UNIVERSIDADE DO ESTADO DA BAHIA
DEPARTAMENTO DE CIÊNCIAS DA VIDA
MESTRADO PROFISSIONAL EM SAÚDE COLETIVA

CATARINE DOS SANTOS PEREIRA

MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS NO SUS: UMA ANÁLISE POLÍTICA DA INCORPORAÇÃO DE NUSINERSENA PARA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) 5Q TIPO 1.

Salvador – Bahia
2023

CATARINE DOS SANTOS PEREIRA

MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS NO SUS: UMA ANÁLISE POLÍTICA DA INCORPORAÇÃO DE NUSINERSENA PARA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) 5Q TIPO 1.

Dissertação de mestrado para obtenção do título de mestre junto ao Mestrado Profissional em Saúde Coletiva – MEPISCO da Universidade do Estado da Bahia - UNEB.
Orientadora: Prof.ª Dra. Patrícia Sodré Araújo.
Coorientadora: Prof.ª Dra. Thaís Rodrigues Penaforte.

Salvador – Bahia
2023

CATARINE DOS SANTOS PEREIRA

MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS NO SUS: UMA ANÁLISE POLÍTICA DA INCORPORAÇÃO DE NUSINERSENA PARA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) 5Q TIPO 1.

Dissertação de mestrado para obtenção do título de mestre junto ao Mestrado Profissional em Saúde Coletiva – MEPISCO da Universidade do Estado da Bahia - UNEB.

BANCA EXAMINADORA:

Profa. Dra. Patrícia Sodré Araújo – Orientadora
Doutora em Saúde Pública pelo Instituto de Saúde Coletiva – ISC/UFBA.
Universidade do Estado da Bahia (UNEB)

Profa. Dra. Thaís Rodrigues Penaforte – Coorientadora
Doutora em Ciências Farmacêuticas pela Universidade de São Paulo – USP.
Universidade do Estado da Bahia (UNEB)

Profa. Dra. Tatiane de Oliveira Silva Alencar
Doutora em Saúde Pública pelo Instituto de Saúde Coletiva – ISC/UFBA.
Universidade Estadual de Feira de Santana (UEFS).

Profa. Dra. Thaís Regis Aranha Rossi
Doutora em Saúde Pública pelo Instituto de Saúde Coletiva – ISC/UFBA.
Universidade do Estado da Bahia (UNEB)

Salvador – Bahia
2023

Para João, Alice e Sérgio, com todo meu amor.

AGRADECIMENTOS

Quero agradecer a Deus e a todas as energias do Universo por ter vida e saúde para buscar a realização dos meus sonhos. Especialmente por ter colocado no meu caminho, duas pessoas muito especiais que são minhas queridas professoras Patrícia Sodré e Thais Penaforte. “Profs” sem vocês eu não conseguiria. Sou muito grata a vocês.

Aos professores que me formaram desde a graduação, em especial as que tenho a felicidade de chamar de amigas que são Rosa Martinez, Paula Castro e Magda Seixas, sempre me incentivando e inspirando.

Aos Professores do MEPISCO que além de carregar títulos de doutorados e pós-doutorados carregam o título de seres humanos empáticos e gentis e aqui destaco com enorme carinho e admiração os Professores Rudval e Márcio (sou fã de vocês). Verdadeiros mestres na arte de humanizar relações. Obrigada por tanto.

Aos colegas do mestrado que me inspiraram e inspiram com suas histórias de garra e determinação. Para uma turma que cursou boa parte das disciplinas *on line* devido a pandemia de Covid-19, criar laços poderia ser um desafio, mas nós sempre fomos unidos e fortes e isso fez toda diferença no processo.

A meus pais, Antônio e Marly, que sempre me motivaram a estudar, apesar de não terem tido acesso a níveis mais avançados de estudo. Meu marido, Sérgio, pela paciência e compreensão nos momentos em que precisei me ausentar. A meus filhos, João e Alice que sempre me motivam a ser um bom exemplo.

Agradeço a todos que contribuíram na minha formação pessoal e profissional para chegar até esse momento.

LISTA DE ABREVIATURAS E SIGLAS

RDC – Resolução da Diretoria Colegiada

SUS – Sistema Único de Saúde

PNM – Política Nacional de Medicamentos

PNAF – Política Nacional de Assistência Farmacêutica

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

ANVISA – Agência Nacional de Vigilância Sanitária

CIT - Comissão Intergestores Tripartite

CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde

MS – Ministério da Saúde

PCDT - Protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas

ATS – Avaliação de Tecnologias em Saúde

OMS – Organização Mundial da Saúde

PNAIPDR - Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras

RSB - Reforma Sanitária Brasileira

CEAF - Componente Especializado da Assistência Farmacêutica

DGITS - Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde

DR – Doenças raras

SCTIE – Secretaria de Ciência e Tecnologia e Inovação

CNS – Conselho Nacional de Saúde

CMED - Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos

ACF - *Advocacy Coalition Framework*

LISTA DE QUADROS E ILUSTRAÇÕES

Quadro 1	Caracterização dos relatórios das consultas públicas 045/2018 e 012/2019 para AME tipo 1 segundo período da consulta, demandante, número de contribuições e parecer de recomendação inicial e final.	31
Quadro 2	Distribuição dos participantes identificados nas consultas públicas técnicas CPTEC0452018 e CPTEC0122019 para AME tipo 1.	31
Quadro 3	Caracterização dos corpora.	32
Quadro 4	Dendograma da análise CHD aplicada no corpus da CPTEC0452018 relativa a análise de incorporação de Nusinersena segundo tipo de participante.	34
Quadro 5	Dendograma da análise CHD aplicada no corpus da CPTEC0122019 relativa à análise de incorporação de Nusinersena segundo tipo de participante.	35
Quadro 1	Síntese das crenças fundamentais das coalizões dentro do subsistema da CONITEC nas avalições de incorporação de Nusinersena ao SUS divididas em momentos 1(2018) e 2 (2019).	64
Quadro 2	Principais atores identificados agrupados por categoria e momento de atuação.	67
Quadro 1	Critérios para estabelecer o preço de entrada	136
Figura 1	Linha do tempo. Incorporação do nusinersena ao SUS – AME 5q tipo I.	61
Figura 2	Diagrama da ACF – Momento 1 (2018).	74
Figura 3	Diagrama da ACF – Momento 2	77
Figura 1	Dimensões do direito à saúde no Brasil a partir da Constituição de 1988	113
Figura 1	Fluxo de incorporações da CONITEC.	151
Figura 1	Linha do tempo sobre o desenvolvimento de diretrizes e normativas voltadas para a implantação e desenvolvimento da Política do Sangue no Brasil.	183

SUMÁRIO

1. INTRODUÇÃO 11
2. OBJETIVOS 15
Objetivo geral: 15
Objetivos específicos: 15
3. ELEMENTOS CONCEITUAIS E TEÓRICOS 16
4. RESULTADOS DA DISSERTAÇÃO 23
ARTIGO 1 24
Participação social na CONITEC: Uma análise das consultas públicas para incorporação do Nusinersena ao SUS. 24
ARTIGO 2 51
Tramas políticas da incorporação do Nusinersena ao SUS: um olhar a partir do modelo de coalizões de defesa. 51
4.3. PRODUTO TÉCNICO – E-BOOK 85
APRESENTAÇÃO 90
5. CONSIDERAÇÕES FINAIS 188
6. REFERÊNCIAS 190

RESUMO

São consideradas raras aquelas doenças que acometem até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos. Ocorre que, ao analisar essas doenças a disponibilidade de terapias farmacológicas torna-se restrita. No Brasil, o Ministério da Saúde (MS) estima que cerca de 13 milhões de pessoas são portadoras de alguma doença rara. A pressão pública por acesso aos medicamentos, por meio de ações judiciais individuais culminou na criação de uma política específica e a partir de 2014, com a publicação da Portaria nº 199/2014 foi instituída no Brasil a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS, responsável por orientar a oferta de tratamentos a esses pacientes. A avalição de tecnologias em saúde é realizada no Brasil, desde 2011, pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias ao Sistema Único de Saúde (CONITEC). A CONITEC é um espaço composto por múltiplos atores e o tratamento de doenças raras, um grande desafio para a avaliação de tecnologias em saúde (ATS), bem como sua disponibilização e acesso nos sistemas de saúde pública. Neste contexto, ocorreu em 2018 e 2019 a avaliação de incorporação de Nusinersena ao SUS que tornou-se um fato político devido à grande movimentação social em torno do caso. Este estudo tem por objetivo analisar os aspectos políticos envolvidos na incorporação de Nusinersena para o tratamento da AME 5q tipo 1, nas avaliações realizadas pela CONITEC em 2018 e 2019, bem como a participação dos atores sociais envolvidos a partir do modelo de coalizões de defesa. Como resultados foram elaborados 2 artigos que analisam as consultas públicas de origem técnica realizas (artigo 1) e o processo político que se desenvolveu dentro da CONITEC para que ocorresse a incorporação do Nusinersena, utilizando-se como referencial teórico do modelo de coalizões de defesa (artigo 2). Considerou-se que o processo de incorporação de Nusinersena ao SUS apresentou uma disputa entre o olhar técnico-científico e da medicina baseada em evidências com as forças políticas que se formaram no processo. Por fim, foi elaborado um e-book colaborativo destinado aos profissionais do direito que atuam na saúde. A escolha deste produto relaciona-se a inserção profissional da mestranda, que atua como farmacêutica no Ministério Público da Bahia. O formato do produto técnico está diretamente ligada às características do público a que se destina, já estes tendem a ter apreço pela leitura de materiais técnicos e com textos mais extensos.

Palavras-chave: Doenças raras; políticas públicas; acesso a medicamentos; Avaliação de Tecnologias em Saúde.

ABSTRACT

Those diseases that affect up to 65 people in every 100,000 individuals are considered rare, that is, 1.3 people for every 2,000 individuals. It turns out that, when analyzing these diseases, the availability of pharmacological therapies becomes restricted. In Brazil, the Ministry of Health (MS) estimates that about 13 million people are carriers of some rare disease. Public pressure for access to medicines, through individual lawsuits, culminated in the creation of a specific policy and from 2014, with the publication of Ordinance No. Rare in SUS, responsible for guiding the offer of treatments to these patients. The assessment of health technologies has been carried out in BRSIL since 2011 by the National Commission for the Incorporation of Technologies into the Unified Health System (CONITEC). CONITEC is a space composed of multiple actors and the treatment of rare diseases, a major challenge for the assessment of health technologies (HTA), as well as their availability and access in public health systems. In this context, in 2018 and 2019, the assessment of Nusinersena's incorporation into the SUS took place, which became a political fact due to the great social movement surrounding the case. This study aims to analyze the political aspects involved in the incorporation of Nusinersena for the treatment of SMA 5q type 1, in the evaluations carried out by CONITEC in 2018 and 2019, as well as the participation of the social actors involved and the formation of conjunctures, from the model of defense coalitions. As a result, 2 articles were prepared that analyze public consultations of technical origin carried out (article 1) and the political process that was developed within CONITEC for the incorporation of Nusinersena to occur, using it as a theoretical reference of the model of defense coalitions. It was considered that the process of incorporating Nusinersena into the SUS presented a dispute between the technical-scientific view and evidence-based medicine with the political forces that were formed in the process. Finally, a collaborative e-book was created for legal professionals working in health. The choice of this format for the technical product is directly linked to the characteristics of the target audience, as they tend to appreciate reading technical materials and longer texts.

Keywords: Rare diseases, public policies, access to medicines, Health Technology Assessment.

1. INTRODUÇÃO

No Brasil, os medicamentos foram definidos oficialmente pela Lei nº 5.991/1973 como “produto farmacêutico, tecnicamente obtido ou elaborado, com finalidade profilática, curativa, paliativa ou para fins de diagnóstico”. Complementarmente a RDC nº 16/2007 descreve-os como uma “forma farmacêutica terminada que contém o fármaco, geralmente em associação com adjuvantes farmacotécnicos” (BRASIL, 2007, p.3)

Dentre os instrumentos da terapêutica moderna, os medicamentos figuram entre os mais eficientes e são a tecnologia mais utilizada nos serviços de saúde, bem como são amplamente utilizados fora deles (COSTA et al., 2016). Na percepção de Pignarre (1999) trata-se de um objeto complexo que transita entre a ciência, o mercado e a sociedade além de fundamental para a concretização do direito à saúde.

No contexto da saúde brasileira, a Lei nº 8.080/1990 é o marco legal para assegurar o acesso aos medicamentos uma vez que trata do direito de todos os cidadãos à assistência terapêutica integral, inclusive farmacêutica. A partir desta lei, o Brasil tem adotado estratégias que visam ampliar o acesso a medicamentos seguros e eficazes, por meio de regulamentações de grande relevância para o sistema de saúde (ALVARES et al., 2017).

São exemplos de tais estratégias, a Política Nacional de Medicamentos - PNM (BRASIL,1998), a realização da I Conferência Nacional de Medicamentos e Assistência Farmacêutica (2003) e a aprovação da Política Nacional de Assistência Farmacêutica - PNAF (BRASIL, 2004). Merece destaque ainda, a Lei dos medicamentos genéricos - Lei Nº 9.787 de 10 de fevereiro de 1999 - e a obrigatoriedade da adoção da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), atualizada a cada dois anos, como parâmetro para o acesso aos medicamentos (SOUSA et al., 2017).

A fim de reforçar o atendimento às políticas de acesso a medicamentos essenciais em consonância com os princípios do SUS, foi publicada em 1999, uma nova Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) que serviu de referência para elaboração de listas de medicamentos para estados e municípios constituindo-se instrumentos norteadores à orientação e à prescrição, assim como para o abastecimento e dispensação. O caráter de orientação da prescrição no SUS e de sua relevância na garantia do acesso a medicamentos tornam fundamentais ações de atualização e revisão, a fim de que a RENAME seja de fato efetiva (ALENCAR, 2011). Atualmente, a RENAME é atualizada a cada 2 anos, a fim de garantir uma lista de medicamentos essenciais que atenda às necessidades da população.

Em 2011, atos normativos estabeleceram critérios para seleção de tecnologias em saúde no SUS. A publicação da Lei nº 12.401/2011, instituiu que o acesso aos medicamentos no SUS ocorreria baseado nas relações de medicamentos definidas pelo gestor federal do sistema respeitadas as competências estabelecidas nesta lei, sendo a Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde/MS a responsabilidade pelo fornecimento dos medicamentos elencados na RENAME pactuada na Comissão Intergestores Tripartite (CIT); o Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011, que regulamentou a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, dispôs que "a RENAME compreende a seleção e a padronização de medicamentos indicados para atendimento de doenças ou de agravos no âmbito do SUS" (RENAME, 2020).

O Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011, trata sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde SUS, e dá outras providências, estabelece que a partir da criação da CONITEC, esta passa a ser responsável por propor a atualização da RENAME (BRASIL, 2011).

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente, que tem como objetivo assessorar o Ministério da Saúde nas atribuições relativas à análise e à elaboração de estudos de avaliação dos pedidos de incorporação, ampliação de uso, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde; e na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDTs). Por meio de instrumento legal, a Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) foi institucionalizada no Brasil como critério indispensável para a tomada de decisão sobre a incorporação tecnológica no SUS (RENAME, 2020).

O Brasil optou por selecionar os medicamentos não apenas para as doenças mais prevalentes, mas também contempla aqueles indicados para as doenças negligenciadas. Os critérios de seleção têm sido norteados, de maneira geral, pelas recomendações da OMS. Assim, são considerados dados consistentes e adequados de eficácia e segurança de estudos clínicos; evidência de desempenho em diferentes tipos de unidades de saúde; disponibilidade da forma farmacêutica em que a qualidade adequada, incluindo a biodisponibilidade, possa ser assegurada; estabilidade nas condições previstas de estocagem e uso; custo total de tratamento e preferência por monofármacos (PEPE, 2011).

Especificamente sobre o tratamento de doenças raras, a ANVISA contabilizou um recorde no número de medicamentos registrados em 2019, com a aprovação de 19 moléculas, entre sintéticos, biológicos e específicos. Além disso, o órgão sanitário liberou a realização de 30 ensaios clínicos com medicamentos no mesmo ano (ICTQ, 2020).

São consideradas raras as doenças que acometem até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos e constituem um grupo diverso de doenças (BRASIL, 2014) e, segundo dados divulgados pelo MS, cerca de 13 milhões de pessoas são portadoras de alguma doença rara no Brasil. Nesse sentido os medicamentos para tais doenças são aqueles que tratam, diagnosticam ou atuam na prevenção de condição séria debilitante e que se propõem a alterar, de modo clinicamente significativo, a evolução do problema de saúde ou que possibilitem a sua remissão.

As linhas de cuidados a pacientes com doenças raras foram estabelecidas no Brasil, apenas a partir de 2014 com a promulgação da Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR), aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS e os incentivos financeiros de custeio. Estabelece como um dos princípios e diretrizes a incorporação e uso de tecnologias voltadas para a promoção, prevenção e cuidado integral na Rede de Atenção à Saúde (RAS), incluindo tratamento medicamentoso e fórmulas nutricionais quando indicados no âmbito do SUS, que devem seguir as recomendações formuladas por órgãos governamentais a partir do processo de avaliação e aprovação pela CONITEC e PCDTs.

As doenças raras não têm cura, e em geral, são crônicas, progressivas, degenerativas e podem levar à morte. No entanto, um tratamento adequado é capaz de reduzir complicações e sintomas, assim como impedir o agravamento e evolução da doença (BRASIL, 2021). No contexto das cerca de 8.000 doenças descritas como raras está a atrofia muscular espinhal (AME) 5q que é a forma mais comum de doença neuromuscular hereditária autossômica recessiva, de um grupo de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal, sendo caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e no tronco encefálico. A AME 5q é a causa mais frequente de morte infantil decorrente de uma condição monogênica, apresentando uma prevalência de 1 a 2 em 100.000 pessoas e incidências de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos, conforme verificado em estudos realizados fora do Brasil (BRASIL, 2023).

A AME é causada por alterações no *locus* do gene de sobrevivência do neurônio motor (SMN), localizado na região 5q11.2- 13.3 do cromossomo 5. O *locus* é constituído por dois genes parálogos (classe particular de homólogos resultantes da duplicação genômica): o gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1), localizado na região telomérica do cromossomo, e o gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2), localizado na região centromérica. Os genes SMN1 e SMN2 são responsáveis pela síntese da proteína de

sobrevivência do neurônio motor (SMN), fundamental para a manutenção dos neurônios motores. A ocorrência de deleções, duplicações e conversões acometendo esses genes constitui o principal mecanismo molecular associado à AME 5q (BRASIL, 2023).

