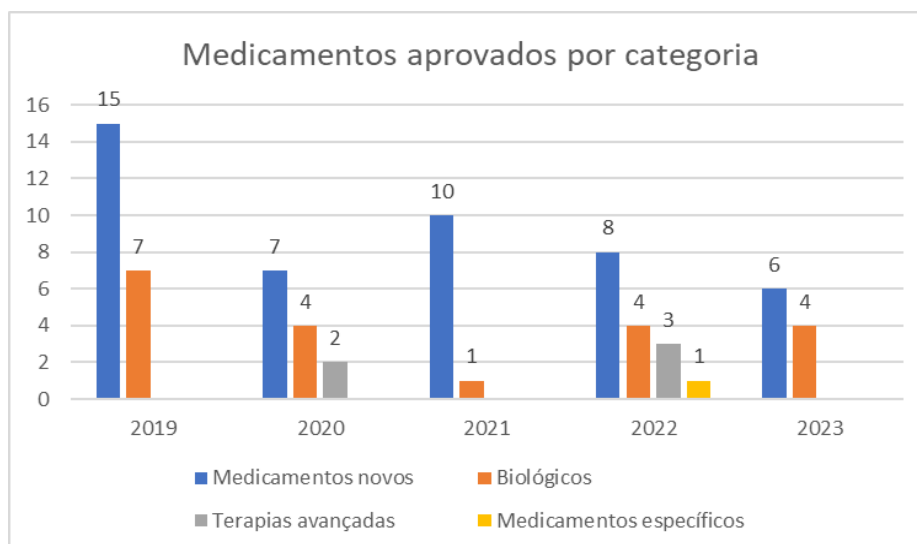
Quadro 1: Conceitos e definições de categorias de medicamentos segundo a Agência Nacional de Vigilância Sanitária.

Categoria	Definições	Exemplo	Indicação
Medicamentos novos	Medicamento que contenha nova molécula	Spinraza®	Atrofia Muscular Espinhal (AME)
Medicamentos específicos	São considerados medicamentos específicos os produtos farmacêuticos, tecnicamente obtidos ou elaborados, com finalidade profilática, curativa ou paliativa	Mevatyl®	Tratamento sintomático da espasticidade moderada a grave relacionada à esclerose múltipla (EM)
Terapias avançadas	São produtos farmacêuticos, da classe dos produtos ou medicamentos biológicos, obtidos a partir de células e tecidos humanos, que compreende terapia celular avançada, engenharia tecidual e terapia gênica.	Zolgensma®	Atrofia Muscular Espinhal (AME)
Medicamentos biológicos	Medicamento obtido ou elaborado a partir de insumo farmacêutico ativo (IFA) biológico, incluindo vacinas, soros hiperimunes, hemoderivados, anticorpos monoclonais, probióticos, alergênicos e para Terapia Avançada.	Soliris®	Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN); Síndrome hemolítico urêmica atípica (SHUa)

Fonte: Adaptado de Brasil (2020f).

Em 2019, a Anvisa registrou um recorde na aprovação de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, totalizando 21 produtos, incluindo sintéticos, biológicos e medicamentos específicos (Brasil, 2020e). A figura a seguir apresenta a quantidade por classificação dos medicamentos aprovados para essas condições no período de 2019 a 2023, conforme critérios regulatórios.

Gráfico 1: Medicamentos para doenças raras aprovados por categoria (2019 a 2023).



Fonte: Adaptado de Brasil (2023).

No contexto brasileiro, as pessoas acometidas por doenças raras passaram a conquistar maior visibilidade e reconhecimento, especialmente a partir da consolidação de importantes marcos regulatórios e institucionais. Esse avanço também se reflete no aumento das aprovações de medicamentos nos últimos anos (Gráfico 1). Desde o início da série histórica, em 2005, com a aprovação do Fabrazyme® (betagalactosidase), a Anvisa tem autorizado a aprovação de diversos medicamentos voltados ao tratamento dessas condições no país (Brasil, 2024b). Em 2009, ocorreu a primeira iniciativa nacional estruturada voltada ao tema: o I Congresso Brasileiro de Doenças Raras, evento que marcou a mobilização social e política sobre o assunto (Lima *et al.*, 2018).

Um dos principais avanços institucionais foi a criação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doença Rara, que estabeleceu parâmetros normativos, por meio da Portaria nº 199/2014 do Ministério da Saúde. Essa portaria definiu como doença rara aquelas condições que afetam até 65 pessoas a cada 100.000 indivíduos, criando um marco para o desenvolvimento de políticas públicas específicas para esse grupo (Brasil, 2014). A diretriz organizou as condições em dois eixos estruturantes: Eixo I, que abrange as doenças genéticas raras, e Eixo II, que contempla aquelas de origem não genética (Cunico *et al.*, 2023).

Em 2017, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) promoveu avanços significativos no processo de registro de medicamentos destinados ao

tratamento de doenças raras. Inicialmente, com a publicação da Resolução RDC nº 204/2017, os medicamentos voltados a essas condições passaram a ser classificados como prioridade regulatória nas petições de registro, pós-registro e anuência prévia em pesquisas clínicas, com o objetivo de ampliar o acesso.

Ainda no mesmo ano, foi publicada a resolução RDC 205/2017, que estabeleceu critérios específicos para avaliação e aprovação de medicamentos para doenças raras, além da implementação de um fluxo regulatório diferenciado e mais ágil, voltado à celeridade na análise e liberação desses produtos (Brasil, 2022b). Três anos depois, em 2020, foi criado o Programa Nacional de Genômica e Saúde de Precisão, Genomas Brasil, que proporcionou maior precisão no diagnóstico e na escolha de tratamentos mais específicos. Esse programa permitiu avanços no entendimento das relações entre genes e doenças na população brasileira (Brasil, 2020b).

O Poder Legislativo também exerce influência sobre o Executivo, como exemplificado pela aprovação da Lei nº 14.154/2021. Nessa ocasião, o Senado Federal e a Câmara dos Deputados desempenharam um papel central na formulação dessa política, cujo objetivo foi a ampliação do Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN). A norma, posteriormente, foi sancionada pelo presidente em exercício. A nova legislação estabeleceu um rol mínimo de doenças a serem rastreadas pelo teste do pezinho, representando um avanço significativo para o diagnóstico precoce (Brasil, 2020b). Outro marco relevante para a saúde pública foi a incorporação do medicamento Zolgensma® ao Sistema Único de Saúde (SUS), viabilizada por meio do modelo inovador de Compartilhamento de Risco. A expectativa é que, nos próximos dois anos, cerca de 137 pacientes sejam beneficiados por essa estratégia (Brasil, 2025d). Esse panorama apresenta marcos regulatórios significativos para o aprimoramento das políticas públicas voltadas às pessoas com doenças raras.

3.4. Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras

Conforme mencionado anteriormente, a instituição da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR), por meio da Portaria nº 199/2014 do Ministério da Saúde, consolidou-se como um marco relevante para a saúde pública brasileira, ao reconhecer oficialmente a necessidade de estratégias específicas voltadas a esse grupo populacional.

O Art. 5º da Portaria estabelece objetivos específicos que orientam a atenção às pessoas com doenças raras no âmbito do SUS. Entre eles, destacam-se: assegurar a universalidade, a integralidade e a equidade das ações e serviços de saúde, visando à redução da morbimortalidade; definir diretrizes de cuidado aplicáveis a todos os níveis de atenção; garantir atenção integral no contexto da Rede de Atenção à Saúde (RAS); ampliar o acesso regulado e universal a essa rede; assegurar, em tempo oportuno, os meios diagnósticos e terapêuticos adequados às necessidades dos pacientes; e promover a qualificação contínua da atenção prestada a esse público (Brasil, 2014).

Ainda um dos princípios fundamentais dessa diretriz consiste em assegurar a incorporação e a utilização de tecnologias que favoreçam a promoção da saúde, a prevenção de agravos e o cuidado integral no âmbito da Rede de Atenção à Saúde. Esse princípio contempla o fornecimento de tratamentos medicamentosos e de fórmulas nutricionais no Sistema Único de Saúde (Cunico *et al*, 2023).

A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras organiza essas condições em dois eixos principais: doenças de origem genética e doenças não genéticas. Essa classificação busca assegurar uma abordagem mais específica e eficaz no cuidado e tratamento dos pacientes (Brasil, 2014).

Como mencionado anteriormente, O Poder Legislativo desempenhou um papel central na discussão e implementação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Ainda que a política tenha sido formalmente instituída pela Portaria nº 199/2014 do Ministério da Saúde, sua formulação só se tornou viável a partir da pressão e da mobilização conduzidas no âmbito do Congresso Nacional (Pascarelli; Pereira, 2022).

As audiências públicas como a REQ 80/2011, realizadas nos anos que antecederam sua criação foram decisivas para estimular a mobilização social, ampliar a pressão sobre o Executivo, articular atores institucionais e conferir legitimidade ao processo. Dessa forma, o Legislativo tem desempenhado três funções fundamentais nesse campo: (1) conferir visibilidade política ao tema das doenças raras, (2) monitorar a execução da PNAIPDR e (3) propor ajustes normativos que assegurem maior sustentabilidade e efetividade à política (Pascarelli e Pereira, 2022).

Embora essa Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras representar um avanço importante, D'Ippolito e Gadelha (2019) ressaltam que o acesso ao diagnóstico e ao tratamento dessas condições no Brasil ainda se mantém

marcado por desigualdades. Muitas famílias continuam a enfrentar obstáculos significativos tanto para alcançar um diagnóstico preciso quanto para garantir a disponibilidade de terapias adequadas.

Para muitas famílias brasileiras, a busca por medicamentos e tratamentos especializados acaba se transformando em um processo judicial, revelando a dependência do sistema de Justiça como via para assegurar direitos básicos em saúde (Diniz *et al.*, 2012). Embora essas ações judiciais possibilitem o acesso imediato ao tratamento, elas sobrecarregam o sistema e não configuram uma solução viável ou sustentável a longo prazo. O enfrentamento dos desafios relacionados às doenças raras requer uma atuação efetiva do Estado e das instituições de saúde no sentido de ampliar o acesso e assegurar a oferta de tratamentos adequados (Souza *et al.*, 2024).

Diante do que foi discutido, acredita-se que esta pesquisa possa contribuir para o debate sobre o acesso a medicamentos para doenças raras, destacando o papel do Legislativo Federal como agente político na promoção de discussões, na representação desse público e na aprovação de leis essenciais para a temática. Assim, o estudo busca analisar a evolução do tema no legislativo brasileiro após a promulgação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras buscando identificar as principais trajetórias que impulsionam a construção da agenda a respeito das doenças raras no Congresso Nacional.

4. MATERIAIS E MÉTODOS

4.1 Revisão do Estado da Arte

Foi realizada uma revisão do estado da arte através da busca de artigos científicos indexados nas bases de dados eletrônicas, incluindo PubMed, ScienceDirect, SciELO e Periódicos CAPES. A busca foi conduzida utilizando como indexação os Descritores em Ciências da Saúde (Decs), em língua inglesa combinados pelo operador booleano “AND” e “OR”, considerando o recorte temporal de 2014 a 2024. A estratégia de busca combinou os seguintes descritores em inglês: “*Rare Diseases*” AND “*Orphan Drugs*” AND (“*Public Policy*” OR “*Health Policy*”) AND “*Legislative*”. Foram incluídos através de revisões sistemáticas, narrativas e de escopo, publicações que abordavam diretamente políticas públicas, regulamentações e estratégias de acesso a tratamentos para doenças raras, em inglês, espanhol e português. Sendo excluídos relatos de casos e artigos que não estavam disponíveis na íntegra.

A revisão do estado da arte evidenciou que estudos sobre a atuação do Legislativo com relação a temática ainda é limitada. No campo das doenças raras, embora existam importantes avanços no campo normativo e institucional relacionados às doenças raras, tanto no Brasil quanto em outros países, ainda persistem lacunas estruturais, econômicas e políticas que limitam a efetividade dessas ações. A literatura aponta como caminhos prioritários para o aprimoramento das políticas públicas o fortalecimento da pesquisa científica, a regulação adaptativa, o engajamento ativo de pacientes e familiares, bem como a integração intersetorial e governamental.

4.2 Desenho do estudo

Trata-se de um estudo documental, retrospectivo, de natureza exploratória e abordagem qualitativa, o qual possui a finalidade de identificar e caracterizar as propostas legislativas da Câmara dos Deputados e do Senado Federal relacionadas às doenças raras. Será realizada a análise desde a promulgação da Política Nacional de Doenças Raras, em 2014, até dezembro de 2024.

A pesquisa documental consiste na aplicação de métodos e técnicas voltados à identificação, compreensão e análise de documentos de naturezas diversas (Silva *et al.*, 2009). Uma das justificativas para a utilização desse tipo de fonte é a possibilidade de incorporar a dimensão temporal à compreensão dos fenômenos

sociais. A análise documental permite observar processos de amadurecimento ou transformação de indivíduos, grupos, conceitos, saberes, comportamentos, mentalidades, práticas e acontecimentos ao longo do tempo (Cellard, 2008).

Para além do levantamento documental enquanto fonte de informação, a análise documental configura-se como uma estratégia metodológica relevante na obtenção de dados qualitativos, permitindo a apreensão de significados, interpretações e contextos subjacentes aos documentos analisados (Silva *et al.*, 2021). Além disso, esta pesquisa documental adota um carácter retrospectivo, caracterizado por um delineamento metodológico voltado à investigação de eventos passados, no qual adotou-se, para tanto, um marco temporal situado no passado, a partir do qual a análise avançou até o momento presente (Fontelles *et al.*, 2009).

4.3. Estratégias de investigação e coleta dos dados

A investigação fundamentou-se na coleta sistemática de documentos públicos disponíveis em bases oficiais, como o portal da Câmara dos Deputados e do Senado Federal, incluindo projetos de lei, requerimentos, notícias institucionais, notas taquigráficas de reuniões de comissões técnicas e demais proposições legislativas, que estiverem relacionadas ao acesso a medicamentos para doenças raras.

A identificação das proposições legislativas foi realizada por meio da consulta aos bancos de dados do Portal da Câmara dos Deputados (<https://www.camara.leg.br/>) e do Portal do Senado Federal (<https://www12.senado.leg.br/>). Em ambos os casos, utilizou-se da ferramenta de pesquisa avançada disponibilizada nos respectivos portais, a fim de refinar os critérios de busca e garantir a seleção precisa dos documentos de interesse, sendo empregados filtros como o período de tramitação (de 2014 a 2024), o tipo de proposição (INC, PL, REQ, RIC, entre outros¹), partido político e descritores como: “medicamento”, “doença rara”, “doenças raras”. Essas palavras não foram combinadas utilizando *operadores booleanos*. No portal do Senado Federal, foram empregados os mesmos descritores previamente mencionados, por meio da ferramenta de pesquisa avançada disponível no site *LexML* que possibilita o acesso a proposições legislativas. Essa plataforma, mantida pelo Senado, permite a análise

¹ INC: Indicações Legislativas; PL: Projeto de Lei; REQ: Requerimento; RIC: Requerimento de Informação.

detalhada das proposições segundo critérios como ano, autoria e unidade federativa. Quanto aos autores, foram considerados apenas os primeiros signatários de cada projeto. Essa escolha se justifica pela dinâmica do Congresso Nacional, onde parlamentares frequentemente subscrevem proposições legislativas para evitar seu arquivamento. Posteriormente, realizou-se uma consulta às biografias disponíveis nos portais do Congresso Nacional, com o intuito de identificar os interesses dos autores das proposições legislativas, compreender sua atuação política e verificar a filiação partidária de cada parlamentar.

4.4 Critérios de inclusão e exclusão

Foram incluídas na análise as proposições parlamentares da Câmara dos Deputados e do Senado Federal que abordaram temas relacionados às doenças raras e ao acesso a medicamentos destinados a esse público, no período compreendido entre 2014 e 2024. No que se refere à autoria, serão considerados apenas os primeiros signatários de cada proposição legislativa.

Como critério de exclusão, foram desconsideradas as proposições que não apresentaram relação direta com o objeto de estudo no recorte temporal estabelecido, além disso, foram excluídas proposições legislativas que não estavam disponíveis na íntegra ou incompletas ou até mesmo duplicadas.

4.5. Instrumento de coleta

As produções selecionadas, obtidas nos portais oficiais da Câmara dos Deputados e do Senado Federal, foram organizadas em uma planilha eletrônica elaborada no Microsoft Excel (*versão 365*). O banco de dados foi estruturado de forma a contemplar os anos correspondentes ao período de análise, possibilitando a sistematização cronológica das informações. Os dados foram padronizados e distribuídos em colunas específicas, contemplando as seguintes informações: data de publicação, ementa, justificativa, descritor, autor/partido, ano e link de acesso.

Figura 3:Esquema de organização na planilha Excel.

PROPOSIÇÃO	EMENTA	JUSTIFICATIVA	AUTOR/PARTIDO	LINK
PL 8188/2014	Dispõe sobre a instituição do Dia Nacional de Doenças Raras.	Institui o Dia Nacional de Doenças Raras, a ser celebrado no último dia do mês de fevereiro de cada ano.	Senado Federal - Eduardo Suplicy - PT/SP	https://www.camara.leg.br/

Fonte: Autora (2025).

4.6. Processamento e análise dos dados

A adoção da análise de conteúdo nesta pesquisa justifica-se por sua reconhecida aplicabilidade em estudos sobre políticas públicas, especialmente quando se busca interpretar discursos, proposições legislativas e documentos institucionais. Sampaio e Lycarião (2021) afirmam que o uso de análise de conteúdo nos estudos de políticas públicas revela-se importante, uma vez que permite produzir dados e interpretações capazes de sintetizar informações, estabelecer comparações e testar hipóteses a partir de distintos tipos de textos.

Para o processamento e a análise dos dados, adotou-se o método de pesquisa proposto por Bardin (2011), com adaptações sugeridas por Minayo (2014) para o campo das ciências sociais e da saúde, denominada “análise de conteúdo”, que consiste em:

[...]Conjunto de técnicas de análises das comunicações que tem objetivo de obter indicadores quantitativos ou não que permitam a inferência de conhecimentos relativos às condições de produção/recepção (variáveis inferidas) das mensagens (Bardin, 2011).

Essa autora defende que a análise de conteúdo prevê três fases fundamentais: 1) pré-análise; 2) exploração do material e 3) tratamento dos resultados. A pré-análise corresponde à etapa de familiarização e organização do material, na qual se estrutura o corpus da pesquisa, entendido como o conjunto de documentos relevantes a serem submetidos à análise. Nesse primeiro momento, procede-se à organização do corpus documental por meio dos textos selecionados (98 documentos legislativos), os quais são posteriormente sistematizados em uma matriz para orientação das etapas seguintes. Na segunda fase da exploração do material foi feito um mapeamento para saber identificar as características e trajetórias em comum dos parlamentares que os tornam proeminentes neste tema, e analisar as propostas legislativas relacionadas ao acesso de medicamentos, pois segundo Minayo (2014) a exploração do material constitui em uma etapa importante cujo objetivo é alcançar o núcleo de sentido dos textos analisados.

Para sistematizar a análise, contemplando o terceiro objetivo específico, foi adotada uma categorização baseada nas cinco barreiras de acesso a medicamentos de alto custo definidas pela Organização Pan-Americana da Saúde (2009). A primeira barreira, Problemas de Pesquisa e Desenvolvimento, descreve a falta de interesse econômico da indústria farmacêutica e a ausência de incentivos governamentais para estimular pesquisas. A segunda, Problemas de Disponibilidade, refere-se à situação

em que o acesso ao medicamento não é garantido, seja por falta de incentivo econômico ou por mercado limitado. A terceira, Limitações dos Serviços de Saúde, engloba barreiras presentes nos próprios serviços, como dificuldades geográficas, culturais e de cobertura, incluindo a insuficiência de recursos e a não inclusão de determinados medicamentos.

A quarta barreira, Limitações no Sistema de Fornecimento, indica que o acesso depende de um sistema eficiente, abrangendo todo o ciclo da assistência farmacêutica, desde a seleção e aquisição até a distribuição e utilização final do medicamento. Por fim, a quinta barreira, Limitações na Acessibilidade, evidencia que um dos principais obstáculos é econômico, ocorrendo quando os recursos disponíveis não são suficientes para cobrir o custo dos medicamentos, comprometendo o acesso da população. Diante disso, a classificação das proposições legislativas foi realizada de acordo com a justificativa apresentada para sua criação, de forma que cada proposição tenha como objetivo reduzir a barreira correspondente. É importante destacar que cada proposição foi classificada em apenas uma das cinco barreiras de acesso.

Ainda com o objetivo de ampliar a sistematização e aprofundar a análise qualitativa, os dados textuais foram processados no IRaMuTeQ (Interface de R *pour les Analyses Multidimensionnelles de Textes et de Questionnaires*). Essa ferramenta de livre acesso permite realizar análises estatísticas e lexicais a partir de grandes volumes de texto, facilitando a identificação de padrões, categorias e relações semânticas presentes no *corpus*. Por meio de diferentes recursos, como análises de frequência, similitudes, classificações hierárquicas e nuvens de palavras, o IRaMuTeQ contribui para tornar mais clara e estruturada a interpretação dos dados qualitativos, ampliando o rigor e a profundidade analítica do estudo. Dessa maneira, seu uso viabiliza uma compreensão mais abrangente e fundamentada dos fenômenos investigados, fortalecendo a consistência e a validade das conclusões (Camargo; Justo, 2013).

Nesta etapa da pesquisa, foi elaborado um *corpus textual* composto pelas Proposições Legislativas de autoria dos parlamentares analisados, com o intuito de identificar os posicionamentos, interesses e temas predominantes relacionados ao acesso a medicamentos para doenças raras. A construção desse corpus seguiu os critérios técnicos de padronização recomendados pelo software IRaMuTeQ, garantindo a adequada leitura e processamento do material. Para isso, a construção

do *corpus* foi realizado em duas etapas, a primeira etapa, realizou-se a inspeção visual do material para correção ortográfica e eliminação de trechos repetidos, vícios de linguagem, conectores, caracteres especiais e sinais de pontuação, seguindo a padronização exigida pelo programa.

Na segunda etapa, cada proposição foi organizada em linhas de comandos que incluíram as variáveis de interesse do estudo, o que permitiu relacionar as informações textuais às categorias analíticas da pesquisa. Por exemplo, a linha de comando **** *proposição_01 *ano_2014 *partido_01 *autor_01 *Estado_01, significa o posicionamento expresso por meio da proposição 01 (Requerimento), apresentada pelo parlamentar 01 (Dr. Rosinha), filiado ao partido 01 (PT) e representante do Estado 01 (Paraná), no ano de 2014.

O corpus foi então submetido à Análise de Classificação Hierárquica Descendente (CHD) disposto no software, conforme o modelo desenvolvido por Reinert (1990). Essa técnica consiste em segmentar o texto em unidades menores de análise, denominadas *segmentos de texto*, e em seguida agrupar essas unidades segundo a semelhança vocabular. O agrupamento é realizado com base na frequência e ocorrência das palavras, identificando os radicais lexicais mais representativos e as associações entre eles (Camargo; Justo, 2013).

Durante o processamento, o IRaMuTeQ realiza uma análise estatística das ocorrências lexicais e forma classes de sentido que compartilham vocabulário semelhante, revelando regularidades e contrastes no discurso. Cada classe representa um conjunto temático, permitindo compreender de forma estruturada os diferentes eixos discursivos presentes nas proposições analisadas. No dendrograma desta pesquisa foram consideradas as palavras com $p < 0,0001$, considerando as palavras de maior força associativa às classes.

O software apresenta os resultados da análise por meio de um dendrograma, que representa graficamente as relações entre as classes formadas, permitindo visualizar e descrever a estrutura dos agrupamentos identificados. Cada classe é interpretada a partir do vocabulário característico e das variáveis associadas, possibilitando compreender os eixos temáticos predominantes no corpus analisado (Carvalho *et al*, 2023).

Dessa forma, a CHD possibilita visualizar como os temas e argumentos se distribuem dentro do corpus, fornecendo uma base empírica sólida para a interpretação qualitativa dos resultados (Souza *et al*, 2025). Essa abordagem combina

a análise quantitativa do léxico com a interpretação qualitativa do conteúdo, favorecendo uma leitura mais profunda sobre o modo como o acesso a medicamentos para doenças raras tem sido abordado no âmbito legislativo.

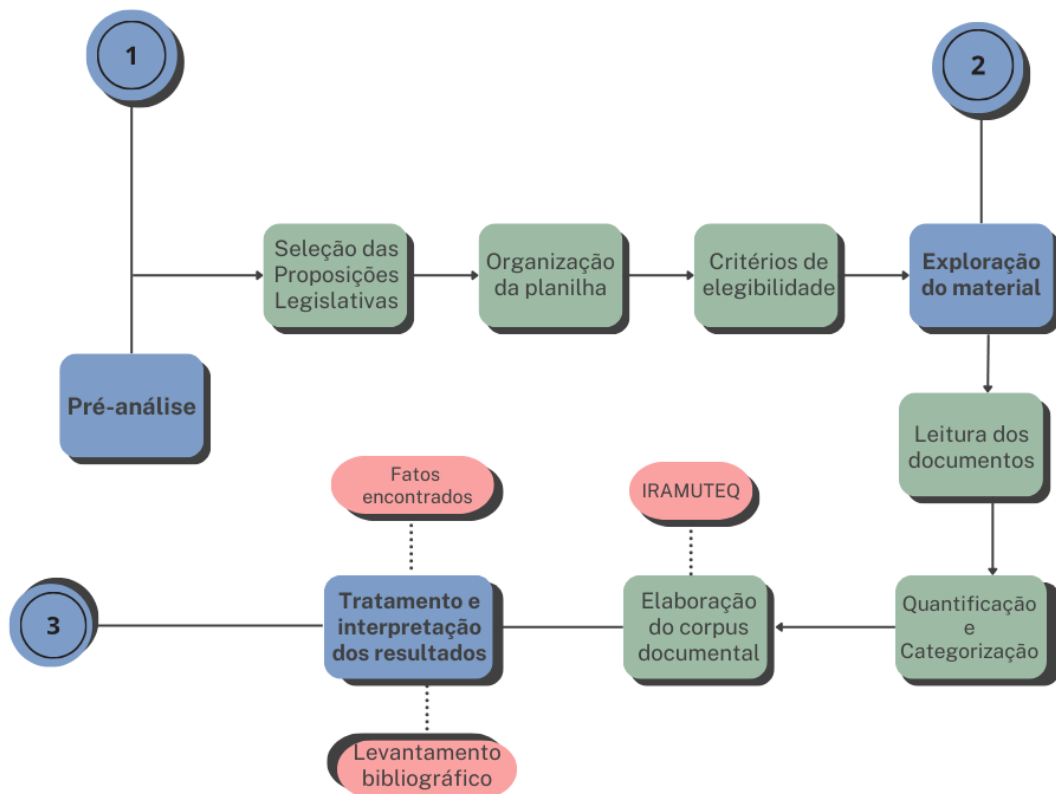
É necessário ressaltar que o IRaMuTeQ é uma ferramenta valiosa, mas não substitui a interpretação crítica dos dados por parte do pesquisador. Assim, na última etapa procedeu-se à análise interpretativa dos sentidos atribuídos às classes, buscando relacionar os achados às dimensões qualitativas do discurso. A interpretação das categorias foi realizada de forma colaborativa pelo autor, orientador e coorientador, a fim de garantir maior rigor metodológico e minimizar possíveis vieses de interpretação ou alocação.

Destaca-se que essa análise realizada através do software IRaMuTeQ emprega os critérios de exaustividade, homogeneidade, representatividade, pertinência e exclusividade, conforme propostos por Bardin (2011), visando garantir coerência metodológica e alinhamento aos objetivos da pesquisa. A exaustividade assegurou que o material contemplasse todos os aspectos relevantes do tema; a representatividade garantiu que os documentos refletissem adequadamente o universo investigado; a homogeneidade exigiu uniformidade na escolha dos temas, técnicas e perfis dos interlocutores; a pertinência assegurou a adequação dos textos aos objetivos do estudo; e a exclusividade determinou que cada documento fosse alocado a apenas uma categoria analítica, evitando sobreposições (Minayo, 2014).

Por fim, a terceira etapa metodológica, correspondente ao tratamento dos resultados e à interpretação, consistiu na análise crítica dos achados da pesquisa, com o propósito de construir os fatos relacionados ao acesso a medicamentos para doenças raras. Nessa fase, os dados sistematizados foram examinados à luz do referencial teórico, permitindo identificar desafios e tendências nas ações do Legislativo Federal sobre a temática, sempre em diálogo com a literatura pertinente.

O fluxograma a seguir sintetiza as etapas metodológicas adotadas, conforme os procedimentos da análise de conteúdo.

Figura 4: Fluxograma das etapas metodológicas do estudo.



Fonte: Autora (2025).