A classificação clínica da AME 5q é dada pela idade de início e máxima função motora adquirida, podendo ser classificada em quatro tipos. A AME 5q tipo 1 tem início precoce e é a mais grave e a mais comum, representando 58% dos casos. Os pacientes apresentam hipotonia, controle insuficiente da cabeça, redução de reflexos ou arreflexia antes dos 6 meses de idade, hipotonia profunda e geralmente nunca são capazes de se sentar sem auxílio. A fraqueza dos músculos intercostais é evidenciada pela observação de um padrão de respiração paradoxal do tipo abdominal, com a relativa preservação do diafragma, geralmente evoluindo para uma insuficiência respiratória antes dos 2 anos de vida (BRASIL, 2023).

Devido as especificidades genéticas da AME, os medicamentos específicos para o seu tratamento são escassos. As pesquisas realizadas para o desenvolvimento destes medicamentos têm apresentado como alvo terapêutico principal as modificações genéticas. A possibilidade de alterar o código genético abriu portas para o desenvolvimento de medicamentos que modificam ou modulam a decodificação e transcrição do DNA.

Assim, em 2017 foi registrado no Brasil o Nusinersena (Spinraza®) produzido pela farmacêutica Biogen Produtos Farmacêuticos Ltda. E este foi o primeiro medicamento indicado ao tratamento da AME com registro na ANVISA (ANVISA, 2017). O Nusinersena é um oligonicleotído que se liga ao DNA levando à produção da proteína funcional relacionada com a sobrevivência do neurônio motor, a proteína SMN.

A partir da liberação do registro em 2017, houve 2 pedidos de avaliação de incorporação, em 2018 e 2019 que levaram a uma mobilização da sociedade civil e no cenário político. Ressalte-se que as consultas públicas sobre a incorporação deste medicamento registraram o maior número de participações já registradas pela CONITEC além de realização de sessões especiais no Senado Federal para discutir o tema. Neste contexto, observa-se a incorporação de Nusinersena como um marco na ATS no Brasil, especialmente no que tange as doenças raras de origem genética.

Desse modo este estudo questionou como se deu o processo de incorporação do Nusinersena para o tratamento da AME 5q do tipo 1 no SUS?

2. OBJETIVOS

Objetivo geral:

Analisar aspectos políticos envolvidos na incorporação de Nusinersena para o tratamento da AME 5q tipo 1, nas avaliações realizadas pela CONITEC em 2018 e 2019.

Objetivos específicos:

- Identificar os atores sociais envolvidos nos processos de incorporação de medicamentos para doenças raras, especialmente no caso da AME, ao longo do período analisado, suas contribuições, disputas, interesses identificados e posicionamentos.

- Analisar os aspectos políticos envolvidos nas avalições realizadas pela CONITEC para incorporação de Nusinersena ao SUS em 2018 e 2019, utilizando como referencial teórico o modelo de coalizões de defesa – ACF.

3. ELEMENTOS CONCEITUAIS E TEÓRICOS

Para realizar a análise proposta neste estudo buscou-se articular diferentes perspectivas para a análises de políticas públicas, cujos elementos teóricos demonstrassem potencial para contribuir na compreensão das questões relativas à incorporação de medicamentos para o tratamento de doenças raras no SUS, suas conjunturas políticas, econômicas e sociais, bem como o papel dos distintos atores envolvidos neste processo.

Para isso, incialmente, é preciso situar alguns conceitos orientadores desse trabalho. Para Paim e Teixeira (PAIM, 2003, PAIM, TEIXEIRA, 2006) o termo política pode se manifestar tanto como *politics e* quanto *policy. Politics* representa o processo político de relações de poder, de análise dos problemas e escolha das soluções. O que implica a seleção de alternativas que podem resultar em conflito de interesses e, portanto, na necessidade de construção de consensos em torno dos objetivos a serem perseguidos e dos meios a serem utilizados para isso. Já o termo *policy* relaciona-se às ações contidas nos documentos oficiais, nos conteúdos dos planos, programas e projetos, contemplando as atividades e recursos a serem empregados na materialização das decisões políticas. Um desenho que surge da necessidade de materialização dessas ideias e ações, a fim de que sejam atendidas as necessidades sociais (PAIM, 2003). Portanto, as políticas públicas representam “um conjunto de ações implementadas pelo Estado e pelas autoridades governamentais em um sentido amplo” (MARQUES, 2013, p.24).

Nessa direção, as políticas de saúde são entendidas como a ação ou omissão do Estado, diante das condições e necessidades de saúde, dos indivíduos e populações e seus determinantes, assim como em relação a componentes do sistema de saúde, tais como financiamento, gestão, modelo de atenção, organização, cobertura, acessibilidade, qualidade, entre outros (PAIM, 2003;TEIXEIRA, PAIM, 2006). E diante das especificidades do campo da saúde, também o Estado precisa ser pensado de modo integrado à essa relação. Especialmente, diante das excepcionalidades que circunscrevem o segmento das doenças raras. Por isso, procuramos articular o conceito de Estado, a partir das contribuições gramscianas adotadas por Alencar (2016) – que também desenvolveu um estudo a partir da temática dos medicamentos. Para a autora, o Estado como complexo de atividades práticas e teóricas com as quais a classe dirigente não só justifica, mas, também mantém seu domínio, conseguindo obter o consenso ativo dos governados, para que se discuta o conceito das organizações e seus papéis dentro das conjunturas políticas que se formam, com especial atenção as ações que envolvem a assistência farmacêutica. Nesse sentido, o desenvolvimento

de um estudo de análise de uma política pública, nos permite identificar tais movimentações e suas repercussões, alcançando também uma compreensão da ação do próprio Estado (DEUBEL, 2007).

Para Coutinho (1988), a partir do conceito de Gramsci sobre o Estado, há uma distinção entre a sociedade política e a sociedade civil. A primeira designa o conjunto dos mecanismos por meio dos quais a classe dominante detém o monopólio legal da coerção, sendo representada pelos aparelhos executivos (civis e militares) e constitui o Estado (restrito). Já a sociedade civil, se constitui pelo conjunto das organizações responsáveis pela elaboração e/ou difusão das ideologias (compreendendo as escolas, igrejas, partidos, organizações profissionais, meios de comunicação, instituições científicas), uma arena de classes, na qual os diferentes grupos sociais lutam pela hegemonia e pela direção político-moral.

As relações entre sociedade política e sociedade civil também foram abordadas a partir dos elementos teóricos da obra de Mario Testa (1992;1995), e nos auxiliaram a compreender as relações de poder entre o Estado e a Sociedade. Na visão de Testa, a concepção de poder encontra-se ligada ao Estado e constitui a relação sobre a qual se constroem as sociedades modernas. No campo da saúde, essa relação se expressa de diferentes formas e em distintos espaços caracterizando os tipos de poder em administrativo, técnico e político.

O poder técnico referindo-se à capacidade de gerar e lidar com informações de características diferentes e caminhar em cinco âmbitos principais que são a docência, a investigação (instituições docentes ou de serviço), os serviços, a administração superior e a população. As informações produzidas nesses espaços também são de diferentes tipos: médica, sanitária, administrativa e marco teórico (no qual devem ser desenvolvidos os demais tipos de conhecimento).

O poder político relaciona-se à capacidade de desencadear uma mobilização, e depende da forma de conhecimento que é gerada de diferentes maneiras: pela experiência de situações concretas ou por meio do conhecimento científico.

Essas formas de conhecimento se agrupam em duas categorias: conhecimento científico (o saber) e conhecimento empírico (a prática). O poder político manifesta-se como dominação (subordinação dos dominados aos dominantes) e hegemonia (viabilização e realização de um projeto político como prática). Neste aspecto as casas legislativas (Câmara dos Deputados e Senado Federal), a partir de suas funções, devem regulamentar a ação do Estado em proporcionar a execução de políticas públicas, que atendam as demandas da

sociedade. E a partir do posicionamento de seus atores, controlam a efetivação das políticas públicas.

Já o poder administrativo é aquele que apropria e atribui recursos, podendo ser sintetizado pelas diversas formas de financiamento. Envolve as noções de eficácia e eficiência administrativa e/ou política, e tem como recursos as normas, a gestão e a organização. Deste modo, pode-se inferir que o poder administrativo está inserido nas organizações, estejam elas vinculadas a sociedade política ou a sociedade civil.

Testa (1995) traz ainda um conceito de estratégia que, no contexto das análises políticas, é definida como uma maneira de se aproximar da política, para fins de sua implementação. A estratégia se desenvolve mediante relação e mobilização dos atores sociais, nos diferentes espaços que ocupam, o que sugere consensos e contradições e, consequentemente, relações de transparência e opacidade. Entretanto, ressalta que a política se mantém separada da estratégia, na medida em que existem grupos que se identificam pela proposta política, mas, se diferenciam pela proposta estratégica.

Debruçada sobre a obra de Testa, Giovanella (1990) analisa que, ao compreender os problemas de saúde, como socialmente determinados, esse autor nutre interesse pelo comportamento dos atores sociais. Entendidos como os sujeitos ou organizações, que adquirem capacidade de inserir temas de debate na agenda do Estado. Esses sujeitos individuais ou coletivos, atuam por meio de um processo de formação ideológica, buscando ocupar espaços na sociedade cível e política, com objetivo de modificar uma realidade. É, por isso, que a obra de Testa confere maior enfoque à análise das relações de poder e considera as práticas de saúde enquanto práticas ideológicas, conformadas por seus sujeitos.

Nesse sentido, para modificar a realidade e intervir nos problemas de saúde, é preciso modificar o plano social. E na análise de Testa (1986), é necessário pensar na questão do poder como categoria central na análise da dinâmica social. O que significa pensar os modos de implementação de uma ação de saúde — a estratégia — como deslocamentos de poder — a política — favorável à resolução do problema. Assim, as estratégias em saúde extrapolam os limites de seu campo setorial, abarcando o conjunto social. E isso exige (re)conhecer o poder em suas determinações, relações, recursos, encontrando formas para analisá-lo em sua distribuição setorial (GIOVANELLA, 1990).

Para Testa, o poder na relação entre pessoas e coisas, ou coisas e coisas, tem um significado de capacidade que, aplicada sobre um objeto, produz um efeito nesse objeto modificando-o (STOPINNO, 1986). Portanto, nas relações pessoais (entre indivíduos ou coletividades), o poder não é uma capacidade que se detenha, é uma relação de

comportamentos, onde o comportamento de uma pessoa ou grupo, de forma intencional e interessada, modifica o comportamento de outra pessoa ou grupo (WEBER, 1974). E é na desigualdade dessa relação, onde um é sujeito e outro é objeto do Poder, que se maquina o conflito. Assim, é através da discussão da política e do Estado, que podemos nos aproximar da essência do poder e suas reais determinações. A política deve ser considerada, portanto, como tudo o que está relacionado com a distribuição, deslocamento ou conservação de poder. É por isso que poder, política e estado muitas vezes se confundem (PAIM, 2003).

A partir dos conceitos e abordagens teóricas trazidas por Gramsci e Testa, e outros autores, Alencar (2016) apresenta uma definição de fato político que nos parece útil ao presente estudo. Definido a partir da interação de atores sociais com objetivos e interesses convergentes e divergentes e com distintas capacidades acumuladas, o fato político é atravessado por um determinado conjunto de regras (por exemplo, normas jurídicas e sociais, condutas ou orientações de determinados grupos sociais, orientações políticas de determinada organização, estratégias de um programa de ação ou plano de governo etc.) e seus resultados produzem novos fatos políticos e, assim, consequentemente, na acumulação de mais poder ao ator que gerou os fatos. Um tipo de poder que pode ser acumulado ou desacumulado no processo de produção social.

Sendo o medicamento um insumo de saúde, concebido como um objeto social, suas múltiplas dimensões (técnico-científica, sanitária e social) o fazem comportar sob diferentes maneiras segundo os diferentes atores e suas necessidades. Essa complexidade tem sido objeto de estudo de diversos autores tais como Jorge Bermudez. O trabalho de Giovanni (1980), buscou compreender as relações de produção e consumo, pertinentes a questão dos medicamentos no Brasil, analisando sua conformação a partir do início do século XX até fins da década de 1970. Além de abordar os aspectos da produção farmacêutica, em dois períodos (do início do século XX até 1945 e deste até a década de 1970), o autor destacou o crescimento das empresas farmacêuticas estrangeiras, em detrimento do desenvolvimento da indústria nacional, retratando a omissão do Estado quanto ao controle da qualidade e do comércio de medicamentos. Ademais, evidenciou que as políticas farmacêuticas implantadas no período de sua análise (a exemplo da Central de medicamentos - CEME) nunca atingiram os propósitos delimitados quando na sua elaboração.

Outro ponto relevante abordado por Giovanni (1980) foi o exame da natureza das práticas comerciais da indústria farmacêutica e seus vínculos com os agentes indutores do consumo (médicos e farmácias). Seus resultados constataram que, historicamente, ocorreu uma subordinação, tanto do aparelho comercial como da prática médica. E que tal

subordinação contribuiu, ao longo do tempo, para a constituição de um conjunto de concepções e hábitos de consumo, indutores de um processo de consumo abusivo de medicamentos (ALENCAR, 2016).

Diante de tantos aspectos que envolvem o medicamento, que vão desde a pesquisa, a produção, o mercado e seu acesso aos usuários, torna-se de suma relevância o estudo das políticas farmacêuticas desenvolvidas pelo Estado, a participação dos diferentes atores na conformação e execução dessas políticas, bem como a sua inter-relação com a garantia do direito integral à saúde proposto pelo SUS.

Neste sentido, Dye (2010), em seu trabalho sobre modelos para análise de políticas públicas, esclarece que a formulação de políticas públicas, envolve a inserção de um determinado tema na agenda. A escolha das opções políticas que farão parte da proposta da política e a legitimidade dessas escolhas através de apoio político do Legislativo e no Executivo (entre outros atores estatais e da sociedade civil interessados no tema proposto). E, por fim, a implementação da política por meio do aparelhamento administrativo. Ou seja, recursos humanos, financeiros, materiais, tecnológicos, entre outros, são importantes para que determinada política pública seja efetivada.

Seguindo esse entendimento, o advento do Modelo de Coalizões de Defesa (*Advocacy Coalition Framework*- ACF), proposto por Paul Sabatier no final dos anos 1980, destaca-se como "um quadro conceitual alternativo aos modelos analíticos dominantes no campo da análise de políticas públicas, centrados no ciclo de políticas e em suas etapas" (CERQUEIRA, 2020, p.9). Nesse modelo, esses atores são situados a partir de coalizões, que disputam para traduzir suas crenças compartilhadas, em políticas públicas ou programas governamentais, mobilizando recursos políticos e participando de processos contínuos de aprendizagem política (WEIBLE; SABATIER; MCQUEEN, 2009). Dessa forma, o ACF permite estudar uma política em sua completude, e não de forma segmentada (SOARES; ALVES, 2015).

De acordo com Sabatier e Weible (2007) o modelo está alicerçado sobre as seguintes bases: (1) nível macro, no qual a maior parte das políticas ocorre entre os especialistas dentro de um subsistema de política, porém seu comportamento é afetado por fatores do sistema político e socioeconômico mais amplo; (2) nível médio, no qual a solução para lidar com a multiplicidade de atores em um subsistema é agregá-los em coalizões de defesa e (3) no nível micro, no qual a convicção vem a partir da psicologia social. Esses pressupostos básicos afetam as variáveis dependentes do modelo – crenças e mudança política – por meio da aprendizagem orientada às políticas e pelas perturbações externas. Na revisão mais recente do modelo (2007) seus criadores adicionaram mais dois caminhos para explicar a mudança

política: choque interno e o acordo negociado. Esses novos fatores agregaram às hipóteses originais, modelagens para estudo dos constrangimentos e oportunidades dos atores do subsistema ao longo do tempo.

As coalizões de defesa são compreendidas como a reunião de pessoas de uma variedade de posições (representantes eleitos e funcionários públicos, empresários, líderes de grupos de interesse, representantes da sociedade civil, pesquisadores, intelectuais, etc.), que compartilham determinado sistema de crenças: valores, ideias, objetivos políticos, formas de perceber os problemas políticos, pressupostos causais e demonstram um grau não trivial das ações coordenadas ao longo do tempo. O que une e mantém uma coalizão de defesa é o compartilhamento de crenças dos seus membros sobre assuntos políticos fundamentais, isto é, são os sistemas de crenças que determinam o direcionamento que uma coalizão procurará dar a um programa ou política pública (VICENTE, 2015).

O ACF é um referencial teórico que percebe as políticas públicas como construções sociais, baseadas em conjuntos de valores e de ideias, dentro de um contexto social e político específico. E considera que há um processo dinâmico de transformação dessas políticas influenciado por conflitos sociais e políticos. Além disso, interferem no processo político mudanças no ambiente externo, que inclui transformações tecnológicas, mudanças no contexto internacional e choques naturais (CERQUEIRA, 2020). Esse modelo também considera que as disputas políticas em torno das políticas públicas ocorrem prioritariamente no âmbito de subsistemas (ou domínios) de política pública. Cada subsistema consiste no conjunto de atores de uma variedade de organizações públicas e privadas ativamente interessados num problema ou tema e que buscam regularmente influenciar as políticas nesse domínio. Ou seja, trata-se da própria estrutura social subjacente à política pública específica. Em cada subsistema de política pública atuam coalizões de defesa, compostas por atores de diversas posições e instituições que compartilham crenças normativas e causais e se engajam num grau efetivo de ação coordenada no tempo (CERQUEIRA, 2020).

Assim pode-se considerar a CONITEC como um subsistema que realiza uma interligação para a execução de várias políticas públicas (PNM, PNAF, PNAIPDR) e que está submetida a ação de agentes internos e externos que podem estar reunidos em coalizões e assim modificar as políticas públicas. Penaforte (2021) descreve o ACF como um modelo originalmente desenvolvido para explicar o processo de mudança nas políticas públicas dentro de um determinado sistema político ou arranjo institucional, em um período grande. Pensado para lidar com problemas capciosos, sua estrutura confere maior peso aos sistemas de crença que à afiliação institucional para a definição dos objetivos individuais. Além de considerar

que, dada a complexidade do ambiente de formulação de políticas nas sociedades modernas, é preciso que seus participantes se especializem em segmentos específicos a fim de obter poder e influência.