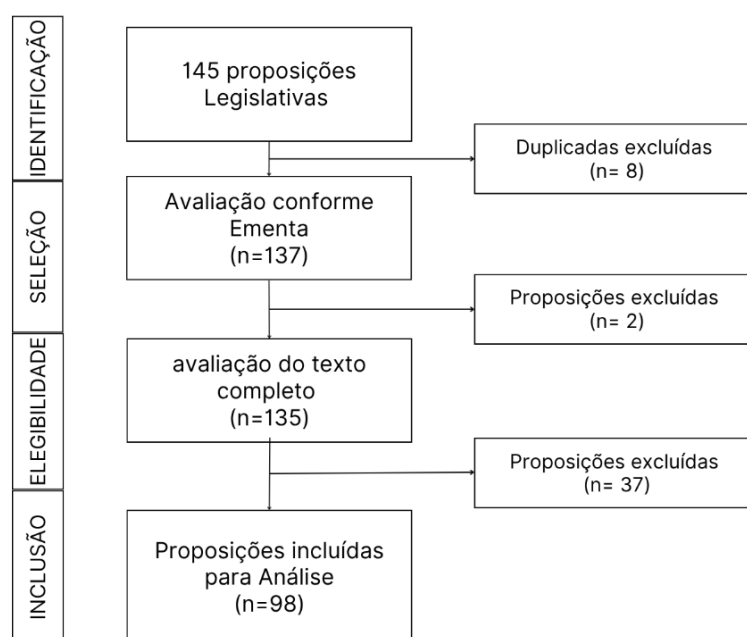
4.7 Aspectos éticos

A pesquisa foi realizada exclusivamente com base em fontes públicas de dados, não envolvendo a participação de seres humanos nem a utilização de informações sensíveis ou identificáveis.

5. RESULTADOS

Foram identificadas 145 proposições legislativas a partir dos descritores aplicados nas plataformas de busca. Destas, 124 foram localizadas na Câmara dos Deputados e 21 no Senado Federal. Após a aplicação dos critérios de elegibilidade, 8 proposições foram excluídas por duplicidade; após a leitura das ementas, 2 foram excluídas por não atenderem aos critérios de inclusão, e 37 por tratarem de temas não relacionados exclusivamente ao acesso a medicamentos. Assim, 98 proposições Legislativas foram incluídas para análise dos resultados.

Figura 5: Identificação das proposições legislativas.



Fonte: Autora (2025).

5.1. Mapeamento político: Principais autores e instrumentos legislativos

As proposições legislativas analisadas foram agrupadas em dois grandes grupos (Figura 6). O primeiro grupo abrange os instrumentos legislativos que visam promover alterações no marco jurídico-regulatório vigente no Brasil, incluindo Projetos de Lei (PL), Projetos de Lei Complementar (PLP) e Propostas de Emenda Constitucional (PEC), os quais foram identificados na coleta. Nesse grupo, observou-se predominância dos Projetos de Lei, que totalizaram 51 registros, seguidos por uma PEC e um PLP, somando 53 proposições. O segundo grupo compreende os

instrumentos legislativos voltadas ao estímulo de debates, audiência pública, à solicitação de informações e/ou fiscalização política, englobando Requerimentos de Informação (RIQ), Requerimentos (REQ) e Indicações (INC). Foram identificados 20 RIQ, 18 REQ e 7 INC, totalizando 45 proposições. Conforme apresentado na Figura 6, as proposições do tipo Projeto de Lei (n = 51) representaram a maior parcela do conjunto analisado, seguidas pelos Requerimentos de Informação (n = 20), Requerimentos (n = 18) e Indicações (n = 7). Esses instrumentos estiveram majoritariamente relacionados à realização de audiências públicas e à solicitação de informações sobre temas específicos.

Figura 6: Quantitativo de proposições legislativas identificadas por grupo.

	Tipo de Proposição	n
Grupo 1	PL	51
	PEC	1
	PLP	1
Total		53
Grupo 2	RIQ	20
	REQ	18
	INC	7
Total		45

Fonte: Autora (2025).

É possível observar, ao longo do período de dez anos, um crescimento consistente na quantidade de materiais legislativos relacionados ao acesso a medicamentos para doenças raras (Figura 7). Entre os anos de 2017 e 2018, esse número se manteve relativamente constante, indicando um período de estabilização. A partir de 2018, verifica-se um aumento progressivo. A linha de tendência ajustada aos dados evidencia um crescimento contínuo ao longo do período analisado, reforçando a consistência da associação temporal observada. Esse resultado evidencia que a variação anual das proposições legislativas apresenta uma tendência ascendente, refletindo o crescente interesse do Legislativo sobre o tema ao longo do período analisado.

Figura 7: Frequência de Proposições Legislativas (2014-2024).



Fonte: Autora (2025).

Sob a perspectiva partidária e com o propósito de compreender a dinâmica da pauta no âmbito do Poder Legislativo, realizou-se uma busca voltada à identificação dos parlamentares mais propositivos e de suas respectivas filiações partidárias (Quadro 1). No período compreendido entre 2014 e 2024, foram considerados 63 deputados que tiveram iniciativas para conduzir uma pauta no Legislativo. Observou-se, entretanto, que a maior concentração de proposições ocorreu entre os parlamentares com mais de três iniciativas apresentadas, sendo identificados como os mais atuantes no tema. O deputado Diego Garcia destacou-se como o mais propositivo, com oito proposições, seguido das deputadas Mariana Carvalho, Rosângela Moro e Rejane Dias, com cinco proposições cada. Na sequência, figuram a senadora Carmen Zanotto e a senadora Mara Gabrielli, com quatro e três proposições, respectivamente.

Quadro 1: Interesses dos parlamentares autores das proposições legislativas.

Autor	Cargos	Partido	Características biográficas	Nº de Proposições
Diego Garcia	Deputado Federal	Republicanos	Presidente da Frente Parlamentar sobre Doenças Raras	8
Mariana Carvalho	Deputada Federal	PSDB	Profissional da Saúde	5
Rejane Dias	Deputada Federal (Não está mais em exercício)	PT	Assumiu cargos Públicos voltados às pessoas com deficiência	5
Rosângela Moro	Deputada Federal	UNIÃO	Autora de obras publicadas sobre doenças raras	5
Carmen Zanotto	Deputada Federal (Não está mais em exercício)	Cidadania	Profissional da saúde	4
Mara Gabrilli	Senadora	PSDB	Possui doença rara e é profissional da Saúde	3

Fonte: Autora (2025).

A análise da filiação partidária dos parlamentares mais atuantes no tema das doenças raras evidenciou uma distribuição entre diferentes partidos políticos, sem concentração em uma única legenda. Além disso, a partir do levantamento das biografias disponíveis, observa-se que estes parlamentares mais propositivos apresentam características biográficas convergentes, como formação na área da saúde, vivência pessoal com doenças raras ou deficiências, ou ainda um histórico de atuação pública voltado à defesa dos direitos dessas populações.

5.2 Medicamentos em destaque nas proposições legislativas

Dinâmica similar foi observada nas discussões legislativas referentes ao acesso a medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras. Nessas proposições, o foco central recai sobre a garantia do acesso em diferentes etapas,

desde o processo de incorporação e disponibilização no Sistema Único de Saúde até questões relacionadas ao desabastecimento. Não houve concentração expressiva de iniciativas direcionadas a uma doença específica; contudo, a Atrofia Muscular Espinhal e a Mucopolissacaridose foram as condições que reuniram o maior número de medicamentos, com três cada. Destaca-se também que o medicamento Zolgensma® (onasemnogene abeparvoveque) foi o mais mencionado, em razão de ter sido o primeiro fármaco aprovado no país sob o modelo de compartilhamento de risco e por ter demorado de ser disponibilizado. O quadro 2 apresenta a relação dos medicamentos que foram objeto de discussão parlamentar no período analisado, totalizando 18 medicamentos citados em diferentes proposições legislativas e justificativas, sendo 9 Medicamentos biológicos, 3 Terapias avançadas e 6 medicamentos novos.

Quadro 2: Lista de medicamentos discutidos e suas justificativas.

Medicamento	Tratamento	Tecnologia	Proposição	Objetivo
Zolgensma® (onasemnogene abeparvoveque)	Atrofia Muscular Espinhal tipo I.	Terapia avançada	PL5253/2020; RIC783/2020; INC297/2020; REQ286/2021; REQ148/2022; RIC4426/2024	Pedido de incorporação no SUS e atrasos na disponibilização
Zavesca® (Miglustate)	Gaucher tipo 1 e Niemann-Pick tipo C	Medicamento Novo	RIC 4301/2024	Atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas
Elevidys® (delandistrogene moxeparvoveque)	Distrofia Muscular de Duchenne	Terapia avançada	REQ 33/2024	Obter informações sobre o andamento do registro do medicamento
Evrysdi® (risdiplam)	Atrofia Muscular Espinhal	Medicamento Novo	PL2300/2021	Pedido de inclusão no SUS
Spinraza® (nusinersena)	Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III.	Medicamento Novo	PL 10377/2018	Pedido de inclusão acelerada no SUS

Brineura® (alfacerliponase)	Lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2	Medicamento Biológico	REQ103/2022	Audiência pública para esclarecimentos da incorporação
Ofev® (nintedanibe)	Fibrose pulmonar idiopática	Medicamento Novo	INC240/2024	Inclusão do Nintedanibe e disponibilização no SUS
Luxturna® (voretigeno neparvoveque)	Amaurose congénita de Leber	Terapia avançada	INC 695/2023	Solicitamos a disponibilização do medicamento para o usuário Davi e sugerimos avaliar a inclusão desse tratamento SUS
Imunoglobulina humana	Polineuropatia Inflamatória demyelinizante crônica	Medicamento Biológico	INC 691/2023	Pedido de inclusão na RENAME
Trikafta® (elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor)	Fibrose cística	Medicamento Novo	INC 1258/2022	Inclusão deste medicamento no protocolo
Voxzogo® (vosoritida)	Acondroplasia	Medicamento Biológico	RIC 1504/2023	Desabastecimento
MYOZYME® (alfa-alglicosidase)	Doença de Pompe	Medicamento Biológico	REQ 43/2021	Diante da não recomendação, propomos uma audiência pública para discutir a inclusão
Vimizim® (alfaelossulfase)	Mucopolissacarídeos do tipo VII	Medicamento Biológico	PL 605/2020	obrigar o Sistema Único de Saúde a fornecer medicamentos
Naglazyme® (galsulfase)	Mucopolissacarídeos do tipo VII	Medicamento Biológico	RIC1976/2023	Desabastecimento
Radicava® (edaravona)	Esclerose Lateral Amiotrófica	Medicamento Novo	REQ 6/2016	Possibilidade de registro e produção, no Brasil

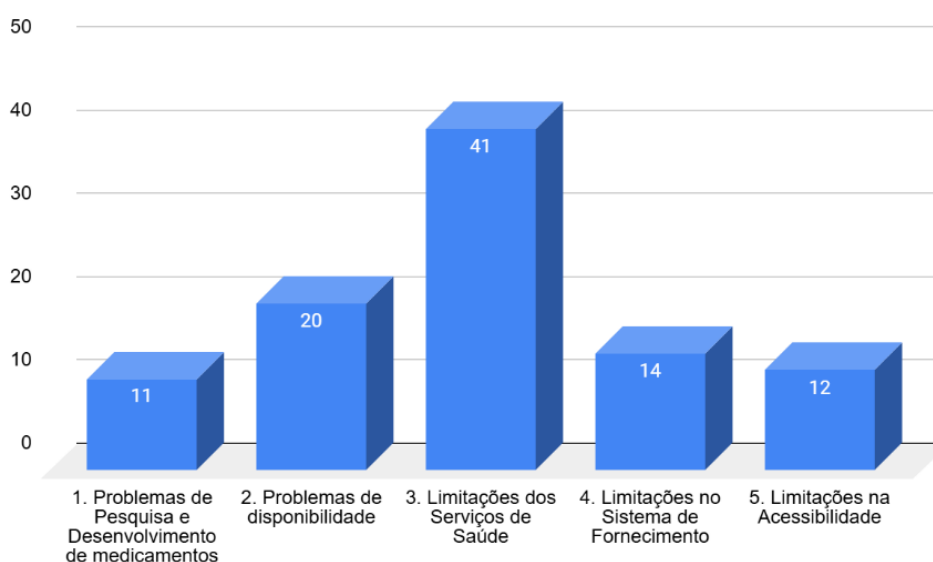
Aldurazyme® (Iaronidase)	Mucopolissacaridoses	Medicamento Biológico	RIC 3707/2018	Desabastecimento
Soliris® (Eculizumabe)	Hemoglobinúria Paroxística Noturna	Medicamento Biológico	RIC 3.535/2018	Desabastecimento
Benlysta® (Belimumabe)	Lupus Eritematoso Sistêmico	Medicamento Biológico	REQ 171/2017	Inclusão no rol de procedimentos cobertos pelos planos de saúde.

Fonte: Autora (2025).

5.3. Análise das proposições pós-institucionalização da Política Nacional de Doenças Raras.

A categorização de acordo com as categorias de acesso a medicamentos de alto custo definidas pela OPAS possibilitou classificar cada proposição conforme sua justificativa e a forma como propõe reduzir as barreiras de acesso aos medicamentos. Essa categorização possibilitou identificar e agrupar os diferentes tipos de barreiras abordadas, permitindo compreender quais dimensões do acesso têm recebido maior atenção e debate por parte do Poder Legislativo.

Figura 8: Distribuição das proposições legislativas segundo as barreiras de acesso.



Fonte: Autora (2025).

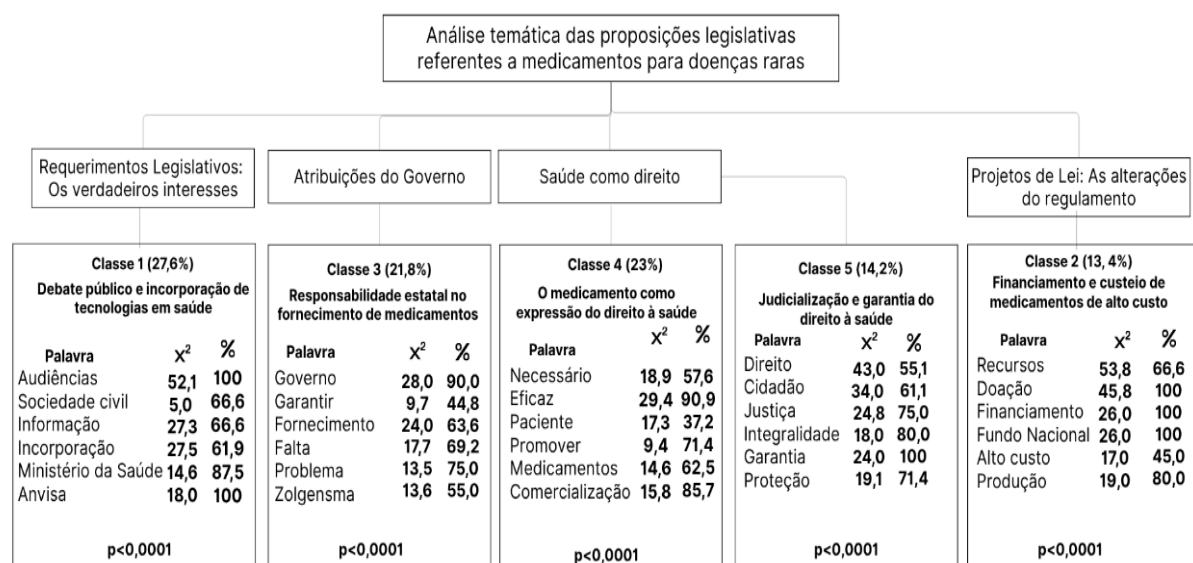
A análise das proposições legislativas revela que a maior concentração de iniciativas parlamentares está voltada às limitações dos serviços de saúde (41 proposições). Esse resultado demonstra uma preocupação do Legislativo com as falhas estruturais e operacionais do Sistema Único de Saúde, especialmente no que diz respeito à organização, gestão e efetividade das políticas voltadas ao atendimento de pacientes com doenças raras.