Tendo em vista a importância da participação social e do posicionamento dos diversos atores envolvidos nos processos de incorporação de medicamentos optou-se neste estudo por utilizar a ACF como modelo de análise, a fim de verificar as possíveis influências e forças adotadas dentro do subsistema.

4. RESULTADOS DA DISSERTAÇÃO

Os resultados desta investigação serão apresentados na forma de dois artigos e um produto técnico em formato de *e-book.*

Artigo I: Participação social na CONITEC: Uma análise das consultas públicas para incorporação do Nusinersena ao SUS.

Artigo II: Tramas políticas da incorporação do Nusinersena ao SUS: um olhar a partir do modelo de coalizões de defesa.

Produto técnico – E-book: Assistência Farmacêutica para Operadores do Direito: O que é preciso saber.

ARTIGO 1

PARTICIPAÇÃO SOCIAL NA CONITEC: UMA ANÁLISE DAS CONSULTAS PÚBLICAS PARA INCORPORAÇÃO DO NUSINERSENA AO SUS.

PEREIRA, Catarine dos Santos; ARAÚJO, Patrícia Sodré; PENAFORTE, Thaís Rodrigues.

Resumo

A avaliação de tecnologias em saúde no Brasil ocorre desde 2011 pela atuação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), órgão colegiado responsável por assessorar o Ministério da Saúde na tomada de decisões quanto a incorporação, exclusão ou alteração no SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT). A CONITEC estimula a participação social nas decisões técnicas através de consultas públicas (CP) e audiências públicas. A participação social em CP tem crescido ao longo dos anos, mas neste cenário a avaliação da incorporação de Nusinersena ao Sistema Único de Saúde (SUS) para o tratamento da AME 5q chama a atenção pela grande mobilização. O objetivo deste artigo foi analisar a participação social dos distintos atores nas consultas públicas disponibilizadas pela CONITEC em 2018 e 2019 para a avaliação de incorporação do medicamento Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q). Realizou-se um estudo de caso com abordagem qualitativa a partir das CP de origem técnica realizadas em 2018 e 2019 para incorporação de Nusinersena no tratamento da AME 5q no SUS. O processamento e análise dos dados utilizou as etapas recomendadas pela análise de conteúdo (BARDIN, 1977) e os *corpora* textuais foram submetidos à análise textual lexicográfica com o auxílio do software IRaMuTeQ (*Interface de R pour Analyses Multidimensionnelles de Textes et de Questionneires*). A análise dos *corpora* produziu dois dendogramas e cada um com 3 classes de palavras. Verificou-se que as classes 1 da CPTEC0452018 e da CPTEC0122019 estavam relacionadas as evidências científicas e a doença, enquanto a classe 2 da CPTEC0452018 e classe 3 da CPTEC0122019 relacionava-se ao posicionamento dos atores relativos às evidências cientificas e ao direito e acesso ao tratamento. Já a classe 2 (CPTEC0122019) expressava os posicionamentos dos atores que evidenciaram aspectos simbólicos do tratamento medicamentoso. E por fim a classe 3 da CPTEC0452018 expressava os posicionamentos dos atores relacionados ao custo do tratamento e prioridades de financiamento de procedimentos no SUS. Este estudo apontou para reflexões de que a mudança no perfil de recomendação da CONITEC sobre a incorporação de Nusinersena ao SUS pode ter sido justificada pela inclusão de critérios limitantes do acesso, uma vez que não houve incremento significativo das evidências científicas apresentadas e a incorporação condicionada a negociação de preço como o fabricante. O uso do Iramuteq permitiu a realização de análises mais ágeis dos dados da CP. Entretanto desafios relacionados a elaboração e padronização do *corpus* bem como sua análise são limites a serem observados.

Palavras-chave: Participação social; Consultas públicas; Nusinersena; Doenças raras.

INTRODUÇÃO

No Brasil, a avaliação de tecnologias em saúde (ATS) no âmbito do SUS é realizada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC, órgão colegiado criado pela Lei nº 12.401 de 28 de abril de 2011. A partir da sua criação, a incorporação, exclusão ou alteração no SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT), são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela CONITEC (BRASIL, 2011).

A referida Lei estabeleceu a participação social no processo de incorporação de tecnologias. Tal participação ocorre por meio do Conselho Nacional de Saúde (CNS), que representa os usuários do SUS como membro do plenário; da realização de consultas públicas (CP) e de audiências públicas antes da tomada de decisão final, nos casos em que o secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) do Ministério da Saúde determinar que a relevância da matéria justifique a sua realização. Iniciativas que promovam o engajamento social na ATS cresceram nos últimos anos, em grande parte devido aos esforços de organizações de pacientes e da comunidade de ATS. Promover o engajamento público de usuários ou cidadãos interessados, pode contribuir para estimular a responsabilidade social, a democracia participativa e a transparência. Além disso, os pacientes podem fornecer perspectivas adicionais para a tomada de decisão que são únicas, com uma visão experiencial sobre os benefícios e as desvantagens do uso de determinadas tecnologias em saúde (CARVALHO et. al., 2019).

Ao longo dos anos, tem-se observado um crescimento das participações em CP relativas à incorporação de medicamentos. Tamachiro e colaboradores (2022) notou aumento da participação da indústria farmacêutica na incorporação de medicamentos no SUS, além de destacar tensionamentos entre os demandantes e a CONITEC, expondo questões relativas à sustentabilidade do SUS. Esses autores chamam atenção para uma maior mobilização em consultas públicas de medicamentos financiados pelo componente especializado da assistência farmacêutica e que a maioria das demandas pelas avaliações da CONITEC partem da indústria. Tal movimento tem resultado em maior resistência da CONITEC em relação a essa pressão com consequente aumento nas recusas das solicitações desse demandante. Essas evidencias demonstram que este processo não é apenas técnico, mas também político e econômico.

Ademais, a eventual incorporação de tais tecnologias pelos sistemas de saúde requerem uma avaliação criteriosa de custo-efetividade, especialmente no contexto da medicina personalizada ou medicina de precisão, que tem por objetivo a customização do tratamento de acordo com as características biológicas dos indivíduos ou subgrupos da população. No contexto da medicina de precisão, a incorporação de novos medicamentos às práticas médicas não acontece apenas por sua utilidade clínica. Mudanças no perfil de morbidade e mortalidade tem sido influenciada por fatores como aumento da expectativa de vida e mudanças do modo de vida evidenciado as doenças raras. Entretanto, os pacientes portadores de doenças raras enfrentam dificuldades de acesso a medicamentos e tratamentos médicos. A eventual incorporação de produtos e serviços da medicina personalizada no âmbito dos sistemas de saúde ainda é controversa (IRIART, 2019).

Há movimentos de transformação da medicina que sofrem influência política, histórica e socioeconômica e envolvem diferentes atores como a indústria farmacêutica/biotecnologias, pesquisadores, profissionais de saúde, políticos, associações de pacientes, cidadãos, mídia e Organizações Não-governamentais (ONGs). Destarte, nesse processo de incorporação de novas tecnologias ocorrem transformações institucionais que geram impactos na produção, distribuição e gerenciamento de informações em saúde, nos diagnósticos e tratamentos, na concepção do que é saúde e doença e no financiamento e subsistência dos sistemas de saúde (IRIART, 2019).

O medicamento é um objeto complexo no campo da saúde coletiva e tal complexidade relaciona-se com a influência que o medicamento exerce enquanto parte do complexo médico-industrial, na percepção de saúde e doença assumindo papel simbólico e representações que vão desde o poder de curar qualquer doença, até a incorporação do significado de mercadoria, o que garante a acumulação de capital da indústria farmacêutica, um dos setores mais lucrativos do capital industrial (GIOVANNI, 1980, COSTA et. al.,2016).

Os processos de tomada de decisão sobre a incorporação, ou não, de uma tecnologia podem constituir-se em um fato político. Assume-se que o fato político é um fato social produzido a partir da interação entre distintos atores sociais que possuem objetivos e interesses convergentes e/ou divergentes e que possuem distintas capacidades acumuladas (ALENCAR, 2016). Essa interação social é mediada por um conjunto de regras – a exemplo de normas jurídicas e sociais, condutas ou orientações de determinados grupos sociais, orientações políticas de organizações, estratégias de um programa de ação ou plano de governo resultam na produção de novos fatos políticos, como a tomada de decisão em ATS.

No contexto dos fatos políticos compreendidos como fatos sociais, os atores sociais são entendidos como sujeitos ou organizações que adquirem capacidade de inserir temas de debate na agenda do Estado, ou seja, sujeitos individuais ou coletivos que por meio de um processo de formação ideológica, buscam ocupar espaços na sociedade cível e política, com objetivo de modificar uma realidade, e dar enfoque na análise das relações de Poder e na consideração das práticas de saúde enquanto práticas ideológicas, conformadas por seus sujeitos (TESTA, 2005;1995).

Fundamentados em tais elementos, o objetivo deste artigo é analisar a participação social dos distintos atores nas consultas públicas disponibilizadas pela CONITEC em 2018 e 2019 para a avaliação de incorporação do medicamento Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q).

ESTRATÉGIAS METODOLÓGICAS

Trata-se de um estudo de caso (GOLDEMBERG, 2004) de caráter retrospectivo com abordagem qualitativa, realizado a partir da análise das CP técnico-científicas disponibilizadas no site da CONITEC sobre as avaliações de incorporação de Nusinersena para o tratamento da AME 5q tipo1, realizadas em 2018 e 2019. Estabeleceu-se esse marco temporal tendo em vista que as avaliações realizadas nesses anos foram as primeiras relativas a incorporação de nusinersa ao SUS.

A pesquisa utilizou fontes públicas de dados secundários de acesso livre e não necessitou ser submetida ao comitê de ética em pesquisa. Foram analisadas a CP técnica 045/2018 (CPTEC0452018), disponibilizada entre 29/08/2018 e 17/09/2018, e a CP técnica 012/2019 (CPTEC0122019), disponibilizada entre 19/03/2019 e 28/03/2019. As CP reuniram as contribuições técnico-científicas e de experiência/opinião. A CP 045/2018 recebeu 36.972 participações das quais 36.104 contribuições de experiência ou opinião e 868 técnico-científicas; já a CP 012/2019 recebeu 41.787 contribuições, das quais 494 foram contribuições técnico científicas. Foram objetos de análise deste artigo as participações realizadas através do formulário técnico científico.

Adotou-se para identificação dos participantes conforme a identificação trazida nas CP, onde estes não são identificados individualmente, mas se auto identificam em categorias que são: “paciente” , “família, amigo ou cuidador”, profissional de saúde”, “interessado no tema”, “empresa”, “empresa fabricante da tecnologia”, “grupo, associação e organização de pacientes”.

O processamento e análise partiu de uma triangulação de métodos e técnicas de análise textual. Utilizaram-se as etapas recomendadas pela análise de conteúdo (BARDIN, 1977) e os *corpora* textuais foram submetidos à análise textual lexicográfica com o auxílio do software IRaMuTeQ (*Interface de R pour Analyses Multidimensionnelles de Textes et de Questionneires*).

O *software* é um programa de acesso livre e gratuito que possibilita realizar diferentes análises de dados textuais, desde cálculos de frequência de palavras até análises multivariadas, como a Classificação Hierárquica Descendente (CHD). A utilização destes *softwares* em pesquisas qualitativas permite realizar análises de grandes volumes de dados textuais em curtos espaços de tempo (CAMARGO e JUSTO, 2013).

Na primeira etapa foram produzidos os *corpora* a partir das CP referidas. Os dados foram produzidos a partir dos relatórios das contribuições técnicas dos distintos atores nas CP e as respostas dos atores foram agrupadas em linhas de comando seguindo padronização recomendada pelo software e incluíram as seguintes variáveis significativas: identificação da CP e o tipo de participante (Ex: CP45/2018_paciente_respostas).

Em seguida o *corpus* de cada CP foi submetido à análise CHD separadamente. A análise CHD agrupa palavras com sentidos semelhantes, bem como separa aquelas que possuem sentidos diferentes dentro dos discursos, permitindo subsidiar a compreensão do ambiente de sentido das palavras e deste modo, indicar os significados/representações/percepções referentes ao objeto estudado (SALVIATI, 2017).

A formação das classes de palavras segue os critérios de frequência de palavras maior que o dobro da média de ocorrências no *corpus* e calcula um valor de associação das palavras à respectiva classe a partir do valor de *qui*-quadrado igual ou superior a 3,84 e significância inferior a 0,05 ($p < 0,05$).

As análises CHD dos *corpora* produziram dois dendogramas, que são representações gráficas das relações entre as classes de palavras que permitem realizar a descrição de cada uma das classes (CAMARGO e JUSTO, 2013). A última etapa consistiu na interpretação do sentido de cada classe. Esta etapa foi realizada por 3 pesquisadores com o objetivo de minimizar vieses de alocação de sentido. A inferência e interpretação dos resultados baseou-se nos referenciais teóricos adotados neste estudo (ALENCAR, 2016 ; TESTA, 2005).

RESULTADOS E DISCUSSÃO

O presente estudo analisou as CP de origem técnica realizadas pela CONITEC para avaliação da incorporação de Nusinersena ao SUS em 2018 e 2019. Esperava-se que nos relatórios da CP técnicas houvesse um maior engajamento do grupo dos “profissionais de saúde” o que não se confirmou durante a análise, verificando-se um maior engajamento dos grupos de “Interessados no tema” e “Familiar, amigo ou cuidador”. Na análise realizada por Collins e Moore (2014) o envolvimento dos pacientes, seus cuidadores e defensores dos interesses dos pacientes aprimorou o processo de consulta pública, uma vez que não há a exigência de que sejam profissionais de saúde ou especialistas em ATS. Para estes autores, as experiências compartilhadas com os tomadores de decisão podem ser determinantes para confirmar e/ou mudar opiniões sobre questões básicas de saúde, o que confirma o conceito de ator social a partir do referencial teórico de Testa, onde tem-se que qualquer categoria de sujeito (individual ou coletivo) tem a capacidade de mudar a realidade.

Apesar da importância das participações de outros atores que não sejam necessariamente profissionais, deve-se considerar que há certas limitações e consequências do engajamento público, como exemplo quando esses representantes têm uma forte relação pessoal com a causa que estão defendendo, este fato pode afetar sua capacidade de examinar evidências e comprometer a análise do processo de ATS como um todo (Eccles et al, 2012).

O quadro 1 apresenta a caracterização dos relatórios das consultas públicas 045/2018 e 012/2019 para AME tipo 1 segundo período da consulta, demandante, número de contribuições e parecer de recomendação inicial e final. A análise objetiva dos perfis das CP demonstrou que a disponibilização das consultas provenientes das duas avaliações de pedido de incorporação de Nusinersena no tratamento da AME tipo 1 ocorreram em um intervalo de 6 meses (CP045 – setembro de 2018; CP012 – março 2019), período considerado curto diante do tempo médio para realização de novos estudos científicos. A fim de comparação Moraz (2015) encontrou em uma revisão sistemática que analisou os estudos de custo-efetividade no Brasil e estimou um tempo médio de 3 anos entre o início e a publicação de um estudo.

Quanto ao demandante de avaliação da incorporação do Nusinersena nota-se que a SCTIE solicitou a primeira avaliação e a segunda avaliação foi realizada pela Biogen, empresa farmacêutica fabricante do Nusinersena. Capucho e colaboradores (2022), realizaram uma análise comparativa sobre as incorporações de medicamentos oncológicos e do Componente Especializado entre 2017 e 2020 e encontraram que, de um total de 83 processos de incorporação de medicamentos que obtiveram parecer favorável da CONITEC para

incorporação, 48 (57,83%) eram provenientes de demanda externa ao SUS e 35 (42,17%) eram de instituições do próprio sistema, como as secretarias que compõem o Ministério da Saúde do Brasil, o que demostra que tem havido maior interesse da agentes externos, como a indústria farmacêutica, em incorporar seus produtos ao SUS.

Na avaliação econômica realizada pela CONITEC em 2018 foi estimado que o impacto orçamentário decorrente da incorporação do Nusinersena para AME tipo I poderia variar de R$ 380 milhões a mais de R$ 2,85 bilhões para os cinco primeiros anos após a incorporação. Enquanto a avaliação de 2019 estimou um gasto de R$122,6 a R$217,1 milhões no primeiro ano após a incorporação de medicamento. No quinto ano, o impacto financeiro para o SUS poderia variar entre R$ 359,3 e R$ 456,8 milhões e finalmente considerou para o total acumulado em cinco anos, uma previsão variando de de R$ 1,2 milhões a mais de R$ 1,6 bilhão.

Sobre o número de participações, a consulta técnica de 2018 apresentou um número de contribuições 42% maior que a de 2019 (847 e 494 respectivamente). Em ambas as consultas analisadas o maior número de participações foi observado entre os atores identificados como “interessados no tema” (44% em 2018 e 41,9% em 2019). Neste sentido, é fundamental que na ATS seja considerada em conjunto com evidências científicas e outras estratégias de contribuições sociais para o processo de ATS. Ao realizar estudos que analisem uma consulta pública, é importante observar cuidadosamente todos os atores envolvidos e as diversas perspectivas e dimensões associadas ao medicamento, para garantir uma análise isenta e que possa verificar a influência das participações nas mudanças das políticas públicas.

Quadro 1: Caracterização dos relatórios das consultas públicas 045/2018 e 012/2019 para AME tipo 1 segundo período da consulta, demandante, número de contribuições e parecer de recomendação inicial e final.

ASPECTOS ANALISADOS	CPTEC0452018	CPTEC0122019
Período da consulta	29/08/2018 e 17/09/2018	19/03/2019 e 28/03/2019
Demandante	Secretaria de Ciência e Tecnologia do Ministério da Saúde – SCTIE.	Biogen
Nº total de contribuições	36.972	41.787
Nº de contribuições técnicas	847	494
Recomendação inicial	Recomendação de não incorporação no SUS de Nusinersena para o tratamento de crianças com AME 5q tipo I.	Recomendação preliminar favorável à incorporação no SUS do Nusinersena para o tratamento da AME 5q tipo I vinculado a condicionantes relativos à idade do paciente, tempo de diagnóstico, acompanhamento em centros de referência, publicação de PCDT e doação das primeiras 3 doses pelo fabricante.
Recomendação final	Não houve publicação de relatório final de recomendação.	Recomenda a incorporação no SUS do Nusinersena para AME 5q tipo I, para pacientes com diagnóstico genético confirmatório que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente contínua (24 horas por dia), com condicionantes.