Em seguida, observa-se destaque para os problemas de disponibilidade de medicamentos (20 proposições), refletindo a atenção dos parlamentares às dificuldades de incorporação, registro e aquisição de terapias de alto custo. As limitações no sistema de fornecimento (14 proposições) e as limitações na acessibilidade (12 proposições) também foram temáticas relevantes, indicando a preocupação com os entraves logísticos e burocráticos que comprometem a distribuição e o acesso contínuo aos medicamentos.

Por fim, os problemas relacionados à pesquisa e desenvolvimento de medicamentos (11 proposições) aparecem em menor proporção, mas ainda assim foi uma pauta discutida em todos os anos. Dando continuidade, a fim de contemplar o terceiro objetivo específico, a análise feita pelo software IRaMuTeQ permitiu identificar e interpretar os posicionamentos dos autores, classificando as maiores ocorrências de palavras que dão sentido às suas respectivas classes.

O processamento resultou na formação de cinco classes de palavras, produzidas a partir das 98 proposições legislativas selecionadas, os quais 505 formaram os segmentos de texto. Destas, 409 foram aproveitadas na análise, correspondendo a 81% do total de segmentos de texto considerados. De acordo com Camargo (2013), esse percentual de retenção é indicativo de consistência e qualidade na análise, uma vez que o software recomenda índices mínimos de aproveitamento entre 70% e 75% para assegurar a representatividade e a confiabilidade dos resultados obtidos. A análise resultou em 17.394 ocorrências de palavras. As cinco classes serão discutidas a seguir (Figura 9).

Figura 9: Dendograma da Classificação Hierárquica Descendente (CHD) do corpus das proposições Legislativas referente ao acesso a medicamentos para doenças raras.



Fonte: Produzido pela autora a partir dos dados obtidos na análise do *software* Iramuteq (2025).

A análise de Classificação Hierárquica Descendente (CHD) dividiu o corpus em quatro grandes repartições, sendo que uma delas se desdobrou em duas classes, enquanto as demais resultaram em uma classe cada, totalizando cinco classes. Cada classe é composta por um conjunto de palavras que, em associação, definem o sentido temático predominante de seu conteúdo. Essa distribuição baseia-se no valor de significância estatística (p), o qual expressa a probabilidade de que a ocorrência de determinada palavra em uma classe tenha ocorrido de forma aleatória.

Assim, quanto menor o valor de p , maior é a força da associação lexical entre o termo e a classe. No presente estudo, foram observadas palavras com $p < 0,001$, indicando associações altamente significativas e evidenciando que os termos identificados estão fortemente relacionados ao conteúdo temático das respectivas classes, atuando como marcadores lexicais relevantes para a interpretação dos resultados.

A primeira repartição, intitulada “Requerimentos Legislativos: os verdadeiros interesses”, originou a Classe 1 (27,6%), relacionada aos debates e audiências públicas voltados à incorporação de tecnologias em saúde. A segunda repartição, denominada “Projetos de Lei: as alterações do regulamento”, deu origem à Classe 2 (13,4%), que aborda questões de financiamento e custeio de medicamentos de alto custo. A terceira repartição, referente às “Atribuições do Governo”, resultou na Classe

3 (21,8%), associada à responsabilidade estatal no fornecimento de medicamentos. Por fim, a última repartição, intitulada “A saúde como direito”, originou a Classe 4 (23%) e a Classe 5 (14,2%), vinculadas, respectivamente, à representação do medicamento como componente essencial do direito à saúde e à judicialização como instrumento de garantia desse direito.

5.3.1 Debate público e incorporação de medicamentos.

A Classe 1 evidenciou as justificativas que motivaram a formulação de requerimentos de audiências públicas. Destacam-se os termos “*audiência pública*”, “*sociedade civil*”, “*informação*”, “*incorporação*”, “*Ministério da Saúde*” e “*Anvisa*”, que compõem o núcleo lexical dessa classe. Observou-se que tais audiências foram propostas com o intuito de obter esclarecimentos institucionais e cobrar posicionamentos formais sobre os processos de incorporação e não incorporação de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras. O Legislativo direciona essas demandas, principalmente, ao Ministério da Saúde, em virtude de atrasos na disponibilização de tecnologias no Sistema Único de Saúde, e também à Anvisa, considerando seu papel regulatório na autorização e avaliação desses produtos. Um aspecto relevante identificado é a inclusão recorrente de representantes da sociedade civil, especialmente de associações de pacientes, cujos depoimentos são utilizados para ilustrar o impacto do não acesso às tecnologias e reforçar a dimensão humana e social do problema.

[...]A CONITEC, recomendou em seu relatório preliminar, a não incorporação do único medicamento para a mucopolissacaridose do tipo VII. Para o geneticista e pesquisador Roberto Giugliani, os estudos clínicos comprovam que o medicamento é eficiente e seguro. Diante desta instabilidade dos pareceres técnicos do Ministério de Saúde e reconhecendo as necessidades das famílias e, o alto custo dos medicamentos é que apresentamos o presente projeto que obrigará o SUS a providenciar o suprimento de remédios necessários [...] (Dep. Rejane Dias, 2020)

[...] Vimos sugerir a urgência do posicionamento a respeito do andamento da incorporação no SUS [...] (Dep. Carlos Henrique Gaquim, 2022)

[...] Tem por finalidade de aprimorar a composição da CONITEC para assessorar a incorporação [...] (Dep. Rosângela Moura, 2023)

[...] Faz-se necessário a realização de audiência Pública para dar agilidade no registro do medicamento Elevidys. (Dep. Pinheiro, 2024)

[...] Necessidade de fomentar a participação da sociedade civil no processo de decisão [...] (Dep. Sílvia Cristina, 2021)

Identificou-se, ainda, um conjunto de proposições voltadas à aceleração e, em alguns casos, à obrigatoriedade da incorporação de medicamentos no âmbito do Sistema Único de saúde, o que representa um ponto de tensão recorrente, sobretudo quando o Legislativo propõe interferir diretamente nas atribuições da Agência Nacional de Vigilância Sanitária relativas à avaliação e aprovação de tecnologias em saúde. Essa tendência pode ser ilustrada por diferentes posicionamentos, tais como:

“[...] há que se reconhecer a ineficiência da agência quando o assunto é o registro de medicamentos inovadores no Brasil. ” (Dep. Júlio Delgado, 2014)

“[...] Altera a Lei para liberar e autorizar o registro de medicamento estrangeiro destinado ao tratamento de doenças raras. A morosidade no procedimento do registro acaba ceifando várias vidas em virtude de uma burocracia administrativa realizada pelo órgão responsável ” (Dep. Rose de Freitas, 2017)

“[...] Impor procedimento mais célere para a incorporação ao Sistema Único de Saúde de medicamentos que tratem doenças raras.” (Dep. Felipe Bornier, 2018)

“[...] Este projeto de lei pretende simplificar alguns aspectos da legislação de registro de medicamentos, de forma a permitir trâmites mais acelerados em determinadas situações ”. (Dep. Hiran Gonçalves, 2019)

“[...] Aprimorar a composição da CONITEC. pretendemos ampliar a capacidade de análise do colegiado, bem como conferir maior celeridade aos processos em curso ”. (Dep. Rosângela Moro, 2023)

Os segmentos de texto que compõem essa classe evidenciam um tensionamento institucional entre o Poder Legislativo e o Poder Executivo no tocante às questões de regulamentação e incorporação de tecnologias em saúde. As audiências públicas emergem, nesse contexto, como instrumentos políticos de mediação e visibilidade, por meio dos quais os parlamentares expressam seus posicionamentos e buscam influenciar as decisões técnicas das instâncias responsáveis, como a Anvisa e a Conitec. Observa-se, contudo, que tais posicionamentos, em diversos casos, contrapõem-se aos critérios técnico-científicos empregados por essas agências, revelando a existência de conflitos entre argumentos de ordem técnica e demandas de natureza política e social.

5.3.2 Financiamento de medicamentos de alto custo

A Classe 2 agrupou proposições voltadas, predominantemente, à busca de recursos para o financiamento de medicamentos destinados ao tratamento de

doenças raras, reconhecidos por seu alto custo. Além disso, contemplou iniciativas que propõem alternativas para a redução dos preços desses medicamentos, destacando-se entre elas o incentivo à pesquisa e à produção nacional como estratégia para ampliar o acesso e fortalecer a autonomia do país nesse setor. Destacam-se os termos *“Recursos”, “doação”, “Financiamento”, “Fundo Nacional”, “Alto custo” e “Produção”*.

[...] Este Projeto de Lei tem por objetivo destinar recursos do Fundo Nacional de Saúde para a compra de medicamentos de alto custo [...]. (Dep. Junior Ribeiro, 2021)

[...] É necessário aumentar o financiamento de pesquisas e produção de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras [...]. (Dep. Juninho do Pneu, 2024)

[...] A proposta visa alterar a Constituição Federal para conceder imunidade tributária às operações de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras [...]. (Senadora. Damares, 2023)

[...] Institui o Programa de apoio às campanhas de doações para aquisição de medicamentos de alto custo [...]. (Dep. Lucas Redecker, 2021)

A maioria dos Projetos de Lei teve como objetivo viabilizar a aquisição de medicamentos por meio de doações, arrecadações e isenções fiscais. Essa classe reuniu um conjunto expressivo de proposições voltadas ao investimento em pesquisa clínica e na produção nacional de medicamentos, com o propósito de reduzir a dependência externa e, conseqüentemente, diminuir os custos dos medicamentos importados.

5.3.3 Responsabilidade estatal no fornecimento de medicamentos.

Esta classe 3 evidenciou como o legislativo reconhece a atuação do Estado na formulação de políticas públicas para garantir o acesso. No entanto, o posicionamento evidenciou que o problema não seria financiamento, mas gestão de recursos. Destacam-se os termos *“Governo”, “Garantir”, “fornecimento”, “falta”, “problema” e “Zolgensma”*.

[...] A falta ou a demora na incorporação de produtos inovadores no SUS que já estão registrados, traz prejuízos inestimáveis aos pacientes com doenças raras [...]. (Dep. Marreca Filho, 2021)

[...] A não garantia do fornecimento adequado do Zolgensma, o Governo está colocando em risco a vida de várias crianças, precisa tomar medidas urgentes para corrigir esse erro para não ter mais atrasos [...]. (Dep. Gustavo Gayer, 2024)

[...] O Ministério da Saúde tem recursos suficientes para garantir o fornecimento contínuo do Zolgensma. Essa terapia deveria estar disponível a um ano e meio, mas a atual gestão descumpra a portaria. A falha no cumprimento indica grave erro de gestão de recursos públicos e uma falta de responsabilidade por parte do Governo [...] (Dep. Gustavo Gayer, 2024)

[...] É irrefutável a existência de uma grande lacuna entre as necessidades e o que realmente é entregue a população pelo Governo [...]. (Dep. Rosângela Moura, 2024)

Observa-se, por meio das falas dos parlamentares, que há uma cobrança em relação ao posicionamento do Governo quanto à disponibilidade dos medicamentos, uma vez que é dever do Estado garanti-los à população. Como exemplo recorrente, cita-se o medicamento Zolgensma, cuja disponibilização ultrapassou o prazo estimado de 180 dias, tornando-se, assim, objeto de questionamentos e críticas por parte dos legisladores.

5.3.4 O medicamento como expressão do direito à saúde

A classe 4 integra a repartição que trata da garantia do direito fundamental à saúde, conforme estabelecido pela Constituição Federal. Essa classe agrupou termos como “necessário”, “eficaz”, “paciente”, “promover”, “medicamentos” e “comercialização”. O conteúdo evidenciou discussões voltadas ao registro e à comercialização de medicamentos, compreendidos como instrumentos essenciais para a efetivação do direito à saúde.

[...] É importante o esforço do Poder Executivo para cumprir o registro dos medicamentos como primeiro passo para a comercialização e conseqüentemente acesso dos pacientes ao tratamento [...] (Dep. Geninho Zuliani, 2020)

[...] É necessário garantir que os pacientes tenham acesso a quaisquer medicamentos comercializados em outros países, inclusive aqueles que não são classificados como medicamentos novos ou experimentais [...]. (Dep. Rose de Freiras, 2017)

[...] O acesso a medicamentos por estes pacientes é extremamente difícil. A maioria dos medicamentos órfãos sequer faz parte da Relação de Medicamentos Essenciais [...] (Dep. Rejane Dias, 2019)

As falas dos parlamentares expressam uma preocupação comum com as barreiras de acesso aos medicamentos para doenças raras, destacando a necessidade de ações efetivas do Poder Executivo para garantir o registro, a comercialização e a disponibilidade desses tratamentos no país. Os discursos enfatizam que o processo regulatório é etapa essencial para o acesso terapêutico, e

apontam que muitos medicamentos órfãos ainda não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), o que reforça as desigualdades no tratamento dessas enfermidades. Dessa forma, esta classe evidencia o entendimento de que o acesso aos medicamentos constitui um meio concreto de efetivação do direito à saúde, conforme previsto na Constituição Federal.

5.3.5 Judicialização e garantia do direito à saúde

A classe 5 aborda de forma mais aprofundada a temática do direito à saúde, destacando como a judicialização tem se consolidado como uma alternativa recorrente para que pessoas com doenças raras obtenham acesso aos medicamentos necessários ao tratamento. Essa classe reuniu termos como “direito”, “cidadão”, “justiça”, “integralidade”, “garantia” e “proteção”.

[...] O acesso a medicamentos para doenças raras esbarra em primeiro lugar na falta de protocolo clínico terapêutico. Com isso, muitos pacientes recorrem ao Poder Judiciário, o que tem causado grande impacto financeiro para o poder público. É preciso ter uma dispensação imediata e ininterrupta para evitar atrasos dos medicamentos para garantir o direito constitucional [...] (Dep. Fausto Pinato, 2016)

[...] Dispõe sobre a concessão judicial de medicamentos não incorporados ao SUS, em casos específicos e urgentes, visando garantir o direito a saúde [...] (Dep. Juninho do pneu, 2024)

[...] O Sistema Único de Saúde deve atuar como facilitador na proteção dos pacientes com doenças raras e remover todos os obstáculos para adequada concretização do direito à saúde [...] (Dep. Murilo Galdino, 2023)

[...] Não menos importante é corrigir a inversão do ônus de má atuação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde atribuída ao paciente cidadão pelas decisões do supremo tribunal federal entendemos que os referidos posicionamentos judiciais não devem ter o condão de inviabilizar o deferimento judicial para situações razoáveis e de comprovada necessidade. (Dep. Rosangela Mouro, 2024)

[...] Critérios deveriam ser estabelecidos por lei para que os cidadãos não tivessem a necessidade de recorrer à justiça para ter acesso a medicamentos imprescindíveis a sua saúde [...] (Dep. Marina Santos, 2019)

[...] Nem sempre a integralidade da atenção é garantida para os pacientes com doenças raras [...]. (Dep. Marreca Filho, 2021)

Com base nas citações apresentadas, é possível identificar que os parlamentares demonstram uma preocupação recorrente com os entraves enfrentados por pacientes com doenças raras no acesso a medicamentos, destacando a insuficiência de protocolos clínicos e a ausência de políticas eficazes de

incorporação e fornecimento de terapias no Sistema Único de Saúde. As falas convergem para a constatação de que, diante dessas lacunas, a judicialização se torna uma alternativa frequentemente utilizada pelos pacientes para assegurar o direito constitucional à saúde, mas que não seria a melhor alternativa devido ao impacto orçamentário que isso ocasiona. Em síntese, as proposições expressam a necessidade de fortalecer a efetividade das políticas públicas e reduzir a dependência de decisões judiciais como único meio de garantir o acesso a terapias essenciais para doenças raras.

6. DISCUSSÃO

A análise política centra seu foco nos atores e processos políticos, enfatizando aspectos como os valores e interesses envolvidos no jogo político, as interações entre os atores, a arquitetura de poder e a tomada de decisões permeada por conflitos e negociações (Esperidião, 2018). Sob essa perspectiva, a discussão dos resultados busca compreender de que forma essas dinâmicas se manifestam nas proposições legislativas relacionadas ao acesso a medicamentos para doenças raras, evidenciando os diferentes posicionamentos e motivações que orientam a atuação parlamentar.

No período pós-Constituinte, o Poder Legislativo passou a desempenhar um papel cada vez mais relevante na efetivação do direito à saúde, assumindo-se como ator central na formulação das leis que orientam e estruturam a política de saúde no país (Costa *et al.*, 2016). Nos últimos anos, entretanto, observa-se uma mudança ainda mais expressiva no padrão de atuação do Congresso Nacional, que passou a assumir um papel mais ativo e propositivo na agenda de saúde, ampliando sua influência sobre processos regulatórios e decisórios (IPEA, 2023).

À luz dos resultados apresentados, nota-se que os grupos A (função de modificar o ordenamento jurídico) e B (promoção de debates e audiências), enquanto instrumentos formais de atuação legislativa, tiveram papel significativo na construção da agenda relacionada ao acesso a medicamentos para doenças raras. O destaque para o Grupo A, especialmente pelo maior número de projetos de lei identificados, pode ser interpretado à luz do argumento de Gomes (2024), segundo o qual cabe ao Legislativo a responsabilidade de inovar o ordenamento jurídico e constitucional, vinculando os demais poderes aos dispositivos legitimamente aprovados pelas Casas Legislativas. Nesse sentido, o protagonismo legislativo revela não apenas maior engajamento, mas também maior capacidade de direcionar os rumos das políticas de saúde, inclusive no campo sensível e estratégico das doenças raras.

Embora a maioria dos projetos de lei não tenha sido aprovada ou permaneça em tramitação, estudos de Almeida (2016; 2017) apontam que a iniciativa parlamentar cresceu de forma expressiva em comparação à do Executivo nos últimos anos. Freitas (2013) e Zumi (2017) mostram que, ainda que o Executivo mantenha maior capacidade de converter propostas em lei, parte significativa de suas iniciativas incorpora conteúdos originalmente formulados pelos parlamentares. Isso revela que, mesmo quando não são aprovados, os projetos de lei do Congresso exercem

influência relevante na conformação do ordenamento jurídico e constitucional, contribuindo para moldar debates, orientar decisões e abrir caminho para mudanças normativas futuras.

O grupo B também apresentou um número expressivo de iniciativas, refletindo a realização de diversas audiências públicas sobre doenças raras. Conforme Luz (2024), esses eventos constituem espaços democráticos essenciais, ao promoverem o diálogo entre parlamentares, gestores públicos, representantes da indústria, especialistas e cidadãos. Nessa perspectiva, Vilaró e Cireita (2017) ressaltam que as audiências públicas são etapas fundamentais, e muitas vezes indispensáveis, na formulação de políticas públicas, fortalecendo o caráter participativo e deliberativo da democracia. No contexto das doenças raras, essas audiências têm se mostrado instrumentos estratégicos para ampliar a visibilidade social do tema, facilitar o intercâmbio de experiências entre os diferentes atores e impulsionar a elaboração de propostas legislativas voltadas à garantia do direito à saúde e ao acesso a tratamentos.

Ao analisar sob a perspectiva partidária, os dados indicam que a filiação partidária não se apresenta como um fator determinante para a proposição de iniciativas relacionadas às doenças raras. Esse resultado revela a possibilidade de cooperação entre grupos políticos com orientações ideológicas distintas, evidenciando a transversalidade do tema no espectro político. Segundo Pascarelli (2022), a pauta das doenças raras segue um caminho distinto daquele apontado pela literatura sobre a atividade legislativa. Coradini (2010) resalta que isso ocorre porque a agenda legislativa relacionada às doenças raras está associada à percepção benevolente e/ou caritativa atribuída a essas doenças e às deficiências no debate público.

Em consonância com esses estudos, a partir do levantamento das biografias disponíveis, observou-se que os parlamentares mais propositivos compartilham características biográficas convergentes, como formação na área da saúde, vivência pessoal com doenças raras ou deficiências, ou ainda histórico de atuação pública voltada à defesa dos direitos dessas populações. Uma das teorias desenvolvidas para explicar esse comportamento do Legislativo é a teoria informacional, que parte da premissa de que os deputados tendem a integrar comissões nas quais sua expertise seja mais bem aproveitada, qualificando o trabalho legislativo e potencializando ganhos eleitorais (Nascimento, 2012).

Souza (2019), ao analisar o perfil dos agentes legislativos, identificou que elementos como empatia, trajetória pessoal, experiência de vida e formação acadêmico-biomédica contribuem para conferir uma validação científica às suas atuações, configurando-se como um componente de exercício de poder no controle das proposições legislativas. Essa combinação de fatores não apenas legitima a autoridade técnica desses parlamentares, mas também reforça sua imagem de profissionais engajados, especialmente em pautas relacionadas à saúde.

Nesse sentido, observa-se que os elementos biográficos parecem exercer influência direta sobre o engajamento e a sensibilidade desses agentes políticos em relação à temática das doenças raras, uma vez que experiências pessoais e profissionais tendem a aguçar a percepção das lacunas existentes nas políticas públicas de saúde, impulsionando a busca por aprimoramentos normativos e institucionais.

Os resultados ainda evidenciaram que houve um crescimento de interesse em torno das doenças raras no cenário político e social. De acordo com Neto e Teixeira (2022), esse aumento pode ser atribuído a diversos fatores, entre eles o reconhecimento da relevância das doenças genéticas, a ampliação da demanda por pesquisa e desenvolvimento de tecnologias diagnósticas, o acesso a medicamentos órfãos e a busca pela garantia de um atendimento integral. Tais elementos refletem transformações significativas no campo do direito à saúde e indicam processos concomitantes de fortalecimento das redes de atores e instituições voltadas às doenças raras, bem como de amadurecimento gradual do sistema de saúde.

Além disso, esse reconhecimento também foi impulsionado pela mobilização de associações de pacientes e familiares que, organizadas em redes colaborativas, consolidam vínculos e conexões que favorecem o intercâmbio de informações, o apoio mútuo e o fortalecimento coletivo (Moreira *et al.*, 2018). No Brasil, esse movimento ganhou maior visibilidade em 2018, com a sanção da Lei nº 13.693, originada no Congresso Nacional a partir do Projeto de Lei do Senado nº 159/2011, de autoria do ex-senador Eduardo Suplicy.

Essa legislação representou um marco importante ao instituir o Dia Nacional de Doenças Raras, com o propósito de promover a conscientização social, estimular o debate público e ampliar a visibilidade das pessoas afetadas por essas condições (Brasil, 2018). Em 2020, o então Presidente da República sancionou a Lei nº 14.154, que ampliou o número de doenças rastreadas pelo teste do pezinho no Sistema Único

de Saúde. A nova legislação teve origem no Projeto de Lei nº 5043/2020, de autoria do deputado Dagoberto Nogueira (PDT-MS) e de outros parlamentares, representando um avanço significativo na detecção precoce de doenças raras e genéticas no país.

Em 2019, por iniciativa da senadora Mara Gabrilli, a Comissão de Assuntos Sociais (CAS) do Senado Federal aprovou a criação de uma Subcomissão Especial de Doenças Raras, de caráter temporário, com o objetivo de acompanhar e aprimorar as políticas públicas voltadas às pessoas com doenças raras. Em 2023, essa iniciativa foi consolidada com a criação da Subcomissão Permanente de Direitos das Pessoas com Doenças Raras (CASRaras), que passou a atuar de forma contínua na promoção, monitoramento e aprimoramento das Políticas Públicas relacionadas ao tema. Diante disso, esses marcos regulatórios demonstram um crescente interesse em torno das doenças raras, o que converge com os resultados desta pesquisa, que evidenciaram uma intensificação desse debate, especialmente a partir de 2018.

A discussão legislativa não se concentrou em um único tipo de medicamento ou enfermidade rara, abrangendo uma diversidade de tecnologias e temas. No entanto, observa-se que o maior número de proposições esteve relacionado à atrofia muscular espinhal (AME) e às mucopolissacaridoses (MPS). A ênfase legislativa nessas doenças decorre da conjunção entre sua elevada gravidade clínica, o surgimento de terapias inovadoras e de alto custo, como o Nusinersena (Spinraza®) e o Zolgensma® (onasemnogene abeparvoveque), diferentes acordos de incorporação como o compartilhamento de risco e a intensa mobilização social (Caetano *et al.*, 2019; Diniz *et al.*, 2012).

Análises recentes sobre o fortalecimento das redes de atores e instituições voltadas às doenças raras destacam que a visibilidade midiática e a atuação de associações de pacientes funcionam como motores da agenda pública, reforçando o caráter simbólico e político dessas demandas (Cunico *et al.*, 2023). As associações de pacientes e familiares dessas doenças, particularmente no caso da AME e da MPS destacam-se por sua capacidade de articulação, mobilização e pressão política legítima, exercendo influência significativa sobre o processo decisório e a formulação de políticas de saúde voltadas às doenças raras (Lima *et al.*, 2018).

Entre os medicamentos mencionados, o Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec) apareceu como uma palavra importantes, pois destacou-se por gerar ampla repercussão no âmbito legislativo, impulsionando debates e proposições

voltadas tanto à sua incorporação no Sistema Único de Saúde, especialmente sobre o mecanismo de incorporação tecnológica, quanto à análise dos entraves relacionados ao fornecimento do tratamento. Observou-se atraso superior a 180 dias após a decisão de incorporação, contrariando o prazo estabelecido pelo art. 25 do Decreto nº 7.646/2011, o que intensificou a mobilização de parlamentares, associações de pacientes e familiares em busca de soluções para garantir o acesso efetivo à terapia, sendo que o mesmo só foi de fato disponibilizado em 2025.

Segundo dados do Ministério da Saúde, o governo federal desembolsou aproximadamente R\$ 457 milhões em ações judiciais relacionadas ao medicamento entre 2023 e 2024, configurando-se como uma das maiores despesas federais com judicialização nesse período (Brasil, 2024c). A demora na efetivação da oferta foi atribuída a uma série de barreiras estruturais e técnico-regulatórias, entre elas o preço extremamente elevado, à época, considerado o medicamento mais caro do mundo, as discussões sobre eficácia e segurança clínica conduzidas pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), as negociações complexas de preço e compartilhamento de risco com a farmacêutica Novartis e a necessidade de definição de critérios clínicos rigorosos para elegibilidade dos pacientes (Guimarães, 2023; Carlini, 2024; Dos Santos, 2025).

Esses fatores refletem o desafio de conciliar sustentabilidade orçamentária, equidade e inovação no contexto das políticas públicas de doenças raras (Aquino *et al.*, 2025), demonstrando como o caso do Zolgensma® se tornou emblemático da tensão entre o avanço científico e os limites financeiros e institucionais do Sistema Único de Saúde.

É relevante destacar que, embora a maior parte das solicitações de incorporação encaminhadas à CONITEC tenha recebido decisão favorável, o efetivo acesso aos tratamentos pode apresentar barreiras significativas. Dificuldades relacionadas ao financiamento, à logística, à distribuição e ao abastecimento são recorrentes nas farmácias do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, comprometendo a disponibilidade dos medicamentos e, conseqüentemente, a continuidade terapêutica dos usuários (Biglia *et al.*, 2021).

Diante das barreiras de acesso identificadas, observa-se que, ao longo da última década, o Poder Legislativo tem buscado atuar de forma contínua na redução das desigualdades estruturais que comprometem a efetividade das políticas públicas de saúde. A análise das proposições legislativas revela que a maior parte das

iniciativas foi direcionada ao enfrentamento das limitações dos serviços de saúde, como a insuficiência de unidades de atendimento, as deficiências logísticas na distribuição de medicamentos e a escassez de recursos financeiros, fatores que comprometem diretamente a disponibilidade e a continuidade dos tratamentos ofertados pelo Sistema Único de Saúde.

Nesse contexto, destaca-se que o aprimoramento da infraestrutura e da gestão do sistema público é um passo essencial para garantir o acesso efetivo a medicamentos, especialmente os destinados ao tratamento de doenças raras, cuja distribuição demanda maior capacidade técnica e financeira. Conforme apontam Ruas *et al.* (2025), os formuladores de políticas devem priorizar o fortalecimento das estruturas regulatórias, o aumento do investimento em pesquisa e desenvolvimento (P&D) e a redução da dependência dos mercados internacionais, de modo a promover maior sustentabilidade e eficiência na assistência farmacêutica nacional. Essas medidas, somadas a um planejamento logístico mais integrado, podem contribuir para superar os gargalos identificados e consolidar um sistema de saúde mais equitativo e resolutivo.