Fonte: elaboração própria.

Para realizar a identificação dos atores sociais envolvidos nas CP elaborou-se o quadro 2 onde verificou-se que os que apresentaram mais representatividade nas contribuições foram os grupos de “interessados no tema” e “familiar, amigo ou cuidador”. Somados, esses grupos aparecem num total de 631 participações em 2018 (74,5%) e 384 (77,7%) em 2019, apesar das CP analisadas possuírem o caráter técnico.

Quadro 2: Distribuição dos participantes identificados nas consultas públicas técnicas CPTEC0452018 e CPTEC0122019 para AME tipo 1.

ATOR SOCIAL (PARTICIPANTE)	PARTICIPAÇÕES CPTEC0452018	%	PARTICIPAÇÕES CPTEC0122019	%
Paciente	11	1,4%	6	1,21
Familiar, amigo ou cuidador	258	30,5%	177	35,8

Profissional de saúde	200	23,6%	100	20,2
Interessado no tema	373	44%	207	41,9
Empresa	1(excluída)*	0,12%	0	0
Empresa fabricante da Tecnologia avaliada	1	0,12%	1	0,20
Grupos/associação/ Organização de paciente	3	0,35%	3	0,69

Fonte: elaboração própria. * Para a constituição do corpus textual da CPTEC0452018 foi excluída a participação do ator identificado como "Empresa" pois, durante a leitura flutuante do documento, verificou-se que suas respostas não correspondiam ao medicamento Nusinersena e versavam sobre a incorporação de fármacos hipoglicemiantes.

O quadro 3 apresenta a caracterização dos *corpora* analisados. A partir das contribuições das CPs foram produzidos dois *corpora* para análise pelo Iramuteq. O *corpus* relativo à CPTEC0452018 foi constituído por 6 (seis) textos, com 2.191 segmentos de texto (ST) e aproveitamento do *corpus* de 90,96%. A CPTEC0122019 constitui-se de 8 (oito) textos, obtendo-se 559 ST e aproveitamento de 80,68% do *corpus*, resultados compatíveis com os padrões de qualidade da análise estabelecidos pelo manual do *software* (CAMARGO e JUSTO, 2013; CAMARGO, 2016).

Quadro 3: Caracterização dos *corpora*.

Corpus	**Nº de textos**	**Nº de ST**	**Nº de Ocorrências**	**Nº de formas de palavras**	**Nº de lemas**	**Nº de formas ativas**	**Nº de palavras suplementares**	**Nº de Hápax**	**Classificação ST**
CPTEC 0452018	6	2191	78486	7068	4756	4349	392	3066	1993
CPTEC 0122019	8	559	20146	2657	1932	1699	221	1470	451

Fonte: Organizado pelas autoras a partir dos dados obtidos na análise do software Iramuteq.

Legenda: Nº de Textos: número de textos que compõe o corpus; Nº de ST: número de fragmentos de segmentos de texto identificados pelo software com base no número de textos; Nº de Ocorrências: número total de ocorrências de palavras; Nº de Formas de Palavras: número de formas de palavras presentes no texto; Nº de Lemas: número de tipos relacionados a palavras-chave; Nº de Formas Ativas: as principais palavras do corpus Nº de Palavras Suplementares: palavras consideradas suplementares no corpus; Nº de Hápax: palavras que aparecem apenas uma vez em todo o corpus; Classificação ST: número de segmentos de texto usados pelo software.

A análise CHD dos *corpora* das CP gerou 3 classes com duas partições em cada análise, respectivamente. No *corpus* da CPTEC0452018 foram agrupadas as classes 1 e 2 na primeira partição, ficando a classe 3 em separado, o que significa dizer que as palavras que compuseram o sentido das classes 1 e 2 nesta análise, apresentam similaridade léxica, enquanto aquelas que faziam parte da classe 3 apresentavam sentido léxico mais distante das outras classes da primeira partição. Na CPTEC0122019 a primeira partição do corpus agrupou as classes 2 e 3 e a segunda partição gerou apenas a classe 1. Utilizando os dados fornecidos pela análise CHD do Iramuteq foram elaborados os quadros 4 e 5 que apresentam os dendogramas produzidos pela análise para descrever os sentidos das classes geradas.

Quadro 4: Dendograma da análise CHD aplicada no *corpus* da CPTEC0452018 relativa a análise de incorporação de Nusinersena segundo tipo de participante.

CONSULTAS PÚBLICAS	**DENDOGRAMA**								
Classes	**Classe 1 (49,1% ST) Posicionamentos dos atores relacionados às evidências científicas da doença e tratamento p<000,1**			**Classe 2 (43,2% ST) Posicionamentos dos atores relacionados às evidências cientificas e ao direito e acesso ao tratamento p<000,1**			**Classe 3 (7,7% ST) Posicionamentos dos atores relacionados ao custo do tratamento e prioridades de financiamento de procedimentos no SUS p<000,1**		
	Palavra	%	X²	Palavra	%	X²	Palavra	%	X²
CPTEC0452018	Estudo	92,14	192,03	Vida	74,85	178,25	Cirurgia	84,62	329,82
	Relatório	92,44	95,23	Direito	85,9	455,93	Processo	76,09	217,88
	Avaliação	94,12	72,09	Criança	71,68	107,26	Sexo	71,05	308,61
	Motor (neurônio)	85,48	70,15	Liberar	98,65	89,24	Federal	75,76	217,81
	Análise	100	55,41	Medicamento	62,69	77,92	Teto	85	169,19
	Nusinersena	71,88	52,51	Salvar	96,61	70,68	Serviço	64,71	157,5
	Desfecho	100	46,9	Discor_total	94,75	510,13	Emenda	100	156,26
	Clínico	80,61	41,09	Governo	80	52,02	Mudança	85,97	146,52
	Terapêutico	95,6	40,88	Pagar	97,62	51,78	Transexualizador	100	144,17
	Eficácia	81,8	39,5	Acompanhar	87,3	51,56	Requisito	92,86	143,31
Variáveis significativas	Profissionais de saúde (p<0,0001) e Associação de pacientes (p<0,0001).			Interessados no tema(p<0,0001); Familiares, cuidadores e amigos (p<0,0001); pacientes (NS 0,6126).			Familiares, cuidadores e amigos (p<0,0001).		

Quadro 5: Dendograma da análise CHD aplicada no *corpus* da CPTEC0122019 relativa à análise de incorporação de Nusinersena segundo tipo de participante.

CONSULTAS PÚBLICAS	**DENDOGRAMA**		
Classes	**Classe 1 (38,6% ST)** **Posicionamentos dos atores relacionados às evidências científicas da doença e tratamento** **p<000,1**	**Classe 2 (29,9 % ST)** **Posicionamentos dos atores que evidenciaram aspectos simbólicos do tratamento medicamentoso** **p<000,1**	**Classe 3 (31,5% ST)** **Posicionamento dos atores relacionados às evidências cientificas e ao direito e acesso ao tratamento** **p<000,1**

	Palavra	%	X²	Palavra	%	X²	Palavra	%	X²
	Estudo	93,88	70,94	Preliminar	44,53	70,88	Amplo	99,99	241,68
CPTEC012201 9	Motor (neurônio)	93,33	40,66	Criança	62,63	64,64	Restrição	86,89	237,94
	Nusinersena	87,5	25,6	Recomendação	42,16	56,26	Bula	89,38	234,27
	Resultado	89,47	21,68	Concor_parcial	45,06	52,62	Incorporação	86,24	199,76
	Respiratório	89,47	21,68	Discor_parcial	90,91	19,99	Seguir	92,39	198,74
	Considerar	100	21,31	Tratado	88,89	47,59	Dever	60,94	134,43
	Eficácia	88,89	20,02	Concor_total	50,47	17,71	Direito	70,17	132,11
	Melhora	70,73	19,67	Esperança	100	16,64	Idade	55,09	107,09
	Diagnóstico	80	19,15	Independente	69,44	29,12	Recomendação	47,39	92,51
	Função (motora)	100	17,95	Portador	67,86	20,74	Preliminar	47,08	78,71
Variáveis significativas	Profissionais de saúde (p>0,0001); Associação de pacientes (p>0,0001) e sociedades médicas (p>0,0001)			Interessados no tema (p>00614); Familiares, cuidadores e amigos (p>00211); pacientes (p>0013).			Interessados no tema (p>0001); Familiares, cuidadores e amigos (p>00035).		

Fonte: Organizado pelas autoras a partir dos dados obtidos na análise do *software* Iramuteq.

Classe 1 (CPTEC0452018 e CPTEC0122019) - Posicionamentos dos atores relacionados às evidências científicas da doença e tratamento.

A classe 1 do *corpus* da CPTEC0452018 foi responsável por 49,1% dos segmentos de texto analisados (ST) e na CPTEC0122019 a mesma classe incluiu 38,6% dos ST. As palavras com maior frequência e valor de *qui*-quadrado nas duas análises apresentaram semelhança a exemplo de estudo, eficácia, neurônio. A variável significativa na análise de 2018 foi de "profissionais de saúde" e "associação de pacientes" (quadro 4); na avaliação de 2019 as mesmas variáveis foram observadas além da variável "sociedades médicas" (quadro 5) ($p > 0,001$).

O sentido expresso em ambas as classes apresentou posicionamentos dos atores relacionados às evidências científicas da doença e do tratamento. Em geral, os argumentos identificados nos excertos ressaltavam os resultados positivos relacionados à experiência clínica dos médicos ou resultados positivos com o uso do medicamento observado nos pacientes. Chama a atenção que expressões como "evidências de mundo real", "estudos de mundo real" e "casos de mundo real" surgiram em vários excertos e tais expressões remetem a informações referentes aos serviços e à assistência à saúde coletadas de forma observacional (prospectiva ou retrospectivamente), fora do âmbito de estudos clínicos com desenhos experimentais (COCHRANE, 2021).

> considerando que o teste do remédio obteve o efeito de melhora em 50% dos pacientes de AME e estabilização da doença nos outros 50% a eficácia deve ser tratada como sucesso já que a doença é progressiva e a expectativa de vida pode ser aumentada sensivelmente com o tratamento. (Familiar, amigo ou cuidador _CPTEC045/2018)

> já existe evidência clínica suficiente que respalde a prescrição do medicamento para esses grupos excluídos no parecer atual da CONITEC. Estudo publicado por Karolina Aragon Gawiska e colaboradores em 2018 mostrou que a aplicação do Nusinersena em pacientes maiores de 8 meses demonstrou ganhos na evolução motora. (Profissional de saúde_CPTEC012/2019)

Na análise da CPTEC0122019, alguns discursos sugeriram a utilização de outros critérios da análise de incorporação da CONITEC distintos daqueles da medicina baseada em evidências. Os participantes propõem que a CONITEC considere em sua análise as particularidades das doenças raras e seu tratamento. Na análise de Iriart (2019) foi observado o crescente investimento em pesquisa na medicina personalizada ou de precisão, que busca customizar a prática médica com foco no indivíduo baseando-se na utilização de testes genéticos, identificação de biomarcadores e desenvolvimento de medicações alvo, sendo este conceito bastante próximo das doenças raras de origem genética como a AME.

> Não seria possível esperarmos estudos com metodologia semelhante aos realizados para doenças comuns como hipertensão arterial diabetes etc. Portanto estudos ditos no mundo real também devem ser considerados especialmente quando já se tem resultados positivos de estudos controlados duplo cego já publicados. (Sociedades médicas_CPTEC012/2019)

Embora as recomendações iniciais sobre a incorporação do Nusinersena das CP de 2018 e 2019 fossem diferentes (recomendação de não incorporação e de incorporação vinculada a condicionantes tais como idade e tipo de AME, respectivamente) observaram-se contribuições dos diferentes participantes das CP que se posicionavam a favor da inclusão do Nusinersena pela CONITEC com argumentos baseados na eficácia do medicamento medida pelos estudos de mundo real, especialmente na CP de 2019. Assim, o sentido da classe se sustentou em argumentos que buscavam evidenciar aspectos da doença – como faixa etária, mudança do curso natural da doença, melhoria de qualidade de vida – e aspectos do tratamento – como medicamentos e terapia multidisciplinar, redução de custos da terapia – ademais observaram-se argumentos que incluíam a exemplificação do resultado positivo do uso do medicamento a partir de evidências de menor relevância como os estudos de caso.

Observou-se ainda argumentos apresentados pelos participantes das CP de 2018 e 2019 que incentivavam uma relativização da medicina baseada em evidências, critério utilizado pela CONITEC em suas avaliações, que busca reunir a melhor evidência clínica disponível proveniente de investigação sistemática para realizar a tomada de decisões sobre o tratamento de um paciente. Por outro lado, os participantes destacaram a necessidade de incorporar ao processo de decisão da CONITEC evidências do mundo real, argumento compatível com a medicina de precisão ou personalizada que defende a customização do tratamento considerando as características biológicas individuais ou de subgrupos da população, como no caso das doenças raras (IRIART, 2019).

A abordagem da medicina personalizada, que se baseia na identificação das características genéticas do paciente, promete oferecer o medicamento preciso, na dose exata e no momento certo. Esta abordagem propõe tornar a prática médica mais eficiente e reduzir custos da atenção médica pois, seus defensores consideram que a abordagem médica tradicional do modelo único de diagnóstico e tratamento de doenças é ineficiente, tem custo elevado e pode produzir efeitos adversos dos medicamentos. Adicionalmente, estimula maior participação dos pacientes em seu processo terapêutico de modo que contribuam com a geração e interpretação de seus próprios dados (IRIART, 2019).

Contudo, a contribuição da medicina de precisão para a saúde pública, tem sido alvo de questionamentos. Existem críticas e preocupações acerca dos impactos na pesquisa e

prática médica além da sustentabilidade dos sistemas de saúde devido ao elevado custo das novas tecnologias (IRIART, 2019; JOYNER e PANETH, 2015).

Classe 2 (CPTEC0452018) e classe 3 (CPTEC0122019) – Posicionamento dos participantes relacionados às evidências cientificas e ao direito e acesso ao tratamento.

As classes 2 da CPTEC0452018 (43,2% dos ST analisados) e a classe 3 da CPTEC0122019 (31,5% ST) apresentaram sentidos semelhantes. A variável significativa na análise foi “Interessados no tema”, “familiar, amigo ou cuidador” e “pacientes”. As palavras criança, liberar, salvar, governo, pagar foram relevantes na composição do sentido da classe ($p > 0,001$).

Ressalte-se que em 2018 a recomendação inicial da CONITEC foi de não incorporação do Nusinersena justificada especialmente pela avaliação farmacoeconômica e pela escassez e qualidade dos estudos apresentados. A CONITEC considerou as evidências clínicas apresentadas frágeis e que os resultados obtidos com o tratamento no ensaio clínico principal não demonstraram aumento de sobrevida para além da expectativa de vida esperada para crianças com a doença. A análise de custo-efetividade, considerou que o medicamento não apresentava resultados clínicos condizentes com o preço praticado para o medicamento no Brasil e a análise de impacto orçamentário, que previa gastos na ordem de R$ 1 bilhão, evidenciando ainda que a incorporação de Nusinersena poderia comprometer a sustentabilidade do SUS.

A despeito dessas considerações explicitadas pela CONITEC em 2018, uma nova avaliação é solicitada em 2019 e as consultas públicas realizadas nos dois momentos apresentaram argumentos relacionados ao direito de acesso ao medicamento, em contraponto aos aspectos econômicos apresentados nos pareceres iniciais da CONITEC.

> É um direito constitucional, é direito a vida o que causa impacto orçamentário é a corrupção salários altíssimos injustificáveis e falta de humanidade nas pessoas que governa ou assessoram esse país vergonhoso chamado Brasil. (Familiar, amigo ou cuidador_CPTEC 045/2018)
>
> Peço a gentileza que considerem, pois se todos pagamos é para ter direito a viver. Nos ajude sabemos que o laboratório fez proposta de melhor preço liberem por favor. (Familiar, amigo ou cuidador_CPTEC0122019)

A participação de atores sociais não especialistas em CP podem fornecer pontos de vista significativos sobre determinadas questões de saúde, mas também podem representar conflitos de interesses. Segundo McCoy et al. (2017), das 104 organizações de pacientes mais

influentes nos Estados Unidos, 83% recebem financiamento da indústria farmacêutica e 36% têm um membro da indústria em seu conselho executivo.

Em 2019 as palavras, amplo, bula, direito, dever, incorporação, seguir, idade e recomendação informam que o sentido da classe destacou argumentos dos atores sobre a necessidade do seguimento da bula do medicamento e do registro na ANVISA, que não limitava a idade de uso, nem o tipo de AME, além de abordar questões relativas ao acesso amplo e ao cumprimento do direito à saúde previsto na Constituição Federal e o dever do Estado em garanti-lo.

Chama a atenção que o parecer do relatório de recomendação inicial da CPTEC0122019 elencou como condicionantes para a incorporação do Nusinersena a exigência de diagnóstico genético confirmatório; a restrição a pacientes menores de 7 meses de vida e com início de tratamento até 13 semanas após o diagnóstico; e a doação pelo fabricante das três primeiras doses do tratamento. O sentido da classe 3 da CPTEC0122019, se expressa especialmente em discordância do parecer da CONITEC e a incorporação do Nusinersena nos moldes propostos na recomendação inicial sob a alegação de que os critérios de inclusão resultariam em restrição do acesso e negação do direito a saúde. As variáveis significativas foram compostas por participantes identificados nos grupos de “Interessados no tema” e “familiar, amigo ou cuidador”.

> CF 1988 diz a saúde é direito de todos e dever do estado garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção proteção e recuperação. (Interessado no tema_CPTEC0122019)

> A incorporação deve ser ampla seguindo a recomendação da bula não fazendo restrições ao tipo de AME ou idade do paciente todos tem direito ao tratamento. (Interessado no tema_CPTEC0122019)

Observa-se que a classe 2 (CPTEC0452018) busca apresentar evidências científicas a fim de justificar que há um cerceamento do direito de acesso ao medicamento diante da negativa de incorporação do Nusinersena naquele momento. Enquanto a classe 3 (CPTEC0122019) aborda as questões relativas ao direito e ao acesso ao medicamento, na perspectiva do direito constitucional à saúde previsto no Art. 196 da CF, onde o direito à saúde foi interiorizado como um direito fundamental e dever do Estado, garantido mediante a implementação de políticas públicas que permitam o acesso universal e integral às ações e serviços do Sistema Único de Saúde. No Brasil, o acesso gratuito à assistência terapêutica

integral por meio do SUS é direito de todos os cidadãos garantido pelo art. 6º da Lei nº 8.080/90, que regulamenta o princípio da universalidade (BRASIL, 1990).

Neste contexto, buscando discutir o tratamento de doenças raras no Brasil, D'Ippolito e Gadelha (2019) debatem que dada a abrangência do Complexo econômico e Industrial da Saúde, que envolve desde as pesquisas científicas até as atividades de comercialização, deve-se buscar fundamentos relacionados a base produtiva e de inovação para que o SUS avance na incorporação de tecnologias de maneira organizada e abrangente, sem se afastar de um enfoque racional e sistêmico. Refletem ainda que medidas de acesso que se distanciam deste enfoque, podem acarretar consequências sob o âmbito orçamentário, o que pode limitar o desenvolvimento em longo prazo do sistema de saúde.

Classe 2 (CPTEC0122019) - Posicionamentos dos participantes que evidenciaram aspectos simbólicos do tratamento medicamentoso

A classe 2 do *corpus* da CPTEC0122019 incluiu 29,9 % dos segmentos de texto analisados. Destacaram-se as palavras criança, recomendação, esperança, portador. A variável significativa foi de "familiares, cuidadores e amigos" e "pacientes" (quadro 5).

Na segunda avaliação de incorporação realizada em 2019, a recomendação preliminar foi favorável à incorporação do Nusinersena ao SUS para o tratamento da AME 5q tipo I atribuídos os seguintes condicionantes: pacientes com menos de 7 meses de vida, com início de tratamento até 13 semanas após o diagnóstico e com diagnóstico genético confirmatório; atendimento em centros de referência com a disponibilização de cuidados multidisciplinares; protocolo clínico e diretrizes terapêuticas (com estabelecimento de critérios de inclusão, exclusão e interrupção); avaliação da efetividade clínica; reavaliação pela CONITEC em 3 anos; e doação pela empresa fabricante das 3 primeiras doses do tratamento de cada paciente. Neste sentido, há um posicionamento de discordância dos participantes da CPTEC0122019 que expressaram que a incorporação deveria ser ampla e o medicamento disponibilizado a todos os pacientes com diagnóstico de AME 5q, independentemente do tipo e estágio da doença.

> A medicação deve ser disponibilizada as crianças portadoras de tal doença independentemente de faixa etária uma vez que é uma doença grave que pode levar a óbito quase ninguém será tratado com a decisão preliminar já proferida. (Interessado no tema_CPTEC012/2019

> A idade de 7 meses conforme constante no relatório restringe significativamente a quantidade de pacientes que podem ser beneficiados pelo

> tratamento cuja eficácia é comprovada cientifica e empiricamente não concordo parcialmente da recomendação preliminar. (Interessado no tema_CPTEC012/2019)
>
> Concordo parcialmente da recomendação preliminar com esse limite absurdo de 7 meses quase ninguém será tratado com o medicamento. (Familiar, amigo ou cuidador_CPTEC012/2019)

Destaca-se que as palavras “esperança” e “medicamento” expressam a dimensão simbólica do medicamento em que o produto farmacêutico é percebido como um objeto da ciência, mas que também como recurso capaz de melhorar a qualidade de vida dos indivíduos.

> Ela é a única esperança que temos de ver nossas crianças terem qualidade de vida em nome de jesus eu imploro não tirem das nossas crianças o direito à vida que é tão sagrado. (Familiar, amigo ou cuidador_CP012/2019)
>
> Imagina você, que barra, a criança a ter esse medicamento, se imagine igual uma estátua sem poder ao menos coçar a cabeça porque não consegue se movimentar. Ajudar faz bem e espero que essa realidade de famílias que lutam contra a AME, mude. (Interessado no tema_CPTEC012/2019)

Objetos sociotécnicos como os medicamentos industrializados, envolvem perspectivas para além do simbólico, uma vez que um dos principais pressupostos é a existência comprovada de sua composição a partir de um princípio ativo. A eficácia da molécula que se converte em medicamento através de um processo de socialização é, com efeito, um dos principais pontos de sustentação do dispositivo criado para a produção de medicamentos pela indústria farmacêutica contemporânea (PIGNARRE, 1999).

Para Giovanni (1980) o sentido do medicamento é influenciado pelas relações de produção, divulgação e consumo dos medicamentos numa mesma lógica que reproduz a sociedade capitalista. Pignarre (1999) afirma que o medicamento está inserido em um conjunto de atividades que promovem a sua existência e manutenção no mercado e na sociedade, o que lhe confere o *status* de mercadoria. Essas atividades abrangem, em geral, a pesquisa e o desenvolvimento do medicamento, a produção, seleção para uso nas populações conforme critérios específicos, a distribuição (aos mercados, serviços de saúde e indivíduos) e o consumo (compreendendo a prescrição, a dispensação, o uso e o descarte adequado) (ARAÚJO, 2016).

Adicionalmente, os discursos dos atores participantes da CPTEC0122019 destacaram o papel singular do Nusinersena como única forma de tratamento farmacológico disponível para pacientes com AME e que representaria a única esperança de melhor qualidade de vida aos pacientes, independentemente da idade ou tipo de AME diagnosticada. Oliveira (2011)

refere que os medicamentos em sua dimensão simbólica e cultural compreendem a experiência subjetiva e individual dos usuários de medicamentos pois, ela influencia as atitudes e decisões sobre a utilização de seus medicamentos, bem como deve-se considerar que essa experiência pode influenciar a percepção sobre os pretensos benefícios e riscos dos tratamentos disponíveis.

Classe 3 (CPTEC0452018) – Posicionamentos dos participantes relacionados ao custo do tratamento e prioridades de financiamento de procedimentos no SUS.

A classe 3, responsável por 7,7% dos ST analisados na CPTEC0452018, destacou as palavras cirurgia, processo, transexualizador, serviço, mudança, teto (de gastos). A variável significativa foi de "familiar, amigo ou cuidador" ($p > 0,001$).

Chama a atenção na composição do sentido desta classe os argumentos dos atores sobre a discordância da recomendação inicial da CONITEC, ressaltando como comparação o investimento realizado na disponibilização do processo transexualizador no SUS e o impacto orçamentário previsto para a incorporação do Nusinersena.

> Acredito que temos muitas condições econômicas, pois se temos para fazer cirurgia de mudança de sexo, temos para salvar vidas. (Familiar, amigo ou cuidador_CPTEC045/2018)

Observou-se também argumentos de que os custos do tratamento superiores ao teto de gastos seriam cobertos pela indústria Biogen. As sugestões inclusive recomendavam que o número de pacientes utilizando o medicamento fosse fornecido à indústria pelas associações.

> O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos acima deste teto. (Familiar, amigo ou cuidador_CP045/2018)

Chama a atenção que o excerto acima destacado aparece repetidamente na composição do *corpus.* O estudo realizado por Soares e Deprá (2012) ressalta que existem indicações de que o setor farmacêutico possa estar empregando novas estratégias para influenciar a utilização de medicamentos inovadores, incluindo os experimentais, no tratamento de diversas doenças, por meio do incentivo à impetração de ações judiciais como forma de acesso aos novos fármacos ou da pressão por sua entrada nos protocolos clínicos aprovados para inserção no SUS. A estratégia seria a de apresentar os produtos aos pacientes e seus familiares como a melhor tecnologia e, em alguns casos, como a única forma possível de tratamento, muitas vezes estimulado pelos próprios médicos. Os elementos encontrados na análise das autoras

apontaram para uma possível ação dos fabricantes de medicamentos por meio da influência que exercem junto a associações de pacientes.

Observou-se que apesar do argumento repetido pelos participantes da CPTEC0452018 de que os custos que excedessem o teto de gastos seriam cobertos pela Biogen, não identificou-se qualquer posicionamento da fabricante na CP a respeito da questão no *corpus* analisado.

A despeito das possíveis contrapartidas que poderiam ser ofertadas pela indústria fabricante de Nusinersena, CAETANO (2019) em um estudo que analisou a incorporação de Nusinersena ao SUS destacou que o relatório preliminar de março de 2019 (avaliação na qual a Biogen era o demandante) adicionava como um dos condicionantes para a incorporação, a doação de três frascos por paciente, e as avaliações econômicas e de impacto orçamentário realizadas pela CONITEC foram conduzidas tomando-se por base um preço de R$ 145 mil por frasco, e reflete sobre a evolução dos acontecimentos após a segunda consulta.

Aos analisarmos a contribuição do demandante a CPTEC0122019 observa-se que seu posicionamento é contrário à recomendação preliminar da CONITEC. O principal motivo da discordância foi a definição de critérios de elegibilidade para o tratamento com Nusinersena em caso de incorporação. A empresa argumentou que *"o medicamento promove alto impacto na qualidade de vida de pacientes com AME 5q, independente do fenótipo, e que existe a necessidade de disponibilizar um tratamento efetivo e seguro a essa população"*.

> Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Biogen discorda veementemente da recomendação preliminar e defende a incorporação para AME 5q sem qualquer restrição, com base no alto impacto na qualidade de vida que a doença traz a pacientes com AME 5q de todos os fenótipos, no programa clínico robusto e abrangente ao qual nusinersena foi submetido e na necessidade de se disponibilizar um tratamento efetivo e seguro à população que vive com a doença.

A Biogen juntou à sua contribuição a CP um anexo com argumentações à recomendação da CONITEC e finalizou sua contribuição dizendo que:

> "(...) *não foi consultada e tem importantes questionamentos relacionados ao modelo sugerido pelo relatório da CONITEC (fornecimento de três frascos sem custo). Entendemos que esse modelo não faz sentido frente à indicação restritiva que a recomendação apresenta, além disso, os modelos de mitigação de impacto financeiro necessitam ser amplamente discutidos no sentido de garantir transparência, equilíbrio e efetividade tanto para o SUS quanto para o fornecedor. Sobre o preço proposto para incorporação, cabe ratificar que o mesmo foi ofertado mediante a incorporação de Nusinersena para todos os pacientes com AME 5q, de forma que haja critérios muito bem estabelecidos que garantam o adequado acesso e manutenção do*

> *tratamento, protegendo o direito e a segurança do paciente à manutenção do tratamento. Qualquer recomendação que restrinja o acesso ou não contemple a indicação de bula do medicamento, conforme aprovado pela ANVISA, requererá nova negociação.*"

Diante deste posicionamento, infere-se que não havia a possibilidade de cobertura do teto de gastos pela indústria como repetido em participações na CPTEC0452018.

Tamachiro (2022) abordou em seu estudo que uma recente revisão integrativa comparou o acesso a medicamentos em quatro sistemas universais de saúde e destacou a comum dificuldade na incorporação de medicamentos de alto custo com viabilidade econômica. Nesse sentido, ressaltou que é necessário realizar a regulação do preço dos medicamentos para garantir a sustentabilidade do sistema, sendo a indústria farmacêutica fortemente influente nesta definição. Além disso, destacou que estudos prévios demonstraram que a indústria tem importante participação na gestão das tecnologias fornecidas pelo SUS, por meio da submissão de demandas à CONITEC.

Ressalte-se que as contribuições realizadas na CPTEC0452018 pelos "familiares, amigos ou cuidadores" incluíram argumentos de natureza predominantemente técnica tais como, a análise do teto de gastos e o impacto orçamentário da incorporação do Nusinersena. Chama a atenção que este argumento não foi observado entre os demais atores como "profissionais de saúde" e "sociedades médicas" o que pode sugerir possível influência da indústria nas participações da CP.

Há um consenso na apresentação dos sentidos das classes que versa sobre a questão da natureza das evidências, onde é abordada a distinção de critérios para doenças raras. Os posicionamentos concordam ainda quanto ao acesso amplo, independentemente do tipo de AME e da idade do paciente, aspecto que também aparece na CPTE0452018, onde a recomendação foi totalmente desfavorável a incorporação.

CONSIDERAÇÕES FINAIS

Este estudo abordou participação social no SUS por meio da análise de consultas públicas e como um instrumento de modificar a efetivação de uma política pública no caso concreto analisado a disponibilização de tratamento para uma doença rara que é a AME, identificando os atores sociais envolvidos, suas contribuições, disputas e interesses identificados nas consultas. Consolidando que a incorporação de medicamentos pode ser considerada um fato político a partir do referencial teórico utilizado.

A análise das consultas públicas técnicas realizadas em 2018 e 2019 para a incorporação de Nusinersena ao SUS, permitiu observar importantes movimentações relacionadas à recomendação inicial desfavorável a incorporação de Nusinersena pela CONITEC. Esta decisão contribuiu para a participação expressiva de pessoas, especialmente aquelas identificadas como “interessados no tema” e “familiares, amigos ou cuidadores”, mesmo em uma consulta públicas de caráter técnico.

O posicionamento contrário à recomendação inicial da CONITEC, predominou nas consultas, seja sobre a recomendação de não incorporação em 2018, ou pelos condicionantes adicionados a recomendação de 2019. O medicamento representava uma esperança de qualidade de vida e recuperação das capacidades motoras dos pacientes com AME, resultados não alcançados com outras terapêuticas que, na análise dos atores sociais participantes, justificava a incorporação do medicamento ao SUS, mesmo diante do grande impacto orçamentário avaliado.

O engajamento de participantes não especialistas é relevante para o processo de ATS considerando que o compartilhamento de experiências com os responsáveis pela decisão contribui com a democratização das participações. Cabe, no entanto, ressaltar as limitações e consequências do engajamento público a exemplo dos conflitos de interesses intelectuais e financeiros e ainda envolvimentos com a defesa da causa pois, isso pode afetar a capacidade de examinar as evidências. Porém tais limites não representam que essas contribuições sejam desprezadas, ao contrário, há que se estimular e considerar estas contribuições em conjunto com as demais evidencias. É relevante estimular que as participações sejam frequentes, democráticas e transparentes.

Outro aspecto a se considerar relaciona-se com o tipo de regulação econômica indireta realizada pela CONITEC. Embora a regulação de preços seja a estratégia de regulação do mercado de medicamento mais evidente, o uso de procedimentos fármaco econômicos decidem sobre a racionalidade, a eficiência e sustentabilidade financeira que a incorporação do medicamento terá no SUS. Assim, é importante perceber o crescente aumento do interesse do segmento produtivo de medicamentos em influenciar nessa dinâmica. A indústria pode tensionar pelo *lobby* sobre os atores com poder de influenciar as decisões da CONITEC e pelo uso de estratégias de negociação de preços (RÊGO, 2000; TOBAR, DRAKE, MARTICH 2012).

Analisadas as questões farmacoecocômicas, no caso da AME 5q tipo I, os relatórios da CONITEC de agosto de 2018 e de março de 2019 diferem pouco em relação às evidências utilizadas, mencionando um ensaio clínico controlado randomizado (ECCR), um ensaio

controlado aberto e três coortes de seguimento. Três estudos prospectivos só foram incluídos no último relatório de 2019. A avaliação da qualidade metodológica é também muito semelhante nos dois documentos, com o ensaio aberto e duas coortes sem poderem ser avaliadas por ser tratarem de resumos de congresso, a qualidade do ECCR considerada moderada e a das demais coortes, baixa. A principal peça de evidência é o ECCR fase III ENDEAR, publicado em novembro de 2017. Nenhuma nova evidência foi apresentada que justificasse a mudança de recomendação.

Outro ponto a ser destacado nesta análise é a utilização da medicina de precisão como uma abordagem que permite o desenvolvimento de medicamentos específicos para condições individuais e que pode representar um ganho na descoberta de novas terapias, especialmente para doenças raras. Apesar desses aspectos alguns pesquisadores questionam a medicina personalizada e criticam seus limites quanto a sua utilização no contexto da saúde pública.

Este estudo apontou para reflexões de que a mudança no perfil de recomendação da CONITEC sobre a incorporação de Nusinersena ao SUS pode ter sido justificada pela inclusão de critérios limitantes do acesso, uma vez que não houve incremento significativo das evidências científicas apresentadas e a incorporação condicionada a negociação de preço como o fabricante.

O uso do Iramuteq permitiu a realização de análises mais ágeis dos dados da CP. Entretanto desafios relacionados a elaboração e padronização do *corpus* bem como sua analise são limites a serem observados. Ademais, os relatórios de consulta pública apresentam limitações que devem ser observadas a exemplo da impossibilidade de registro na caracterização do participante de uma declaração de potencial conflito de interesse, além de provável impossibilidade de registro de comentários idênticos porquanto tais registros não representariam novos posicionamentos dos participantes da CP e apenas aumentam a frequência da mesma informação. Tais aspectos precisam ser observados pela CONITEC a fim de melhorar os resultados da participação nas CP.

REFERÊNCIAS

ALENCAR, TOS. Notas sobre definições de fato social, histórico e político: subsídios para análise política em saúde. Observatório de Análise Política em Saúde. 2016 set 17. [acesso em 2021 out 25]. Disponível em: http://www.analisepoliticaemsaude.org/oaps/documentos/pensamentos/147428574757dfd0b3e7102/

ARAÚJO, Patrícia Sodré. Política de Assistência Farmacêutica: a questão da atenção farmacêutica do SUS / Patrícia Sodré Araújo. -- Salvador: P.S. Araújo, 2016. 151 f.

Orientadora: Profa. Dra. Ediná Alves Costa. Tese (doutorado) – Instituto de Saúde Coletiva. Universidade Federal da Bahia.

BARDIN, Laurence. Análise de conteúdo Lisboa: Edições 70, 1977.

BRASIL. Constituição da República Federativa do Brasil: promulgada em 5 de outubro de 1988. Contém as emendas constitucionais posteriores. Brasília, DF: 1988. 11 Participação social na incorporação de tecnologias Silva AS et al. https://doi.org/10.11606/S1518-8787.2019053001420

BRASIL. Lei Nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. Brasilia, DF; 1990. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm

BRASIL. Lei Nº 8.142, de 28 de dezembro de 1990. Dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre as transferências intergovernamentais de recursos financeiros na área da saúde e dá outras providências. Brasília, DF; 1990. Disponível em: http://www.planalto.gov. br/ccivil_03/leis/L8142.htm

BRASIL. Lei Nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Altera a Lei Nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Brasília, DF; 2011 [citado 01 de junho de 2017]. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/lei/l12401.htm.