Sob a ótica dos posicionamentos políticos, conforme destaca Esperidião (2018), uma análise política requer a compreensão dos interesses e das posições assumidas pelos atores envolvidos. Nessa perspectiva, a análise temática das proposições legislativas reforça essa dinâmica de disputa institucional, evidenciando como o Legislativo se posiciona de diferentes formas diante da regulação de medicamentos para doenças raras. As classes identificadas pelo IRaMuTeQ revelam quatro eixos predominantes de argumentação: o debate público e a incorporação de tecnologias em saúde (Classe 1) e o financiamento de medicamentos de alto custo (Classe 2) apontam para a busca de visibilidade política e para a aproximação com demandas sociais, especialmente quando o acesso a terapias inovadoras ganha destaque na mídia.

Já as classes relacionadas à responsabilidade estatal no fornecimento de medicamentos (Classe 3) e ao medicamento como expressão do direito à saúde (Classe 4) evidenciam a reafirmação do papel garantidor do Estado. Por fim, a judicialização e a garantia do direito à saúde (Classe 5) demonstram como o discurso legislativo tende a se alinhar a uma lógica de resposta imediata às pressões sociais e judiciais.

Tradicionalmente, a ANVISA possui autonomia técnica e normativa para conduzir o processo regulatório de novos medicamentos, o qual envolve rigorosas análises de segurança, eficácia e custo-efetividade antes da liberação para uso no país (Botelho *et al.*, 2015). Essa autonomia é sustentada por sua função normativa, que lhe confere a capacidade de editar regulamentos e normas técnicas necessárias à execução eficaz de suas atividades regulatórias (Barbosa, 2015). Entretanto, os resultados indicam que o Legislativo, em determinados momentos, buscou intervir nesse processo, propondo projetos de lei que previam a incorporação de medicamentos ao SUS sem o cumprimento integral dos trâmites técnicos estabelecidos pela agência.

Tal dinâmica coloca em evidência o risco de comprometimento da autonomia regulatória e a possibilidade de ocorrência do fenômeno conhecido como *captura regulatória*, entendido como a influência indevida de interesses políticos ou econômicos sobre as decisões das agências, o que ameaça sua independência e compromete o interesse público (Garnica e Kempfer, 2019).

Guerra e Salinas (2018) identificam três categorias de estratégias legislativas frequentemente utilizadas para condicionar ou restringir as competências normativas das agências reguladoras: (a) iniciativas que impõem limites materiais à atividade normativa; (b) iniciativas que estabelecem restrições de ordem procedimental; e (c) iniciativas de controle *a posteriori* sobre a atividade regulatória. Essas categorias foram identificadas na presente análise, revelando um movimento contínuo de disputa institucional entre o Legislativo, a ANVISA e a CONITEC.

A proposta da deputada Rosângela Moro de alterar a composição da CONITEC para incluir um geneticista exemplifica como o Legislativo pode intervir diretamente na estrutura e no funcionamento da regulação em saúde. Como argumentam Lima e Fonseca (2021), esse tipo de movimentação se relaciona à captura regulatória, especialmente em sua forma legislativa, quando interesses privados passam a influenciar indiretamente o processo regulatório por meio de parlamentares que incorporam essas demandas na formulação de normas ou na definição de mecanismos de controle sobre as agências.

Trata-se de uma captura intermediária, caracterizada por alinhamentos estratégicos entre outros setores como a indústria, que pressionam agendas do setor regulado. Esse conjunto de tensões revela um ambiente regulatório permeado por

disputas de poder que fragilizam a autonomia técnica necessária para decisões responsáveis e legítimas.

Salinas (2019) identifica cinco dimensões de autonomia das agências reguladoras sobre as quais o poder Legislativo busca, em diferentes momentos, intervir ou exercer influência: autonomia orçamentária, de pessoal, organizacional, decisória (ou processual) e funcional. A autonomia orçamentária refere-se à capacidade da agência de gerir seus próprios recursos financeiros sem depender integralmente das decisões do Executivo ou das emendas parlamentares, o que é fundamental para garantir independência operacional.

A autonomia de pessoal envolve o poder de selecionar, contratar e administrar servidores e dirigentes, evitando interferências políticas que possam comprometer a tecnicidade das decisões. Já a autonomia organizacional diz respeito à liberdade de estruturar internamente seus órgãos e procedimentos de acordo com as necessidades de regulação e fiscalização.

A autonomia decisória ou processual corresponde à capacidade da agência de deliberar e emitir decisões técnicas com base em critérios científicos, sem pressões externas que deturpem o processo regulatório. Por fim, a autonomia funcional refere-se ao exercício das competências legais atribuídas à instituição, garantindo que sua atuação se dê dentro dos limites da lei, mas sem subordinação direta a outros poderes. Em conjunto, essas dimensões demonstram que a interferência legislativa, quando motivada por interesses políticos ou ideológicos, pode comprometer a efetividade e a credibilidade técnica das decisões regulatórias.

Além disso, os debates em torno da regulação de medicamentos pelo Legislativo não constituem fenômeno recente. O episódio da liberação dos anorexígenos, ocorrido entre 2011 e 2014, exemplifica de maneira expressiva as tensões históricas entre o poder técnico-regulatório e as disputas político-ideológicas que atravessam o campo da saúde no Brasil. Tal controvérsia revelou o embate entre mercado, Estado e sociedade civil na definição das normas regulatórias e na delimitação das competências institucionais (Souza, 2023; Alencar e Paim, 2017).

Nessa perspectiva, observa-se que o Legislativo, ao articular interesses políticos, econômicos e sociais, pode tensionar a autonomia técnica das agências reguladoras, interferindo diretamente em decisões que deveriam se pautar predominantemente em critérios científicos. Conforme destaca Aragão (2009), embora as agências possuam autonomia normativa, o ambiente regulatório brasileiro

ainda é permeado por desafios institucionais e disputas de poder que fragilizam essa independência. No contexto específico dos medicamentos para doenças raras, em que as decisões precisam ser céleres, flexíveis e frequentemente baseadas em evidências limitadas, a intervenção legislativa pode gerar implicações práticas significativas.

Em todo o mundo, os medicamentos representam uma preocupação crescente para os gestores dos sistemas de saúde, uma vez que seus custos constituem um dos componentes mais relevantes e de rápida elevação das despesas com cuidados sanitários (Caetano *et al.*, 2025). Nesse cenário, as demandas judiciais se ampliaram à medida que o mercado identificou fragilidades do Estado em assegurar e regular o direito ao medicamento, concebido como necessidade essencial e garantido pela Constituição Federal e pela Lei nº 8.080/1990 (Alencar e Paim, 2017).

A introdução contínua de novos medicamentos e tecnologias em saúde tem provocado impactos significativos sobre a gestão dos sistemas públicos e privados, ao mesmo tempo em que amplia as expectativas sociais por terapias inovadoras capazes de melhorar a qualidade de vida e aumentar a sobrevida dos pacientes. Esse processo, embora desejável do ponto de vista científico, impõe desafios crescentes de natureza econômica e regulatória, especialmente diante da elevação dos custos e da necessidade de garantir a sustentabilidade do financiamento público e suplementar (Retuci; Mendes, 2025; Caetano *et al.*, 2025). Como observa Castro *et al.* (2022), o avanço tecnológico em saúde tende a produzir uma “assimetria de acesso”, na qual a incorporação de terapias de alto custo ocorre de modo desigual e, muitas vezes, impulsionada por pressões políticas e judiciais.

Nesse contexto, o movimento legislativo identificado na Classe 2 da análise realizada pelo IRaMuTeQ reflete um esforço de formulação de alternativas de financiamento e custeio para medicamentos de alto custo. Projetos como o do deputado Júlio Cesar Ribeiro (Republicanos/DF), que propõe destinar 10% do orçamento do Fundo Nacional de Saúde especificamente para a aquisição desses medicamentos, exemplificam a tentativa de institucionalizar fontes permanentes de financiamento. De forma complementar, proposições de parlamentares como Pedro Cunha Lima (PSDB/PB) sugerem investimentos em pesquisa e desenvolvimento, buscando reduzir a dependência tecnológica e produtiva externa uma preocupação coerente com as diretrizes do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (Gadelha *et al.*, 2021).

Já o deputado Juninho do Pneu (União/RJ) chama atenção para a escassez de recursos destinados à inovação farmacêutica, apontando a necessidade de políticas estruturadas de fomento tecnológico. Conforme argumenta Vieira (2018), a discussão sobre sustentabilidade financeira do SUS e incorporação tecnológica revela tensões entre o direito individual ao acesso e a lógica coletiva de alocação racional de recursos. Assim, a Classe 2 (“Financiamento e custeio de medicamentos de alto custo”) expressa a tentativa de o Legislativo intervir nesse equilíbrio delicado entre inovação, equidade e viabilidade econômica.

A análise das proposições legislativas revelou que o eixo temático “Saúde como direito” foi amplamente mobilizado nas discussões do Poder Legislativo brasileiro, refletindo a forma como os parlamentares interpretam, reivindicam e operacionalizam o direito constitucional à saúde (CF/1988, art. 196). Dentro desse eixo, emergiram duas classes principais: (4) “*O medicamento como expressão do direito à saúde*” e (5) “*Judicialização e garantia do direito à saúde*”, ambas expressando dimensões políticas e normativas do debate legislativo sobre a efetivação desse direito.

A classe 4 “*O medicamento como expressão do direito à saúde*” evidencia que o Legislativo reconhece o medicamento como símbolo e instrumento de efetivação do direito à saúde. Os termos mais frequentes, como “*necessário*”, “*eficaz*”, “*paciente*”, “*medicamento*” e “*comercialização*”, indicam que as proposições parlamentares associam o acesso a medicamentos à garantia material da cidadania e da dignidade humana. Esse entendimento está presente nos projetos de lei e discursos parlamentares que utilizam sempre esse conceito para garantir maior aprovação e incorporação dos medicamentos.

Segundo Vieira (2018), o medicamento é um insumo estratégico do Sistema Único de Saúde (SUS), cuja disponibilidade e uso racional representam pilares da efetivação do direito à saúde. Nesse sentido, a Política Nacional de Medicamentos (PNM), instituída pela Portaria nº 3.916/1998, reforça que o acesso universal e equitativo a medicamentos eficazes e seguros é uma obrigação do Estado brasileiro.

Essas proposições traduzem a compreensão do Legislativo de que o medicamento não é uma mercadoria qualquer, mas um bem social essencial, cuja ausência fere o princípio da integralidade da assistência (Souza *et al.*, 2024). Tal perspectiva é coerente com o que temporão (2003) defende: o medicamento é parte

constitutiva do direito à saúde e deve ser garantido pelo Estado como expressão concreta desse direito social.

Além disso, a recorrência do termo “*comercialização*” nas falas legislativas reflete a preocupação com o equilíbrio entre interesse público e interesses econômicos da indústria farmacêutica. Conforme argumentam Silva *et al.* (2020), o processo de mercantilização dos medicamentos impõe desafios à regulação estatal e à sustentabilidade financeira do SUS. O Legislativo, ao discutir a regulação de preços, a produção pública e o financiamento de medicamentos, atua como arena de disputa entre a lógica do mercado e a lógica dos direitos sociais o que confere um caráter eminentemente político às discussões sobre o acesso.

A classe 5 “*Judicialização e garantia do direito à saúde*” revela o modo como o Legislativo se posiciona diante da crescente judicialização do acesso a medicamentos e tratamentos. Os termos “direito”, “cidadão”, “justiça”, “integralidade”, “garantia” e “proteção” indicam que os parlamentares reconhecem tanto a importância da via judicial na efetivação de direitos quanto seus efeitos sobre a gestão pública e a sustentabilidade do SUS.

Essa preocupação se intensificou a partir de 2023, quando o Ministério da Saúde, em articulação com o STF, o Conass e o Conasems, apresentou uma proposta para disciplinar as ações judiciais na saúde, buscando preservar os princípios da coletividade e equidade (Brasil, 2024c). Diversos parlamentares repercutiram esse debate em proposições, defendendo que a judicialização, embora necessária em certos casos, gera desigualdade no acesso e pressiona financeiramente o sistema. Essa visão coincide com o que Ventura *et al.* (2012) e Torezani (2024) apontam: a judicialização expressa tanto o exercício da cidadania, (Biehl; Petryna, 2013) quanto a fragilidade das políticas públicas em assegurar o acesso coletivo e racional.

Assim, o Legislativo tem buscado responder a essa tensão por meio de projetos que fortalecem a avaliação e incorporação de tecnologias, ampliam a transparência nas decisões da CONITEC, e incentivam a produção nacional de medicamentos estratégicos como forma de reduzir demandas judiciais. Tais iniciativas evidenciam um esforço político em equilibrar o direito individual à saúde com o princípio da sustentabilidade e da equidade do SUS, o que expressa a materialização do que Paim (2019) denomina de dimensão política do direito à saúde.

Diante do que foi discutido, esta análise se encerra à luz de Costa *et al.* (2016), que evidenciam que a formulação de políticas públicas não ocorre em um espaço

neutro, mas é moldada por marcos institucionais que refletem pactos de dominação historicamente construídos pelas forças hegemônicas. Tais marcos determinam quais atores têm legitimidade para atuar, quais agendas ganham centralidade e quais são sistematicamente marginalizadas. Dessa forma, a política pública se constitui em um campo atravessado por relações de poder e interesses consolidados, que influenciam diretamente os rumos das decisões do Estado.

Pode-se considerar que os objetivos propostos foram alcançados. Entretanto, diante da ainda escassa produção acadêmica sobre o tema, torna-se necessário que pesquisas futuras aprofundem e ampliem as discussões aqui iniciadas. Ademais, a escolha pela análise documental impõe limites à compreensão mais detalhada dos interesses e articulações entre os parlamentares. A ausência de mapeamento de entrevistas, consultas públicas ou outros mecanismos de participação social, decorrente do tempo de produção da pesquisa, também restringe a identificação mais aprofundada dos posicionamentos, disputas e conflitos que moldam a agenda política e legislativa relacionada ao tema. Diante disso, este trabalho tem perspectivas futuras de continuar os estudos no mestrado.