BRASIL. Decreto Nº 8.243, de 23 de maio de 2014. Institui a Política Nacional de Participação Social e o Sistema Nacional de Participação Social, e dá outras providências. Brasília, DF; 2014. Revogado pelo Decreto nº 9.759, de 2019

BRASIL. Portaria conjunta nº03, de 18 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201_PORTAL_Portaria_Conjunta_3_PCDT_AME_5q_Tipos_IeII.pdf Acesso em: 30/07/2022.

CONITEC. Relatório de recomendação. Agosto 2018. Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal 5q. Disponível em https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2018/relatrio_nusinersena_5q_tipo_i_2018_cp.pdf

CONITEC. Relatório de recomenda nº449, abril 2019. Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal 5q. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relatorio_Nusinersena_AME5q.pdf

CAMARGO, B. V.; JUSTO, A. M. IRAMUTEQ: um software gratuito para análise de dados textuais. Temas em Psicologia, v. 21, n. 2, p. 513-518, 2013.

CAMARGO, B.V., JUSTO, A.M. Tutorial para uso do software de análise textual

IRAMUTEQ. Brasil: Laboratório de Psicologia Social da Comunicação e Cognição – LACCOS. Universidade Federal de Santa Catarina; 2016.

CAPUCHO, H.C, BRITO, A, MAIOLINO A, KALIKS R.A., PINTO, R.P,. Incorporação de medicamentos no SUS: comparação entre oncologia e componente especializado da assistência farmacêutica. Ciênc saúde coletiva [Internet]. 2022Jun;27(Ciênc. saúde coletiva, 2022 27(6)). Available from: https://doi.org/10.1590/1413-81232022276.16282021

CARVALHO, V.K.d., DE SOUSA, M.S.A., BARRETO, J.O.M. *et al.* Public engagement in health technology assessment in Brazil: the case of the Trastuzumab public consultation. *BMC Health Serv Res* **19**, 762 (2019). https://doi.org/10.1186/s12913-019-4555-6

COLLINS C.W., MOORE, N.S. Engaging patients in Public policy advocacy. In: ATS reports: health policy, AnnalsATS. Am Thoracic Soc. 2014;11(2):260–3

DELDUQUE, M.C, BARDAL, P.A.P., Advocacia em saúde: prática cidadã para a garantia do direito à saúde:o caso do Projeto de Lei Complementar nº 01/2003. Rev Direito Sanit. 2008;9(1):107-22. https://doi.org/10.11606/issn.2316-9044.v9i1p107-122

D'IPPOLITO, P. I. M. C., GADELHA, C. A. G. (2019). O tratamento de doenças raras no Brasil: a judicialização e o Complexo Econômico-Industrial da Saúde. Saúde Em Debate, 43(spe4), 219–231. https://doi.org/10.1590/0103-11042019S418

ECCLES, M.P., GRIMSHA,J.M., SHEKELLE, P, SCHÜNEMANN, H.J, Woolf S. Developing clinical practice guidelines: target audiences, identifying topics for guidelines, guideline group composition and functioning and conflicts of interest. Implement Sci. 2012;7:60.

FIOCRUZ. Pense SUS. Saúde de A a Z: Participação social. Disponível em: https://pensesus.fiocruz.br/participacao-social Acesso em: 31/07/2022.

IRIART, J.A.B. Medicina de precisão/medicina personalizada: análise crítica dos movimentos de transformação da biomedicina no início do século XXI. Cad Saúde Pública [Internet]. 2019;35(3):e00153118. Available from: https://doi.org/10.1590/0102-311X00153118

JOYNER, M., PANETG, N. Seven questions for personalized medicine. JAMA 2015; 314:999-1000.

MORAZ, G. et al. Estudos de custo-efetividade em saúde no Brasil: uma revisão sistemática. Ciência & Saúde Coletiva [online]. 2015, v. 20, n. 10 [Acessado 21 Agosto 2022] , pp. 3211-3229. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/1413-812320152010.00962015>. ISSN 1678-4561. https://doi.org/10.1590/1413-812320152010.00962015.

MCCOY, M.S,. et al. Conflicts of interest for patient advocacy organizations. N Engl J Med. 2017;376(9):880–5. Disponível em: Conflitos de interesse para organizações de defesa do paciente | NEJM

PARENTE, L.B de M. Participação social como instrumento para a construção da democracia: a intervenção social na administração pública brasileira In: SOUZA JR., José Geraldo de. Sociedade democrática, direito público e controle externo. Brasília: Tribunal de Contas da União. 2006.

NASCIMENTO, Yuri Yokoyama do; PASQUI, Daniel Maringelli. Evidências de mundo real (real-world evidence, RWE), 2021. Disponível em Evidências de mundo real (real-world evidence, RWE) - Estudantes para Melhores Evidências (cochrane.org)

PIGNARRE, Philippe. O que é o medicamento? Um objeto estranho entre ciência, mercado e sociedade. Tradução de Paulo Neves. São Paulo. Ed.34, 1999.

RAMALHO DE OLIVEIRA. Atenção Farmacêutica: Da filosofia ao gerenciamento da terapia medicamentosa. São Paulo. Editora Racine. 2011. 328 p.

REGÔ, E.C.L, (2000) "Políticas de regulação do Mercado de Medicamentos": a experiência internacional. Rio de Janeiro. Revista do BNDES, 7: 367-400.

SALVIATI, Maria Elisabeth. Manual do aplicativo Iramuteq. Planaltina. v. 3, 2017.

SILVA, A.S, SOUSA, M.S.A, SILVA, E.V, GALATO, D. Participação social no processo de incorporação de tecnologias em saúde no Sistema Único de Saúde. Rev Saúde Publica. 2019;53(109).

SOARES, J.C.R de S., DEPRÁ, A.S. Ligações perigosas: indústria farmacêutica, associações de pacientes e as batalhas judiciais por acesso a medicamentos. Physis [Internet]. 2012;22(Physis, 2012 22(1)). Available from: https://doi.org/10.1590/S0103-73312012000100017

TAMACHIRO, S. T. et al. A indústria farmacêutica interfere na sustentabilidade do sistema de saúde pública no Brasil? Uma reflexão sobre a pressão por incorporação de medicamentos. Cadernos de Saúde Pública [online]. 2022, v. 38, n. 7 [Acessado 15 Janeiro 2023], e00233321. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/0102-311XPT233321>. Epub 25 Jul 2022. ISSN 1678-4464. https://doi.org/10.1590/0102-311XPT233321.

TOBAR, F., DRAKE, I., MARTCHI, E. (2012) Alternativas para la adopción de políticas centradas en el acceso a medicamentos. Rev Panam Salud Publica;32(6) 457-463,dic. 2012. Retrieved from http://www.scielosp.org/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S1020-49892012001400010

VALLA, V. V. Sobre participação popular: uma questão de perspectiva. Cadernos de Saúde Pública [online]. 1998, v. 14, suppl 2 [Acessado 15 Janeiro 2023], pp. S07-S18. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0102-311X1998000600002>. Epub 30 Ago 2006. ISSN 1678-4464. https://doi.org/10.1590/S0102-311X1998000600002.

ARTIGO 2

TRAMAS POLÍTICAS DA INCORPORAÇÃO DO NUSINERSENA AO SUS: UM OLHAR A PARTIR DO MODELO DE COALIZÕES DE DEFESA.

PEREIRA, Catarine dos Santos; PENAFORTE, Thaís Rodrigues; ARAÚJO, Patrícia Sodré.

RESUMO

No Brasil, o Ministério da Saúde estabelece como medida para definição de doença rara, a ocorrência em até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos ou 1,3 a cada duas mil (BRASIL, 2014). São doenças consideradas como um importante problema de saúde pública, tanto pelo fato de serem negligenciadas, por muitos anos, pelos sistemas de saúde e indústrias farmacêuticas, quanto pelo encargo que geram para os pacientes acometidos e seu entorno (SCHIEPPATI et al, 2008). Incluem também formas infrequentes de câncer, doenças autoimunes, doenças infecciosas e/ou toxicológicas e deformidades congênitas (WHO, 2020). Os termos “doenças raras” e “medicamentos órfãos” surgiram nos Estados Unidos, como um desdobramento dos impactos regulatórios da Emenda Kefauver-Harris, de 1962, ao *Food, Drug and Cosmetic Act* (KRANTZ, 1966; PASCARELLI, PEREIRA, 2022). Afetam em torno de 3,5% a 5,9% da população mundial, e sua distribuição aproximada é de 300 milhões em todo o mundo, sendo 30 milhões na União Europeia, 25 milhões nos EUA e 13 milhões no Brasil. São doenças muitas vezes graves, incapacitantes e que cursam com risco de morte. Apenas 5% delas possuem tratamento medicamentoso (OLIVEIRA, 2022). Neste cenário de uma gama diversificada de doenças e escassas alternativas terapêuticas, foi registrado no Brasil (2017) o medicamento Nusinersena, com indicação para o tratamento da Atrofia Medular Espinhal (AME) 5q. Buscando compreender as diferentes conjunturas políticas, econômicas e sociais que se formaram durante a avaliação de incorporação de Nusinersena ao SUS em 2018 e 2019, realizou-se uma análise documental, orientada pela ACF, buscamos compreender quais os contornos da mudança decisória que levou à incorporação do Nusinersena pela CONITEC. A partir do modelo de coalizões de defesa admitiu-se a CONITEC como subsistema de política. A CONITEC avaliou a incorporação de Nusinersena ao SUS em 2018 e 2019, apresentando pareceres distintos em de não recomendar a incorporação e recomendar com condicionantes, respectivamente. A análise demonstrou que o processo de incorporação de Nusinersena para AME 5q tipo I ao SUS foi o resultado dos processos de interação das coalizões no âmbito do subsistema.

Palavras-chaves: Nusinersena, Avaliação de tecnologias, Modelo de coalizões de defesa, análise política em saúde.

INTRODUÇÃO

Doenças raras e medicamentos órfãos: do conceito à sua regulamentação

A Organização Mundial da Saúde (OMS) define as doenças que afetam um pequeno número de pacientes, como doenças raras ou órfãs (WHO, 2020). São doenças que abarcam um grupo muito diverso de distúrbios, que pode afetar qualquer sistema do organismo. Se caracterizam por uma ampla diversidade de sinais e sintomas, que variam de doença para doença, assim como de pessoa para pessoa, mesmo quando acometidas pela mesma condição (BRASIL, 2014). E por, usualmente, serem pouco conhecidas as suas causas e terapias eficazes, são também referidas como doenças "órfãs" (REMUZZI e GARATTINI, 2008). No entanto, no curso desse presente trabalho, padronizaremos o uso dos termos "doença rara" e "medicamento órfão", em referência ao predomínio desses termos na literatura. De maneira geral, a definição de doença como rara é atribuição dos estados nacionais que estabelecem critérios próprios (THAMER, BRENNAN, SEMANSKY, 1998). No Brasil, o Ministério da Saúde estabelece como medida, a ocorrência em até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos ou 1,3 a cada duas mil (BRASIL, 2014).

São doenças consideradas como um importante problema de saúde pública, tanto pelo fato de serem negligenciadas, por muitos anos, pelos sistemas de saúde e indústrias farmacêuticas, quanto pelo encargo que geram para os pacientes acometidos e seu entorno (SCHIEPPATI et al, 2008). Cerca de 72% dessas patologias têm origem genética e 70% iniciam-se na infância (OLIVEIRA, 2022). Incluem também formas infrequentes de câncer, doenças autoimunes, doenças infecciosas e/ou toxicológicas e deformidades congênitas (WHO, 2020). Afetam em torno de 3,5% a 5,9% da população mundial, e sua distribuição aproximada é de 300 milhões em todo o mundo, sendo 30 milhões na União Europeia, 25 milhões nos EUA e 13 milhões no Brasil. São doenças muitas vezes graves, incapacitantes e que cursam com risco de morte. Apenas 5% delas possuem tratamento medicamentoso (OLIVEIRA, 2022).

Os termos "doenças raras" e "medicamentos órfãos" surgiram nos Estados Unidos, como um desdobramento dos impactos regulatórios da Emenda Kefauver-Harris, de 1962, ao *Food, Drug and Cosmetic Act* (KRANTZ, 1966; PASCARELLI, PEREIRA, 2022). Essa emenda surgiu, frente ao impacto da tragédia da talidomida nesse país, e conferiu autoridade à *Food and Drug Adminitration* (FDA) para o estabelecimento de critérios para a determinação da eficácia e segurança de drogas. Com os novos procedimentos exigidos, o interesse no desenvolvimento de novas drogas ou da incorporação outras indicações terapêuticas além das

originais, sofreu elevado índice de desinteresse (KRANTZ, 1966). Desse modo, por não possuírem relevância epidemiológica e com fraco retorno econômico, o investimento na pesquisa e produção de opções terapêuticas para as doenças raras foi diminuindo (SWANN, 2018).

Para reverter essa situação, e ampliar o desenvolvimento de medicamentos para o tratamento dessas doenças, ainda nos Estados Unidos, o *Orphan Drug Law Act* (1983) foi implementado pelo Congresso desse país com uma série de incentivos, tais como créditos fiscais, estudos de segurança e eficácia simplificados, aprovações mais rápidas e opções de exclusividade de mercado estendidas (ORPHAN DRUG ACT, 1983). Contudo, esse último incentivo tem gerado bastante controvérsia, uma vez que o monopólio das indústrias farmacêuticas, atua também como instrumento dificultador do acesso ao tratamento farmacológico (SOUZA et al., 2010).

A partir dessas regulamentações iniciais, os medicamentos órfãos passaram a ser classificados em dois grandes grupos: um com os medicamentos que, tradicionalmente, possuem fraco retorno econômico, e outro que inclui os medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras. Porém, em 1984, o *Orphan Drug Act* foi atualizado, e passou a considerar como medicamento órfão aqueles que se destinam ao tratamento de doenças que afetam ao menos de 200 mil pessoas (PASCARELLI, PEREIRA, 2022). E diante dessa trajetória, fica explícito como nos Estados Unidos, há uma relação direta entre doenças raras e drogas órfãs. Entretanto, em outros países essa relação pode ser um pouca ambígua, visto que os critérios para determinação do status de medicamento órfão varia de acordo com o país (THAMER, BRENNAN, SEMANSKY, 1998).

O princípio que norteia a maior parte das agências regulatórias de saúde se baseia em dimensões epidemiológicas (prevalência ou incidência atípica da doença em uma população) e econômicas (presunção de não rentabilidade do medicamento destinado à terapêutica da doença em questão) (SOUZA et al., 2010). Assim, a excepcionalidade das doenças raras, não induz à lucratividade esperada pelas empresas farmacêuticas, devido à baixa escala de demanda. E com o fraco investimento em pesquisa e desenvolvimento farmacológico, os portadores dessas doenças se veem em uma situação de desvantagem e fragilidade (AITH et al., 2014; SOUZA et al., 2010).

É nesse contexto que aflora o ativismo de associações de pacientes e outros grupos sociais interessados, que se uniram entorno de uma agenda comum: o acesso ao tratamento e melhorias na atenção ao paciente de doenças raras (LIMA et al., 2018). Nessa busca, o ativismo civil se associou a agentes do Estado, à indústria farmacêutica, e à interlocutores

acadêmicos, de modo a influenciar o curso e a efetivação de políticas públicas. Conformando uma rede ampliada de apoio e cooperação, essas organizações têm sido decisivas para a produção de engajamentos, tanto na pesquisa médica quanto nos processos regulatórios (DUNKLE, PINES, SALTONSTALL, 2010). Um desenho que, segundo Dunkle e colaboradores (2010) não possui paralelo em outros setores clínicos ou científicos. Nos Estados Unidos, por exemplo, a *National Organization for Rare Disease* (NORD) atua, desde 1983, como a principal organização não governamental na defesa dos interesses de pacientes e toda a comunidade envolvida com as doenças raras. Com papel decisivo na *Orphan Drug Act*, até hoje, essa organização está comprometida com a identificação, tratamento e cura de doenças raras, por meio de seus programas e subsídios financeiros, para assistência, pesquisa e advocacia política (PUTKOWSKI, 2010).

Um desenho de biossocialidade que segundo Rabinow (1999) implica na circulação e ressignificação de identidades, processos individuais e coletivos que, impulsionando e impulsionados pela clínica se desdobram em argumentos tanto para a defesa de uma economia moral (CASTRO, 2018) quanto e na ressignificação dos limites para o risco sanitário e do interesse público. E instrumentalizado por especialistas, empreendimentos farmacêuticos, narrativas e estudos clínicos, tanto o cenário da saúde quanto os próprios indivíduos são remodelados de modo a projetarem expectativas e ideações de acerca de certos níveis de performances, nem sempre realísticos. Contudo, apoiados em brechas jurídicas, institucionais e diagnósticas, esses grupos avançam ampliando sua visibilidade e capital político.

No Brasil, as discussões inauguradas no I Congresso Brasileiro de Doenças Raras, se somaram à pressão do intenso processo de judicialização, para acesso à medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras. Esse cenário culminou na elaboração da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR) que instituiu as diretrizes para a assistência e cuidado a esse grupo, bem como incentivos financeiros para o custeio de suas ações. Também estabeleceu princípios e diretrizes para a incorporação e uso de tecnologias voltadas para a promoção, prevenção e cuidado integral na rede de atenção à saúde (RAS), devendo ser orientadas por recomendações formuladas por instâncias reguladoras como a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC) e os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) (BRASIL, 2014).

Um desafio para a área de avaliação de tecnologias em saúde (ATS) que atua como um balizador, entre os sistemas de saúde e a sociedade, frente às necessidades e preferências dos pacientes, quanto ao acesso aos medicamentos e outras demandas terapêuticas (BIGLIA, 2020). Definida como “um processo baseado em evidências que procura examinar as

consequências da utilização de uma tecnologia de cuidados de saúde, considerando a assistência médica, social, questões econômicas e éticas" (BRASIL, 2016, p.6), a ATS se assume enquanto um processo científico, íntegro e imparcial (BRASIL, 2016).

Na ausência de atuação da ATS, são os juízes que definirão as bases para o atendimento das necessidades desse grupo (DINIZ, MEEIROS, SCHWARTZ, 2012). E mesmo quando essas tecnologias percorrem todo o itinerário previsto para a sua incorporação no Sistema Único de Saúde, o resultado final não está isento de contradições e inconsistências (DE LIMA, GILBERT, HOROVITZ, 2018). No caso das doenças raras, como salienta Dallari (2015), órgãos reguladores, pacientes e médicos devem estar dispostos a aceitar maiores riscos e tratamentos mais heterodoxos, uma vez que os resultados oferecem mais vantagens frente à situação inicial. Por outro lado, Pascarelli e Pereira (2022) revelam como o campo legislativo prefere "impulsionar o debate e dar visibilidade ao tema do que investir em novas tentativas de mudanças legais e regulatória" (PASCARELLI, PEREIRA, 2022, p.1).

Frente ao exposto, a complexa relação entre doenças raras, medicamentos órfãos, pacientes, organizações civis, parlamentares e profissionais de saúde enredam uma trama político, sanitária e institucional, que entrelaça responsabilidade, equidade e ética no provimento de cuidados para a saúde. Um processo decisório que reflete os desenhos de políticas públicas e gerenciamento de riscos, em uma arena de demandas públicas e privadas, marcadamente autocentradas, que alimentam das próprias controvérsias legais e científicas para acomodar seus interesses e redefinir a amplitude do interesse geral (PENAFORTE, 2021). Nesse sentido, direções e digressões, pavimentam a ação político-institucional da incorporação de medicamentos. E é o caso de uma delas, o Nusinersena, que pretendemos analisar nesse presente artigo.

Para alcançar esse objetivo, inicialmente, apresentaremos a biografia desse medicamento. Essa parte está baseada em uma análise narrativa da literatura. Em seguida, examinaremos os movimentos e revezes do processo de incorporação do Nusinersena na CONITEC, a partir de dados empíricos, com o objetivo de identificar e delimitar a ação privada e pública na elaboração de uma política pública. Para isso nos apoiaremos no *Advocacy Coalition Framework* (ACF) ou modelo de coalizões de defesa, que foi desenhado especialmente para compreender o processo de mudança política, destacando seus fatores causais e a interação de atores e diferentes instituições interessadas a partir de um subsistema de política.

Nusinersena: contextualização e trajetória regulatória

A evolução de terapias gênicas baseadas em oligonucleotídeo antisenso (ASO), possibilitou o desenvolvimento de moléculas capazes de restaurar a informação genética necessária à recomposição dos mecanismos neurais para controle da força muscular. A ação sobre a transcrição desses motoneurônios é capaz de restabelecer os níveis das proteínas, que garantem seu desenvolvimento funcional e com comprimento total (MENDONÇA, 2021). Esse é o mecanismo de ação do Nusinersena, formulado a partir da Terapia de Modulação de Splicing (*Splicing modulation therapy*), e o primeiro medicamento projetado para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) (QIU et al., 2022).

A AME é a forma mais comum de uma doença neuromuscular rara, de herança autossômica recessiva, que causa disfunção e perda de motoneurônios espinhais, provocando fraqueza e atrofia muscular. Apresenta uma prevalência de 1-2 em 100.000 pessoas e incidências de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos, conforme verificado em estudos realizados fora do Brasil (BRASIL, 2023). Para a maioria dos indivíduos, o seu início ocorre na infância ou primeira infância, embora formas leves também possam se manifestar na fase adulta. Dependendo do momento do início e sua gravidade, a AME é classificada em quatro tipos, o tipo 1 mais grave, o tipo 2 intermediário e os tipos 3 e 4 mais leves (FINKEL, 2017; JABLONKA, 2022).

Devido às especificidades genéticas da AME, os medicamentos desenhados para o seu tratamento são escassos. Assim, as pesquisas têm focalizado essas modificações genéticas como alvo terapêutico principal. E logo que foi possível incidir no código genético, abriu-se as portas para o desenvolvimento de medicamentos que modificam ou modulam a decodificação e transcrição do DNA. Desde então, observou-se uma corrida para elucidação de alvos genéticos, passíveis à ação de agentes terapêuticos. No caso do Nusinersena, foram 20 anos de estudo, desde a codificação do gene SMN (cuja mutação provoca a degeneração dos motoneurônios), em 1995, até a sua aprovação pela FDA em 2016 (e 2017 no Brasil pela ANVISA).

Os estudos clínicos se iniciaram, em 2011, patrocinados pela *ISIS Pharmaceuticals* (atual *Ionis Pharmaceuticals*) e Biogen. Os primeiros resultados foram publicados em 2016 e 2017. O primeiro estudo (CHIRIBOGA et al., 2016) foi patrocinado pela *Ionis Pharmaceuticals* e o segundo (FINKEL et al., 2017) pela *Ionis Pharmaceuticals* em associação à Biogen. Em ambas as publicações, parte dos autores receberam recursos financeiros e/ou atuaram em favor de fabricantes de produtos farmacêuticos e/ou empresas relacionadas à biotecnologia e produção de fármacos para tratamento da AME, como Roche, Biogen, *AveXis* (atual Novartis), *Sarepta Therapeutics*, *Ultragenyx Therapeutics*, *Audentes*

Therapeutics e *Cytokinetics, Inc*. Também foram reportados financiamentos ou auxílios científicos realizados por organizações não governamentais estadunidenses, dedicadas ao apoio no tratamento e cura de portadores de AME, como a *Spinal Muscular Athrophy Foundation*, *Slanei Family Fund for SMA* e a *Cure SMA*.

Como já descrito pelos estudos do segmento da antropologia dos medicamentos, os medicamentos e seus estudos clínicos engendram um sistema de relacionamentos e significados que refletem preocupações, oportunidades, vulnerabilidades e interesses (CASTRO, 2018; VAN DER GEEST, 1988). E a integração entre agentes do complexo médico-industrial, pacientes e sua comunidade, em torno de debate dos medicamentos, representa uma questão central para compreensão desse circuito. Esse conjunto interativo, se posiciona em uma encruzilhada de questões mais amplas, como globalização, saúde e sistemas terapêuticos, atuando como chave explicativa de perspectivas sócio-políticos e culturais, além de captar certos prismas da realidade e suas transformações (DESCLAUX, LÉVY, 2003).

O medicamento é, na maioria das vezes, situado em uma relação intercultural e multissetorial. Partindo do campo biomédico, que elabora e satura seu significado a partir de um sistema médico (LUZ, 2012) ele é ratificado pelo discurso científico. Por outro lado, esse mesmo sistema sofre alterações, quando seu espaço de interação extravasa para outros setores. E em outros sistemas culturais, o medicamento, seu ordenamento e relações com o conhecimento e autoridade, são interpretados e reinterpretados (VAN DER GEEST, 1988). Um desafio para o campo da avaliação de tecnologias em saúde (ATS), que visa subsidiar as decisões políticas quanto ao impacto da tecnologia em saúde (BRASIL, 2009).

No caso do Nusinersena, a trajetória para a sua disponibilização no SUS ocorreu na CONITEC, que é a comissão instituída pela Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011, para assessorar o Ministério da Saúde nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica (BRASIL, 2011). Com um desenho atípico, esse processo obteve duas decisões contraditórias pelo Plenário da CONITEC. Uma desfavorável à incorporação emitida em, 08 de novembro de 2018 (CONITEC, 2018). E outra, de posição favorável, emitida em, 04 de abril de 2019 (CONITEC, 2019). Ademais, a assinatura da Portaria de incorporação do Nusinersena foi comemorada em sessão solene no Senado Federal, além de receber destaque tanto na imprensa quando nas páginas governamentais e de sociedades médicas (CAETANO, HAUEGEN, OSORIO-DE-CASTRO, 2019).

Outras características conferem ainda mais singularidade à biografia do Nusinersena. Ao contrário da conduta aplicada a outros medicamentos de alto custo judicializados, que foram adquiridos sem registro, no caso do Nusinersena, as primeiras demonstrações dos gastos federais ocorreram a partir, de janeiro de 2018 (tendo o seu registro ocorrido em 28/09/2017) (CAETANO, HAUEGEN, OSORIO-DE-CASTRO, 2019). Muito essa situação deriva da tese jurídica fixada pelo Recurso Especial nº 1.657.156, do Superior Tribunal de Justiça, que tornou obrigatória a existência de registro do medicamento na ANVISA, para fins de fornecimento compulsório de medicamentos não incorporados pelo SUS, pelo poder público (CAETANO, HAUEGEN, OSORIO-DE-CASTRO, 2019; SUPERIOR TRIBUNAL DE JUSTIÇA, 2018).

Com um gasto anual de R$118 milhões de reais, referente à compra de 496 frascos, durante o ano de 2018, o preço médio por frasco foi de R$238.576,25, alçando o Nusinersena ao status de medicamento mais caro já adquirido pelo SUS (CAETANO, HAUEGEN, OSORIO-DE-CASTRO, 2019). Inclusive, no período entre o primeiro relatório da CONITEC e o segundo, a empresa responsável pelo seu fornecimento, a Biogen, incluiu uma oferta de redução de preço, como forma de adensar um novo corpo de evidências, que garantissem elementos suficientes para uma nova análise de sua incorporação. Entretanto, a empresa não atendeu às recomendações preliminares, que impunham uma quantidade de frascos a serem doados, por cada paciente, e um limite orçamentário para cada frasco. Assim, o preço de venda final não demonstrou qualquer economia adicional ao SUS (CAETANO, HAUEGEN, OSORIO-DE-CASTRO, 2019).

A utilização de procedimentos farmacoeconômicos, para a regulação do mercado de medicamentos, requer certo nível de desenvolvimento institucional, capacidade técnica e vontade política para respeitar e defender as recomendações da instituição com tal prerrogativa (TOBAR, MARTICH, 2014). E, especificamente, no que tange as doenças raras, o mercado farmacêutico se comporta de maneira diferente. Com os elevados investimentos, voltados à pesquisa e desenvolvimento farmacológico e biotecnológico, esse custo vinculado busca ser coberto pela empresa através do processo de venda. É por essa razão que as empresas farmacêuticas se interessam tanto pela produção de drogas órfãs, quanto pela incorporação de seus produtos nos sistemas de saúde (DALLARI, 2015). Com seu monopólio protegido pelos governos, somado ao público de pacientes bem organizados, a indústria farmacêutica consegue impor valores e dominar o mercado, controlando todo o processo de negociação.

E como o tratamento das doenças raras, é atravessado por questões sensíveis e emocionais, o resultado de tais decisões podem estar imbuídas de distorções, tanto em relação à aspectos orçamentários quanto ao grau de incerteza tolerado para o seu desempenho (DIAS et al., 2020). Nesse sentido, os *managed entry agreements* consistem em instrumentos elaborados para redução da incerteza e do impacto orçamentário da inclusão de novos medicamentos de elevado custo econômico. São contratos que visam o compartilhamento dos riscos e procuram gerenciar a entrada dessas tecnologias nos sistemas de saúde. No Brasil, o Nusinersena foi o primeiro medicamento a ser recomendado por meio de acordo de compartilhamento de risco entre a indústria farmacêutica e o SUS. Nesse desenho, as partes interessadas concordaram que o valor a ser pago dependerá das evidências de mundo real, coletadas a partir da prática clínica (CAETANO, HAUEGEN, OSORIO-DE-CASTRO, 2019; VICENTE, CUNICO, LEITE, 2021).

Diante dessa trajetória pouco habitual, o processo de incorporação do Nusinersena ilustra os desvios técnicos, políticos e burocráticos, reveladores de como a realidade não se encaixa facilmente nos tipos ideais propostos. Além disso, destaca a problemática envolvida na formulação de políticas públicas, no contexto das doenças raras, que são, fortemente, atravessadas por questões vulneráveis e emocionais. Como afirma Trindade (2008) esse conjunto se interrelaciona de forma complexa, em sistemas criativos, com múltiplos determinantes e fatores de confusão. E por isso nos dirigimos à CONITEC, a fim de compreender os desenlaces da ação política para incorporação do Nusinersena, procurando entender os contornos de sua mudança política, assim como as suas relações com a produção de fatos, dentro e fora das instituições.

Nesse sentido, buscou-se um referencial teórico que fosse capaz de articular os posicionamentos dos diferentes atores sociais envolvidos, compreendendo o processo político, como um campo competitivo. E o advento do ACF apresenta-se, justamente, como “um quadro conceitual alternativo aos modelos analíticos dominantes no campo da análise de políticas públicas, centrados no ciclo de políticas e em suas etapas” (CERQUEIRA, 2020, p.9). Nele, esses atores são situados a partir de coalizões, que disputam para traduzir suas crenças compartilhadas, em políticas públicas ou programas governamentais, mobilizando recursos políticos e participando de processos contínuos de aprendizagem política (WEIBLE; SABATIER; MCQUEEN, 2009).

E o ambiente no qual se desenrola essas interações e que conduz o processo político de aprendizagem é chamado de subsistema de políticas públicas (HOWLETT; RAMESH, 1998). Um subsistema é entendido como um conjunto de atores individuais ou coletivos de uma

variedade de organizações públicas, privadas e da sociedade civil (ONGs), num determinado escopo geográfico, que está ativamente preocupado com determinada questão de política pública e que sistematicamente tenta influenciar as decisões naquele domínio (SABATIER; JENKINS-SMITH, 1988). Desse modo, nos aproximaremos do espaço da CONITEC, reconhecendo-a como um lócus especializado, que concentra o debate de problemas específicos da política de saúde. A partir desse espaço delimitaremos a representatividade dos atores envolvidos na política de incorporação do Nusinersena, buscando identificá-los também em termos sociológicos. Para isso, não nos limitaremos a compreender apenas as suas posições, mas, também situar as motivações de sua própria presença na CONITEC naquele momento. A partir disso, focalizaremos nas transformações que os relatórios produzidos sofreram, e as repercussões de tais posições.

Assim, a pesquisa empírica desse trabalho vem a reboque das análises de políticas públicas, porém, buscando situar o cenário em torno do qual acontecem as interações que envolvem as políticas públicas suas conclusões (WEIBLE, 2018). Nossa pretensão nos próximos tópicos desse trabalho, é contextualizar a ação desse subsistema, no processo de incorporação do Nusinersena, como um trabalho sócio-político encarnado e histórico. Para isso, nos concentraremos em identificar as coalizões formadas, suas crenças, os contornos de seu processo decisório e resultados.

ESTRATÉGIAS METODOLÓGICAS

Desenho do estudo

Trata-se de um estudo de caso (GOLDEMBERG, 2004) retrospectivo e de abordagem qualitativa. E a partir de uma análise documental, orientada pela ACF, buscamos compreender quais os contornos da mudança decisória que levou à incorporação do Nusinersena pela CONITEC. Dessa forma, o desenho empírico foi situado a partir dos três princípios fundamentais da ACF: 1) caracterização do subsistema de política e dos fatores que afetam o sistema político e socioeconômico; 2) configuração da ação individual e seus efeitos sociais e políticos; 3) identificação das coalizões de defesa, suas crenças e atuação no processo de mudança política.

Essa abordagem foi considerada para efeitos dessa análise, por sua coerência e aplicabilidade no estudo de políticas públicas, especialmente quanto as políticas públicas de saúde. Esse modelo tem sido aplicado em diferentes segmentos, desde o processo de formulação de políticas emergenciais (PENAFORTE, 2021) à programas da Atenção Primária

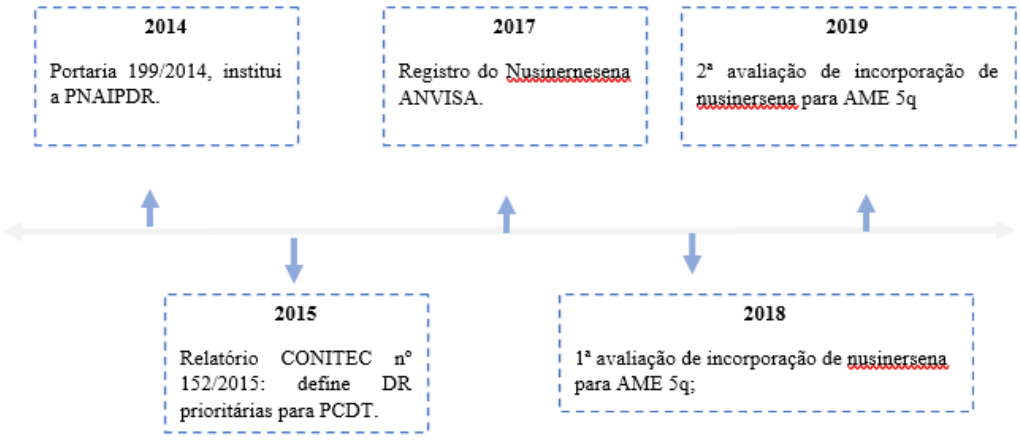
à Saúde (TUSSET et al., 2020), da Vigilância em Saúde e Ambiente (ALMEIDA, RIBEIRO, BASTOS, 2022) e setores da Secretaria de Ciência Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde (MORAES, 2022).

Corpus documental

Para a produção dos dados ao estudo que propomos, a constituição do *corpus* documental se alicerçou em dois procedimentos complementares. O primeiro foi composto pelos relatórios de recomendação (produzidos pela CONITEC em agosto de 2018 e abril de 2019), atas das reuniões da CONITEC (68ª, 69ª, 72ª, 75ª reuniões), Parecer Público de Avaliação do Medicamento (produzido pela ANVISA em 25/08/2017), transcrições de vídeos e notas taquigráficas das reuniões de comissões e subcomissões do Senado Federal (Subcomissão de Doenças Raras em 08/08/2019 e Comissão de Assuntos Sociais em 24/04/2019) e da Câmara dos Deputados (Subcomissão Especial de Doenças Raras em 13/08/2019). Todo esse material foi retirado de arquivos públicos sediados nos endereços eletrônicos da CONITEC, Câmara e Senado Federal, e ANVISA. Também foi incluído na análise um vídeo do então secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos Marco Fireman, publicado em sua página pessoal do Facebook, em 19/12/2018.

A partir deste levantamento criou-se uma linha do tempo (Figura 1) em que os documentos foram organizados por datas, tendo em vista que a CONITEC realizou a avaliação de incorporação do medicamento em dois momentos.

Figura 1: Linha do tempo. Incorporação do nusinersena ao SUS – AME 5q tipo I.



Fonte:elaboração própria.