7. CONSIDERAÇÕES FINAIS

A análise política das proposições legislativas relacionadas ao acesso a medicamentos para doenças raras permitiu compreender como o tema tem se consolidado na agenda do Poder Legislativo brasileiro ao longo da última década, revelando uma atuação marcada por tensões institucionais, cooperação entre atores e crescente sensibilidade social. Este estudo contribui ao evidenciar que a dinâmica parlamentar em torno das doenças raras extrapola o campo técnico-regulatório, configurando-se como um espaço de disputas simbólicas, políticas e econômicas em torno do direito à saúde, da inovação terapêutica e da sustentabilidade do Sistema Único de Saúde. Embora a aprovação de projetos seja limitada, a atuação parlamentar contribui para pautar o debate público, impulsionar o aprimoramento normativo e tensionar a agenda sanitária nacional.

Fica evidente que a formulação de políticas públicas sobre doenças raras não ocorre em um espaço neutro, mas é atravessada por marcos institucionais, relações de poder e interesses consolidados, que definem quem participa, quais agendas ganham prioridade e como os processos decisórios são conduzidos. Nesse contexto, a atuação parlamentar vai além de responder às demandas sociais e às urgências terapêuticas, revelando as tensões entre política e técnica, entre legitimidade democrática e autonomia regulatória. As proposições analisadas evidenciam tanto a busca por reduzir barreiras estruturais, logísticas e orçamentárias quanto o esforço em promover maior agilidade nos processos de incorporação e registro de tecnologias em saúde.

Diante disso, verificou-se a existência de tensões institucionais entre o Legislativo e as instâncias técnico-regulatórias, como a ANVISA e a CONITEC, decorrentes de iniciativas que propõem intervenções diretas nos processos de avaliação e incorporação de medicamentos. Embora motivadas por propósitos legítimos de ampliar o acesso, tais ações podem representar riscos à autonomia técnica e à segurança sanitária, ressaltando a necessidade de equilíbrio entre pressões políticas, critérios científicos e mecanismos institucionais consolidados.

O estudo ainda apontou que o engajamento parlamentar não se limita a orientações partidárias, mas se associa a trajetórias pessoais, formações profissionais e experiências de vida dos parlamentares, reforçando o caráter humano e simbólico do tema na arena política. Esse engajamento tem sido potencializado pela

mobilização de associações de pacientes, pela visibilidade midiática e pelo fortalecimento de redes de atores e instituições atuantes nesse campo.

Em síntese, a análise das proposições legislativas revela que o tema das doenças raras vem ganhando crescente relevância política, consolidando-se como um campo estratégico de interseção entre ciência, sociedade e Estado. Essa centralidade reflete não apenas o reconhecimento das necessidades específicas dos pacientes, mas também a complexidade envolvida na incorporação de tecnologias de alto custo e na formulação de políticas públicas sensíveis às demandas sociais e sanitárias.

Ressalta-se que este trabalho não pretende esgotar o debate, seja sob a perspectiva teórica, seja sob a perspectiva substancial, mas oferece elementos importantes para compreender como o Legislativo tem moldado a agenda da saúde no contexto das doenças raras. Nesse sentido, reforça-se a importância de continuar investigando a atuação do Legislativo Federal, considerando seu papel decisivo em influenciar discussões, orientar decisões e direcionar políticas que impactam diretamente o acesso a tratamentos, a inovação terapêutica e a concretização do direito à saúde no Brasil.

REFERÊNCIAS

ALENCAR, T.O. S.; PAIM, J. S. Reforma Sanitária Brasileira e políticas farmacêuticas: uma análise dos fatos produzidos entre 2003 e 2014. **Saúde em Debate**, Rio de Janeiro, v. 41, p.45–59, 2017.

ARAÚJO, P. S. **Política de Assistência Farmacêutica: a questão da atenção farmacêutica do SUS**. 2016. 152 p. Tese (Doutorado em Saúde Pública) – Universidade Federal da Bahia, Salvador, 2016.

ARAGÃO, A. S. de. As agências reguladoras independentes brasileiras: o caso da Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Revista de Direito Sanitário**, São Paulo, v. 10, n. 3, p. 77–89, nov. 2009.

ASSOCIAÇÃO DA INDÚSTRIA FARMACÊUTICA DE PESQUISA (Interfarma). **Doenças Raras: A urgência do acesso à saúde**. São Paulo, 2018.

AURELIANO, W. A. Trajetórias terapêuticas familiares: doenças raras hereditárias como sofrimento de longa duração. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 23, n. 2, p. 369-380, fev. 2018.

ALMEIDA, A. **Delegação, representação e atividade legislativa: explicando o novo protagonismo do Congresso**. In: ENCONTRO ANUAL DA ANPOCS, 41. 2017. Anais [...]. 2017.

ALMEIDA, A. **A política da mudança institucional: o processo legislativo no Brasil pós-1988**. In: ENCONTRO ANUAL DA ANPOCS, 40. 2016. Anais [...]. 2016.

AQUINO, F. O.; SILVA, R. E.; NOVAES, M. R. Políticas públicas para doenças raras no Brasil: caminho regulatório, desafios na pesquisa e acesso a medicamentos órfãos. **Journal of Hospital Pharmacy and Health Services**, v. 16, n. 3, p.1300, 2025.

AUSTIN, C. P.; CUTILLO, C. M.; LAU, L. P.; JONKER, A. H.; RATH, A.; JULKOWSKA, D.; THOMSON, D. TERRY, S. F.; MONTLEAU, B.; ARDIGO, D. HIVERT, V.; KIM, B.; BAYNAM, G.; KAUFMANN, P.; TARUSCIO, D.; LOCHMULLER, H.; SUEMATSU, M.; INCERT, C.; AKLI, R. D.; NORTEDT, I.; WANG, L.; DAWKINS, H. J. S. Futuro da pesquisa em doenças raras 2017–2027: uma perspectiva do IRDiRC. **Clinical and Translational Science**, v. 10, n. 5, p. 255-257, 2018.

ATKINS, J. C.; PADGETT, C. R. Living with a Rare Disease: Psychosocial Impacts for Parents and Family Members: a Systematic Review. **Journal of Child and Family Studies**, Cham, v. 33, p. 617–636, 2024.

BARDIN, L. **Análise de conteúdo**. São Paulo: Edições 70, p. 45, 2011.

BIGLIA, L. V.; MENDES, S. J.; LIMA, T. M.; AGUIAR, P. M. Incorporação de medicamentos para doenças raras no Brasil: é possível acesso integral a estes

pacientes?. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 26, n. 11, p. 5547–5560, nov. 2021.

BIEHL, J.; PETRYNA, A. When People Come First: Critical Studies in Global Health. **Princeton University Press**, [S.l.]. V. Student edition. p. 456, 2013.

BERMUDEZ, J. A. Z.; COSTA, J. C. S.; NORONHA, J.C. Desafios do acesso a medicamentos no Brasil. 1. ed. Rio de Janeiro: **Edições Livres**, Fiocruz, 2020. Disponível em: <https://portolivre.fiocruz.br/desafios-do-acesso-medicamentos-no-brasil>. Acesso em: 17 mai. 2025.

BENETON, M. A. Breves Notas Sobre a Participação dos Partidos Políticos no Processo Legislativo. **Revista da Advocacia do Poder Legislativo**, Brasília, v. 1, p. 177-203, 1 nov. 2020.

BRASIL. Câmara dos Deputados. **Requerimento nº 315/2013 – CSSF**. Requer a realização de audiência pública para debater a reestruturação da carreira dos servidores do INSS. Brasília, DF: Câmara dos Deputados, 2013. Disponível em: https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/prop_mostrarintegra?codteor=1067126&filename=REQ%20315/2013%20CSSF. Acesso em: 2 jul. 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Diretrizes para atenção integral à pessoa com doenças raras no SUS**. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2014a. Disponível em: https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes_atencao_integral_pessoa_doenças_raras_SUS.pdf. Acesso em: 17 maio 2025.

BRASIL. Constituição (1988). **Constituição da República Federativa do Brasil**. Brasília, DF: Senado Federal, 2016. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao.htm. Acesso em: 20 mar. 2025.

BRASIL. Câmara dos Deputados. **Proposição nº 22.647/12, de 27 de outubro de 2020**. Ficha de tramitação. Diário da Câmara dos Deputados, Brasília, DF, ano 158, n. 207, p. 59-64, 27 out. 2020b. Disponível em: <https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/fichadetramitacao?idProposicao=2264712>. Acesso em: 17 maio 2025.

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Recorde de medicamentos aprovados para doenças raras**. 17 fev. 2020e. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2020/recorde-de-medicamentos-aprovados-para-doencas-raras>. Acesso em: 30 jun. 2025.

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Conceitos e definições – Medicamentos: perguntas frequentes**. 2020f. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/acessoainformacao/perguntasfrequentes/medicamentos/conceitos-e-definicoes>. Acesso em: 16 jun. 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Autoridades debatem judicialização na saúde**. Brasília, DF, 2022a. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt->

br/assuntos/noticias/2018/julho/judicializacao-da-saude-no-brasil-e-tema-de-debate-com-autoridade. Acesso em: 18 jul.2025.

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Doenças raras**: saiba mais sobre o registro de medicamentos. Brasília, DF, 2022b. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2022/doencas-raras-saiba-mais-sobre-o-registro-de-medicamentos>. Acesso em: 24 mar. 2025.

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **O registro de medicamentos para doenças raras**. Apresentação realizada na Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência da Câmara dos Deputados, 22 ago. 2023. Disponível em: <https://www2.camara.leg.br/atividade-legislativa/comissoes/comissoes-permanentes/cpd/apresentacoes-em-eventos/eventos-2023/ApresentaoANVISA.pdf>. Acesso em: 16 jun. 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Ministério da Saúde oferece 152 medicamentos para tratamento de doenças raras**. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 30 maio 2024a. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/2024/maio/ministerio-da-saude-oferece-152-medicamentos-para-tratamento-de-doencas-raras>. Acesso em: 16 jun. 2025.

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Fabrazyme® (β -algalsidase): nova indicação**. Brasília, DF: ANVISA, 2024b. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/fabrazyme-r-beta-agalsidase-nova-indicacao>. Acesso em: 16 jun. 2025.

BRASIL. Câmara dos Deputados. **Proposição nº 4418/2024, de 02 de dezembro de 2024**. Requerimento de Informação. Diário da Câmara dos Deputados, Brasília, DF, 2024c. Disponível em: https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/prop_mostrarintegra?codteor=2830247&filename=RIC%204418/2024. Acesso em: 20 mar. 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Doenças Raras**. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2025a. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/saes/doencas-rarasl>. Acesso em: 22 mar. 2025.

BRASIL. Senado Federal. **Atribuições**. Brasília, DF: Senado Federal, 2025b. Disponível em: <https://www12.senado.leg.br/institucional/documentos/sobre-o-senado/atividade/atribuicoes>. Acesso em: 21 mar. 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Compreendendo doenças raras**. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2025c. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/saes/doencas-raras>. Acesso em: 18 jul.2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. **SUS realiza primeiras aplicações do Zolgensma, medicamento de R\$7 milhões para crianças com AME**. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2025d. Disponível em: <https://www.gov.br/secom/pt-br/assuntos/noticias/2025/05/sus-realiza-primeiras-aplicacoes-do-zolgensma-medicamento-de-r-7-milhoes-para-criancas-com-ame>. Acesso em: 18 jul.2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias em Saúde. **Dossiê CP-48/2025: Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoque) para Distrofia Muscular de Duchenne. Proposta de incorporação no SUS.** Brasília, 2025e. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/dossie/2025/dossie-cp-48-2025.pdf>. Acesso em: 28 nov. 2025.

CAETANO, R.; OLIVEIRA, I. A. G.; MATTOS, L.; KRAUZE, P.; CASTRO, C. G. S. Medicamentos de alto custo: definições presentes na produção científica e acadêmica brasileira sobre judicialização em saúde. **Saúde em Debate**, Rio de Janeiro, v. 49, n. 144, p. 1–14, 2025.

CANCIAN, N. **Doenças raras respondem por 90% do que União gasta com processos por acesso a remédio.** Folha de S. Paulo, São Paulo, 2 mar. 2020. Disponível em: <https://www1.folha.uol.com.br/seminariosfolha/2020/03/doencas-raras-respondem-por-90-do-que-uniao-gasta-com-processos-por-acesso-a-remedio.shtml>. Acesso em: 7 jul. 2025.

CARLINI, A. L. Studies for risk sharing in high-cost medicines in Brazil. **Revista de Direito Administrativo**, v. 283, p. 215–237, 2024.
CAMARGO, B. V.; JUSTO, A. M. IRAMUTEQ: um software gratuito para análise de dados textuais. **Temas em Psicologia**, v. 21(2), p. 513-518, 2013.

CARVALHO, D. N. R. de; MARTINS, V. Um olhar sobre o uso do software IRaMuTeQ@napesquisaciencia: estudobibliométrico. **Revista de Enfermagem da UFPI**, v. 13, n. 1, 2023. <https://doi.org/10.26694/reufpi.v13i1.4280>

CELLARD, A. A análise documental. In: POUPART, J. *et al.* (org.). **A pesquisa qualitativa: enfoques epistemológicos e metodológicos.** Petrópolis: Vozes, p. 295–316, 2008.

COSTA, A. M.; PÊGO, R. A.; SADDI, F. C.; ASSIS, D. A. D.; GONÇALVES, L. F.; SILVA, A. A. Saúde no poder legislativo: objeto, investigação e tendências. In: TEIXEIRA, C. F. (org.) **Observatório de análise política em saúde: abordagens, objetos e investigações.** EDUFBA, Salvador, p. 113-58, 2016.

CORPO DE LUZ, R. Avaliando o papel das audiências públicas na democracia deliberativa: operacionalizando os padrões democráticos como uma estrutura. **Journal of Deliberative Democracy**, v. 20, n. 1, 2024.

CUNICO, C.; VICENTE, G.; LEITE, S. N. Initiatives to promote access to medicines after publication of the Brazilian Policy on the Comprehensive Care of People with Rare Diseases. **Orphanet Journal of Rare Diseases**, [S.l.], v. 18, n. 1, p. 259, 31 ago, 2023.

D'IPPOLITO, P. I. M. C.; GADELHA, C. A. G. O tratamento de doenças raras no Brasil: a judicialização e o Complexo Econômico-Industrial da Saúde. **Saúde em Debate**, Rio de Janeiro, v. 43, p. 219–231, 2019.

DOUGLAS, C. M. W.; AITH, F.; BOON, W.; BORBA, M. N.; DOGANOVA, L.; GRUNEBAUM, S.; HAGENDIK, R. LYND, L.; MALLARD, A.; MOHAMED, F. A.;

MOORS, E.; OLIVEIRA, C. C.; PETERSON, F.; SCANGA, V.; SOARES, J.; VLIEK, T. K. Social pharmaceutical innovation and alternative forms of research, development and deployment for drugs for rare diseases. **Orphanet Journal of Rare Diseases**, v. 17, n. 1, p. 344, 2022.

DOS SANTOS, B. B. Is Brazil following global trends in high-cost treatments? The case of rare diseases. **Revista Panamericana de Salud Pública**, v. 49, e123, 2025.

DINIZ, D.; MEDEIROS, M.; SCHWARTZ, I. V. D. Consequências da judicialização das políticas de saúde: custos de medicamentos para as mucopolissacaridoses. **Cadernos de Saúde Pública**, v. 28, n. 3, p. 479–489, 2012.

EPSS, C.; BAX, R.; CROKER, A.; GREEN, D.; GROPMAN, A.; KLEIN, A. V.; LANDRY, H.; PARISER, A.; ROSENMAN, A.; SAKIYAMA, M.; SATO, J.; SEN, K.; STONE, M. TAKEUCHI, F.; DAVIS, J. M. Global regulatory and public health initiatives to advance pediatric drug development for rare diseases. **Therapeutic Innovation & Regulatory Science**, v. 56, p. 964–975, 2022.

FARIA, C. A. P. de. Intermediação de interesses e formulação de políticas: aspectos analíticos e evidências recentes no Brasil. **Políticas públicas: balanços e perspectivas**. Rio de Janeiro: Editora Fiocruz, p. 47–86, 2005.

FREITAS, A. M. **O presidencialismo da coalizão**. 2013. Tese (Doutorado em Ciência Política) - Faculdade de Filosofia, Letras e Ciências Humanas da Universidade de São Paulo, São Paulo, 2013.

FONTELLES, M. J. SIMÕES, M. G.; FARIAS, S. H.; FONTELLES, R. G. S. Metodologia da pesquisa científica: diretrizes para elaboração de um protocolo de pesquisa. **Revista paraense de medicina**, v. 23, n. 3, p. 1-8, 2009.

GUIMARÃES, R. Novos desafios na avaliação de tecnologias em saúde (ATS): o caso Zolgensma. **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 28, n. 7, p. 1881-1889, 2023.

GUERRA, S.; SALINAS, N. S. C. Controle político da atividade normativa das agências reguladoras no Brasil. **Revista de Direito Econômico e Socioambiental**, v. 9, n. 3, p. 402–430, 2018.

GARNICA, V. G.; KEMPFER, M. **O fenômeno da captura e a independência das agências reguladoras no Brasil**. *Revista Brasileira de Filosofia do Direito*, v. 5, n. 2, p. 43-60, 2019.

GIUGLIANI, R.; OLIVEIRA, B. M. de; GUARANÁ, B. B.; TONON, T.; TRAPP, F. B.; COSTA, F. M.; SILVA, L. P.; BALDO, G.; RIEGEL-GIUGLIANI, M.; BARBOSA, F.; DAHER, A.; SOUZA, C. F. M. *et al.* Redefining the approach to rare diseases: the experience of “Casa dos Raros” in Brazil. **Journal of Community Genetics**, v. 16, n. 4, p. 477–487, 2025.

HUYARD, C. How did uncommon disorders become ‘rare diseases’? History of a boundary object. **Sociology of Health & Illness**, v. 31, p. 463–477, 2009.

IRIART, J. A. B.; NUCCI, M. F.; MUNIZ, T. P.; VIANA, G. B.; AURELIANO, W. A.; GIBBON, A. Da busca pelo diagnóstico às incertezas do tratamento: desafios do cuidado para as doenças genéticas raras no Brasil. **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 24, n. 10, p. 3637-3647, 2019.

INSTITUTO DE PESQUISA ECONÔMICA APLICADA. **A relação Executivo-Legislativo e o impacto em políticas públicas de saúde, educação, assistência social e trabalho**. Policy Brief n. 34, Brasília, set. 2023. Disponível em: <https://repositorio.ipea.gov.br/handle/11058/19204>. Acesso em: 28 nov. 2025.

LIMA, M. A. F. D.; GILBERT, A. C. B.; HOROVITZ, D. D. G. Redes de tratamento e as associações de pacientes com doenças raras. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 23, n. 10, p. 3247–3256, 2018.

LIMA, I. A.; FONSECA, E. M. Captura ou não captura? Perspectivas analíticas no estudo de políticas regulatórias. **Revista de Administração Pública**, v. 55, n. 3, p. 625–643, 2021.

LIMA, S. G.G; BRITO, C; ANDRADE, C.J.C. O processo de incorporação de tecnologias em saúde no Brasil em uma perspectiva internacional. **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 24, n. 5, p. 1709-1722, 2019.

LOPES-JÚNIOR, L. C.; FERRAZ, V. E. F, LIMA, R. A. G.; SCHUAB, S. I. P. C.; PESSANHA, S. M.; LUZ, G. S.; LAIGNIER, M. R.; NUNES, K. Z.; LOPES, A. G.; GRASSI, J.; MOREIRA, J. A.; JARDIN, F. A.; LEITE, F. M. G.; FREITAS, S. S.; BERTOLINI, S. R. Políticas de saúde para pacientes com doenças raras: uma revisão de escopo. **International Journal of Environmental Research and Public Health**, Basel, v. 19, n. 22, p. 15174, 2022.

MINAYO, M. C. de S. **O desafio do conhecimento**: pesquisa qualitativa em saúde. Hucitec. São Paulo, 2014.

MOREIRA, M. C. N.; NASCIMENTO, M. A. F.; HOROVITZ, D. D. G.; MARTINS, A. J.; PINTO, M. Quando ser raro se torna um valor: o ativismo político por direitos das pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde. **Cadernos de Saúde Pública**, v. 34, n. 1, e00058017, 2018.

NASCIMENTO, E.O. **O sistema de comissões brasileiro: elementos para uma agenda de pesquisa**. Teoria & Pesquisa: Revista de Ciência Política, São Carlos, v.21, n.2, p.61-72, 2012.

NOVAES, H. M. D.; SOARÉZ, P. C. de. Doenças raras, drogas órfãs e as políticas para avaliação e incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde. **Sociologias**, [S.l.], v. 21, n. 51, p. 332–364, 2019.

NETO, L.A.A; TEIXEIRA, L. A. “Many of us are rare”: the right to health and the moral economy of rare diseases activism in Brazil (1990-2020). **Dynamis**, v. 42, n. 2, p. 423-447, 2022.

ORGANIZAÇÃO DAS NAÇÕES UNIDAS (ONU). **Objetivos de Desenvolvimento Sustentável no Brasil**. Disponível em: <https://brasil.un.org/pt-br/sdgs>. Acesso em: 10 mar. 2025.

- ORGANIZAÇÃO PAN-AMERICANA DA SAÚDE (OPAS). **O acesso aos medicamentos de alto custo nas Américas**: contexto, desafios e perspectivas. Washington, D.C., 2009 Disponível em: <https://iris.paho.org/bitstream/handle/10665.2/31319/9789275330388spa.PDF?sequence=1&isAllowed=y>. Acesso em: 17 maio 2025.
- PAIM, J. S.; TEIXEIRA, C. F. Política, planejamento e gestão em saúde: balanço do estado da arte. **Revista de Saúde Pública**, v. 40, p. 73-78, 2006.
- PAIM, J. S. **O que é o SUS**. Rio de Janeiro: Editora Fiocruz, v.1, p.93, 2014.
- PASQUARELLI, D. B. N.; PEREIRA, É. L. Doenças raras no Congresso Nacional brasileiro: análise da atuação parlamentar. **Caderno de Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v. 38, n. 6, e.00167721, 2022.
- PIRETT, C.N.S; DE OLIVEIRA M, Cintia, R. Doenças Raras, Medicamentos Órfãos: reflexões sobre o Dark Side das organizações da indústria farmacêutica. **Revista Brasileira de Estudos Organizacionais**, Curitiba, v. 4, n. 2, p. 437–460, 2018.
- PEREIRA, V.L. Judicialização da saúde: disponibilidade pelo Sistema Único de Saúde da terapia gênica Zolgensma para portadores de Atrofia Muscular Espinhal. 2022. Dissertação (Mestrado Profissional em Administração Pública). **Instituto Brasileiro de Ensino, Desenvolvimento e Pesquisa (IDP)**, Brasília, 2022.
- PRODUTOS ROCHE QUÍMICOS E FARMACÊUTICOS S.A. **Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoveque)**: bula do paciente. [S.l.]: Roche, 2025. Disponível em: <https://dialogoroche.com.br/content/dam/roche-dialogo/dialogo-brazil-assets/downloadable-assets/produtos/bulas/elevidys/elevidys-bula-para-profissionais.pdf>. Acesso em: 2 jul. 2025.
- RENADE, A. S.; BELTHUR, M. V. **Spinal Muscular Atrophy (SMA)**: Overview. Medscape, 2023. Disponível em: <https://emedicine.medscape.com/article/1264401-overview#showall>. Acesso em: 16 jun. 2025.
- RUAS, C. M.; PORTELA, R.; ACURCIO, F. A.; *et al.* Acesso a medicamentos no Brasil: desafios e oportunidades. **Global Health**, Londres, v. 21, p. 57, 2025.
- ROSS, S.D.; RUDOWSKI, S; KANUNGO, S. Atrofia Muscular Espinhal: Uma Visão Geral. **OBM Genetics**, v. 7, n. 2, p. 182, 2023.
- SAMPAIO, L. M. **A judicialização do acesso aos medicamentos**: forma de circulação da mercadoria medicamento pela indústria farmacêutica e transferência de valor do Brasil para as nações hegemônicas do capitalismo. 2023. Dissertação (Mestrado em Saúde Coletiva) – Universidade do Estado do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, 2023.
- SAMPAIO, R. C.; LYCARIÃO, D. **Análise de conteúdo categorial**: manual de aplicação. Brasília: Enap, 2021.

SANTOS, R. I.; FARIAS, M. R.; PUPO, G. D.; TRINDADE, M. C. N.; DUTRA, F. F. **Políticas de saúde e acesso a medicamentos**. 1. ed. Florianópolis: Editora da UFSC, 2016.

SANTOS, B. B.; FARIA, C. O. C.; CIRILO, H. N. C.; DORNELLES, A. D.; OLIVEIRA JUNIOR, H. A.; SCHWARTZ, I. V. D. O Brasil está seguindo tendências globais em tratamentos de alto custo? O caso da Doença de Pompe. **Journal of Community Genetics**, Berlim, v. 16, n. 4, p. 455–466, 2025.

SANTOS, E. S. dos; CARVALHO, M. J.; MENEZES, V. G. de; ALMEIDA, H. do N. de. Legislativo e comissão de esporte: atores e proposições no estado de São Paulo. **Coleção Pesquisa em Educação Física**, Várzea Paulista, v. 19, n. 4, p. 107–116, 2020.

SALINAS, N. S. C. A intervenção do Congresso Nacional na autonomia das agências reguladoras. **Revista Estudos Institucionais**, Rio de Janeiro, v. 5, n. 2, p. 586–614, 2019.

SILVA, J. R. S.; ALMEIDA, C. D.; GUINDANI, J. F. Análise documental como percurso metodológico na pesquisa qualitativa. **Cadernos da FUCAMP**, v. 20, n. 44, p. 36–51, 2021.

SOCIEDADE BRASILEIRA DE PEDIATRIA. **Doenças raras representam importante causa de mortalidade em crianças de até 5 anos, alerta SBP**. São Paulo: SBP, 28 fev. 2021. Disponível em: <https://www.sbp.com.br/imprensa/detalhe/nid/doencas-raras-representam-importante-causa-de-mortalidade-em-criancas-de-ate-5-anos-alerta-sbp/>. Acesso em: 16 jun. 2025.

SOUZA, G. C. de; ALMEIDA, B. de O.; VILELA, G. R.; FERREIRA, J. M. S.; HONORATO, L. A.; SANTOS, M. C. C.; EMILIANO, M. C. F.; OLIVEIRA, R. E. S.; GUIMARÃES, P. R. Atrofia muscular espinhal: possíveis impactos do rastreamento precoce no teste do pezinho ampliado. **Revista Eletrônica Acervo Saúde**, v. 13, n. 9, p. e8510, 13 set. 2021.

SOUZA, L. V. S.; ALENCAR, T. O. S. Políticas farmacêuticas: fatos políticos produzidos pelo Legislativo Federal entre 2016 e 2020. **Saúde em Debate**, Rio de Janeiro, v. 47, n. 137, p. 207–221, 2023.

SOUZA, M. L. S.; THORNTON, A.F; ARAÚJO, G.M; LUNARDI, G.S; ZIERO, I.B; PETRY, M.J. O acesso a medicamentos como direito à saúde. **Revista da Faculdade de Direito da FMP**, Porto Alegre, v. 19, n. 2, p. 172-184, 2024.

SOUZA, S. S; NASCIMENTO, E. R. P; GAFFURI, T; FREITAS, T. L. L. Evidências do uso do Software IRaMuTeQ® na análise de dados em pesquisas qualitativas: revisão integrativa. **Contribuciones a las Ciencias Sociales**, São José dos Pinhais, v. 18, n. 5, p. 1-23, 2025.

SOUSA, A. M.; SÁ, N. M. de. Análise das características e dos preceitos normativos da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. **Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário**, Brasília, v. 4, n. 2, abr./jun. 2015.

TORRENS, A. C. Poder Legislativo e políticas públicas: uma abordagem preliminar. **Revista de Informação Legislativa**, Brasília, v. 50, n. 197, p. 189-204, 2013.

TEMPORÃO, J. G. Medicamentos e saúde pública: produção e consumo no contexto da globalização. **Cadernos de Saúde Pública**, v. 19, n. 3, p. 947–953, 2003.

TOREZANI, Y. L. S.; SIENA, O. Respostas institucionais à judicialização da saúde no Brasil. **Revista Direito e Práxis**, v. 15, n. 4, e86259, 2024.

VICENTE, G.; CALNAN, M.; RECH, N.; LEITE, S. Políticas farmacêuticas para acesso a medicamentos de alto preço: uma análise comparativa entre Inglaterra e Brasil. **Saúde em Debate**, Rio de Janeiro, v. 46, n. 134, p. 886–905, 2022.

VILLALÓN-GARCÍA, I.; ALVARES-CORDOBA, M.; SUAREZ-RIVEIRO, J. M.; POVEA-CABELLO, S.; REY, M. T.; SUAREZ-CARRILO, A.; MANUERA-CABEZA, M.; SANCHEZ-ALCAZAR, J. A. Medicina de precisão em doenças raras. **Diseases**, [S.l.], v. 8, n. 4, p. 42, 2020.

VIEIRA, F. S. Acesso a medicamentos no SUS: desafios contemporâneos. **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 23, n. 10, p. 3429–3435, 2018.

VENTURA, M. *et al.* Judicialização da saúde, acesso e integralidade: o caso dos medicamentos de alto custo no SUS. **Revista de Saúde Coletiva**, v. 22, n. 4, p. 1041–1050, 2012.