Como segundo procedimento à produção do *corpus* de dados, procedemos à organização, análise e interpretação dos dados a fim delimitar as coalizões de defesa, seus campos de atuação e de disputa. Para isso, nos guiamos pela definição de Sabatier (1988) que define a existência de uma coalizão de defesa quando:

> [...] pessoas de uma variedade de posições (representantes eleitos e funcionários públicos, líderes de grupos de interesse, pesquisadores, intelectuais, etc.), que compartilham determinado sistema de crenças: valores, ideias, objetivos políticos, formas de perceber os problemas políticos, pressupostos causais e demonstram um grau não trivial das ações coordenadas ao longo do tempo (SABATIER, 1988, p. 139).

Como o ACF pressupõe um modelo focalizado na ação individual, o principal guia analítico se baseia nas ações e orientações dos indivíduos. Portanto, os sistemas de crenças foram tomados como elementos que impulsionam categorias interpretativas centradas em signos (comportamentos, ações, descrições) e que devem ser verificados empiricamente. E esses sistemas de crença são estruturados em uma tríade hierárquica que se organiza em: 1) *deep core* que são crenças centrais e mais profundas, envolvendo regras normativas e pressupostos ontológicos; 2) *policy core* que envolvem valores relacionados ao subsistema político e que definem posições nas coalizões de defesa e 3) *secondary beliefs* que são os aspectos instrumentais mais restritos e, portanto, mais passíveis a mudanças e negociações (SABATIER, WEIBLE, 2007; VICENTE, CALMON, de ARAÙJO, 2017).

Ainda seguindo na modelagem voltada à ação individual o estudo da mudança política, consistiu na identificação das perturbações externas e dos caminhos que conduziram ao aprendizado orientados para políticas (*policy-oriented learning*). Sobre as primeiras procuramos identificar os distúrbios que podem produzir transgressões no processo decisório. São mudanças que alteram agendas, atraem atenção do público, modificam componentes das crenças e redistribuem a organização de forças e poderes dentro do subsistema político. E sobre o segundo buscamos pelas mudanças de pensamento e intenções comportamentais, que resultaram da experiência e/ou novas informações capazes de revisar os objetivos políticos ou mesmo os modos de sua obtenção (SABATIER, WEIBLE, 2007).

Dessa forma, os dados registrados e organizados, a partir do desenho metodológico ora apresentado, constituíram o *corpus* documental do presente trabalho. Sua análise fundou-se na análise de conteúdo em profícuo diálogo com estudos da Ciência Política e Administração Pública. Propomos, assim, alcançar a potencialidade investigativa dos materiais textuais enquanto dados. E seguindo a proposta de Bauer (2002) nos esforçamos em produzir inferências, de um texto focal para seu contexto social, de maneira objetivada, fundamentados

nos materiais pesquisados e em congruência com os argumentos teóricos apresentados e à luz do nosso objetivo de pesquisa. Os procedimentos da análise de conteúdo buscaram reconstruir as expressões e transmissões dos signos dos atores e suas interrelações com a dinâmica que os descreve, em seus meios de atuação e influência.

Aspectos éticos

A pesquisa foi realizada utilizando-se de fontes públicas de dados secundários e deste modo, não necessitou ser submetida ao comitê de ética em pesquisa, uma vez não contou com a participação direta de seres humanos na análise.

RESULTADOS E DISCUSSÃO

A CONITEC como um subsistema de política pública e seus atores sociais.

A CONITEC é um órgão de assessoramento do Ministério da Saúde nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde pelo SUS, que possui na composição da sua plenária diversos atores sociais tanto técnicos (Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGTIS, sociedades médicas e outros) como representantes da sociedade civil e do Estado; possibilita ainda a participação da sociedade por meio da disponibilização de consultas públicas sendo assim um espaço onde ocorre a formação de coalizões e estas são capazes de influenciar as políticas.

No modelo de coalizões qualquer um dos atores que tente regularmente influenciar as decisões tomadas no subsistema deve ser incluído na análise, e não apenas os que possuem cargos governamentais. Apesar desta premissa trazer complexidade para os estudos que fazem uso do ACF pelo grande número de atores que um subsistema pode comportar, salienta-se que os subsistemas são simplificados pela agregação da multiplicidade de atores dentro de uma ou mais coalizões, formadas através do compartilhamento de crenças e pela propensão dos indivíduos a experimentarem "*devil shift*" (tendência a superestimação dos oponentes, levando a união entre os atores aliados visando ampliar seus recursos) (CARVALHO, 2019).

O sistema de crenças é definido como o conjunto de ideias compartilhado entre os atores de uma coalizão sobre uma determinada política (SABATIER, 1987), e como ele se relacionada com a conformação das coalizões. Esse compartilhamento de crenças configura o ponto de inflexão que mantém uma coalizão unida no decorrer do tempo (VICENTE, CALMON, 2011; CAIRNEY, 2015).

Enquanto subsistema, a CONITEC operava no período do estudo, com a seguinte conformação de atores: O Plenário e a Secretaria-Executiva, responsáveis pela emissão de recomendação sobre incorporação, exclusão ou alteração das tecnologias em saúde no SUS. Já a constituição ou alteração dos protocolos clínicos e a atualização da RENAME, são atos de responsabilidade do Plenário da CONITEC. A Secretaria-executiva é exercida pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS), que é responsável pela gestão e coordenação das atividades da Comissão, bem como a emissão de relatórios técnicos sobre a tecnologia avaliada, considerando as evidências científicas disponíveis, a avaliação econômica e o impacto da incorporação da tecnologia no Sistema (CONITEC, 2020).

Todas as recomendações emitidas são submetidas à consulta pública, pelo prazo de 20 dias, exceto em casos de urgência da matéria, quando a consulta tem prazo de 10 dias (CONITEC, 2020). Nesse sentido, também grupos populacionais, interessados em determinado assunto, devem ser tomados no rol de atores.

A formação das coalizões que atuam em um subsistema se dá a partir do compartilhamento de sistemas de crenças. No modelo de coalizões de defesa os sistemas de crenças estão organizados de forma tripartite: o núcleo duro (*deep core*), o núcleo político (*policy core*) e os aspectos secundários (*secondary aspects*). O *deep core* (DC) integra os axiomas normativos e ontológicos fundamentais. São crenças difíceis de ser modificadas. No *policy core* (PC) se encontram as estratégias para atingir os objetivos do *deep core* dentro de um subsistema; e os *secondary aspects* (em) correspondem às decisões instrumentais e às informações necessárias para implementar o *policy core* (SABATIER, JENKINS-SMITH, 1999).

A estrutura organizacional do sistema de crenças na CONITEC está apresentada no quadro abaixo:

Quadro 1. Síntese das crenças fundamentais das coalizões dentro do subsistema da CONITEC nas avalições de incorporação de Nusinersena ao SUS divididas em momentos 1(2018) e 2 (2019).

COALIZÃO DE DEFESA	**CRENÇAS**			**ESTRATÉGIA**
Momento 1 – 2018	**DC**	**PC**	**AS**	Submissão do parecer inicial de não recomendar a
Coalizão A	Crenças	Crenças de não	Crenças	

DGTIS	relacionadas a avalição técnico científica e farmacoeco-nômicas.	recomendar a incorporação do medicamento ao SUS devido a baixa evidência dos estudos e do grande impacto econômico ao sistema.	relacionadas a manutenção do equilíbrio do sistema de saúde e seu papel de regulador do acesso.	incorporação de nusinersena ao SUS a CP abordando os aspectos técnico científicos e econômicos.
Coalizão B	**DC**	**PC**	**AS**	**Estratégia**
SCTI– - demandante	Crenças relacionadas ao fato de o medicamento ser a única alternativa farmacológica disponível para o tratamento no momento.	Crenças relacionadas ao direito à saúde e ao acesso universal e igualitário previsto no SUS	Crenças relacionadas aos aspectos da universalidade de acesso a medicamentos no SUS.	Questionamento a AGU acerca da legitimidade sobre a decisão de incorporar o medicamento à revelia da recomendação da CONITEC
Congressitas				Sessões especiais para discussão do tema das doenças raras
Atores não governamentais				Participação na consulta pública e nas sessões especiais.
Momento 2 – 2019	**DC**	**PC**	**AS**	**Estratégia**
Coalizão A	Crenças relacionadas a avalição técnico científica e farmacoeco-nômicas.	Crenças de que a recomendação de incorporação com condicionantes equilibraria os aspectos das evidências e econômicos.	Pressão da sociedade para incorporação do medicamento.	Submissão do parecer inicial de recomendar a incorporação de Nusinersena ao SUS à CP vinculada a limitação de idade no diagnóstico e tipo de AME.
DGTIS				
SCTIE				
Coalizão B	**DC**	**PC**	**AS**	**Estratégia**
Biogen - demandante	Crenças relacionadas ao	Crenças direcionadas para a	Sessão especial no Senado	Participação na consulta pública e

Congressistas	fato do medicamento ser a única alternativa farmacológica disponível para o tratamento no momento.	incorporação para todos os tipos de AME, conforme registro do medicamento na ANVISA.	Federal para assinatura da Portaria de incorporação.	nas sessões especiais.
Atores não governamentais				
Fonte: elaboração própria.				

Para efeitos da descrição do DC, este estudo adotou a análise de documentos públicos como opção metodológica não estando os autores inseridos diretamente na CONITEC (subsistema) ou realizado qualquer tipo de entrevista ou visita *in loco*, e deste modo não foi possível descrever o *deep core*. Assim, qualquer definição de *deep core* seria baseada no posicionamento apresentado no momento pontual em que foi construído o documento analisado e não embasado nas verdadeiras crenças e bases culturais dos atores.

Principais atores sociais identificados no processo de avalição de Nusinersena ao SUS

O Nusinersena foi o primeiro medicamento produzido com a finalidade de tratar a AME, e teve seu registro na ANVISA foi aprovado, em 25 de agosto de 2017 (ANVISA, 2017). A partir do registro, duas solicitações de apreciação de incorporação do medicamento no SUS foram registradas com a primeira realizada em janeiro de 2018 e a segunda, em janeiro de 2019, oriundas da SCTIE/MS e da indústria produtora do medicamento a Biogen, respectivamente. No que tange ao tempo entre o recebimento da solicitação pela CONITEC e a da publicação da recomendação inicial que seria submetida a consulta pública, tem-se um período de aproximadamente 7 meses no momento 1 (SCTIE) e 2 meses no momento 2 (Indústria).

Ao analisarmos aos documentos relativos os fatos que envolvem as avaliações de Nusinersena ao SUS, foram identificados atores que participaram de forma mais expressiva do processo de formação das coalizões. O quadro 2, foi organizado por categoria de atuação do ator momento da avaliação e qual papel desempenhado.

Quadro 2: Principais atores identificados agrupados por categoria e momento de atuação.		
Categoria/Ator	**Momento 1 – 2018**	**Momento 2 – 2019**
Governamental		
Marco Antônio Fireman	Secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde.	Não atuou.
Denizar Viana	Não atuou.	Secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde.
Artur Felipe Siqueira de Brito	Diretor do DGTIS/SCTIE do Ministério da Saúde e presidente da CONITEC (julho de 2017 – outubro de 2018)	Não atuou.
Vania Canuto	Diretor do DGTIS/SCTIE do Ministério da Saúde e presidente da CONITEC. (novembro de 2018 – dezembro 2018)	Diretor do DGTIS/SCTIE do Ministério da Saúde e presidente da CONITEC. (janeiro 2019 – janeiro 2023)
João Bosco Teixeira	Advogado da União; Consultor Jurídico junto ao Ministério da Saúde.	Não atuou.
Omar Ali Abdalla.	Médico oncologista, assessor técnico do Ministério da Saúde.	Não atuou.
Raphael Sanches Pereira	Gerente Geral de Medicamentos da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, ANVISA.	Não atuou.
Luiz Henrique Mandetta	Não atuou.	Ministro da Saúde
Senadores Romário, David Alcolumbre, Mara Gabrilli, Kajuru, Daniella Ribeiro.	Participação na Comissão de Direitos Humanos do Senado Federal. Sessões especiais sobre o Nusinersena.	Participação na Comissão de Direitos Humanos do Senado Federal. Sessões especiais sobre o Nusinersena.
Diego Garcia	Deputado Federal e coordenador da frente parlamentar de doenças raras da Câmara dos Deputados.	Deputado Federal e coordenador da frente parlamentar de doenças raras da Câmara dos Deputados.
Não governamentais		
Renato Trevelli	Representante da Associação Unidos Pela Cura (pai de criança com AME).	Representante da Associação Unidos Pela Cura (pai de criança com AME).
Fátima Brag	Presidente da Associação Brasileira de Atrofia Muscular Espinhal, ABRAME (mãe de criança com AME).	Presidente da Associação Brasileira de Atrofia Muscular Espinhal, ABRAME (mãe de criança com AME).
Maria Clara Mogowsk	Presidente da Associação Carioca de Distrofia Muscular.	Não atuou.

Daniel Macedo Alves	Defensor público – DPU/RJ.	Não atuou.
Wilson Gomier	Não atuou.	Conselheiro Nacional da Pessoa com Deficiência (CONADE).
Diovana Loriat		Gerente de captação e projetos do Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal.
Setor produtivo		
Dr. Marcelo Gomes	Diretor médico da Biogen Brasil, médico neurologista.	Não atuou.
Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda	Empresa fabricante de Nusinersena.	Demandante do pedido de avaliação.
Fonte: elaboração própria.		

Apesar do breve espaço de tempo entre as avaliações, uma mudança no cenário político do país se estabelece tendo o ano de 2019 ter sido o primeiro ano de governo de Jair Bolsonaro. Em consequência há uma mudança nos atores sociais que vão compor o Ministério da Saúde, a SCTIE e o DGTIS. Importa destacar neste cenário que a chefia da SCTIE é assumida por Denizar Vianna Araújo, graduado em medicina e doutor em Saúde Coletiva pelo Instituto de Medicina Social da Universidade do Estado do Rio de Janeiro (2004), trazendo um perfil mais técnico a pasta. Politicamente, Debizar Vianna era ligado ao então Ministro da Saúde Luiz Henrique Mandetta (União Brasil).

Em novembro de 2018 a diretoria do DGTIS passa a Vania Canuto que permaneceu no cargo até 2023. Vania Canuto é graduada em ciências econômicas, com mestrado em gestão e avaliação de tecnologias em saúde pela FIOCRUZ. Possui ampla experiência na CONITEC ocupando o cargo de diretora substituta da CONITEC/DGTIS entre 2011 e 2017. Observa-se que mesmo havendo a mudança no cargo, mantêm-se um perfil técnico na diretoria da DGTIS.

No momento 2 observa-se que a SCTIE e o DGTIS possuem um perfil mais técnico e alinhado na composição de suas crenças e então passam a formar a Coalizão A e defendem que a incorporação seja realizada para pacientes com AME tipo I vinculado a condicionantes relativos à idade do paciente, tempo de diagnóstico, acompanhamento em centros de referência, publicação de PCDT e doação das primeiras 3 doses pelo fabricante. Enquanto a Coalizão B passa a ser formada pela indústria (produtora e demandante da avaliação), pelos congressistas e pelos atores não governamentais que se posicionam em sua maioria por uma incorporação ampla e que atenda a todos os pacientes com AME, independentemente do tipo ou se de início precoce ou tardio.

Análise dos fatos, identificação das coalizões e sistemas de crença - Momento 1

A SCTIE, protocolou o pedido de avaliação de incorporação de nusinersena ao SUS, em janeiro de 2018, tendo a discussão sido levada a pauta, em 04 de julho de 2018, na 68ª Reunião da CONITEC, onde ocorreu apreciação inicial do nusinersena para AME. Os membros presentes (representantes da SAS, SVS, SCTIE, SE, SGEP, SGTES, CFM, ANS, ANVISA, CONASS, CONASEMS,CNS e SESAI) recomendaram que a matéria retornasse ao Plenário em próxima reunião e que fosse convidado especialista na doença para trazer novos subsídios.

Em, 1 de agosto de 2018, na 69ª reunião ordinária, informações adicionais do Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal foram apresentadas por um médico pesquisador (não identificado na Ata da reunião). Ele fez uma apresentação sobre a AME, descrevendo a doença com seus principais aspectos genotípicos e fenotípicos. Também apresentou um estudo que realizou o rastreio de 150 indivíduos residentes em São Paul– - SP, Ribeirão Preto - SP e Curitiba - PR, a partir de uma coorte, em um desenho epidemiológico semelhante às coortes americana e europeia estudadas (não citadas na ata). Foram feitos também alguns esclarecimentos acerca do medicamento, sua composição químico-farmacêutica e mecanismo de ação.

O médico pesquisador apresentou ainda outras evidências clínicas sobre esse medicamento que eram baseadas em dois estudos de fase 3:

O ENDEAR (FINKEL et al., 2017), um estudo financiado pela Biogen, com critérios bem restritos para inclusão dos pacientes que eram do tipo 1, com menos de 7 meses, que apresentou como conclusão de que entre os lactentes com atrofia muscular espinhal, aqueles que receberam Nusinersena tiveram maior probabilidade de estar vivos e ter melhorias na função motora do que aqueles no grupo controle, recomendando que o tratamento precoce pode ser necessário para maximizar o benefício da droga.

Outro estudo apresentado foi o CHERISH (MERCURI et al., 2017), também financiado pela Biogen, foi um estudo clínico de fase 3, multicêntrico, duplo-cego, randomizado e com grupo controle sem princípio ativo (grupo procedimento simulado) realizado em 126 pacientes com diagnóstico genético de AME 5q e desenvolvimento de sinais e sintomas após os seis meses de idade (AME 5q de início Tardio), condizente com desenvolvimento de fenótipo clínico de tipos 2 ou 3. O objetivo desse estudo foi avaliar eficácia clínica e segurança do uso de Nusinersena no tratamento da AME 5q sendo descrito um favorável perfil de segurança, sem descontinuação do estudo ou do tratamento, consistente

com outros os resultados publicados. Na análise interina, estatística e clinicamente foram observadas pelos autores, melhorias significativas na função motora quando comparado Nusinersena versus tratamento simulado crianças.

Para formas do paciente adulto, tipo 3 e tipo 4, não havia dados clínicos que suportem o uso do medicamento. Outra dúvida que ocorria é quanto ao benefício do medicamento para as formas infantis, de início precoce, mas que já possuem evolução muito longa, por exemplo crianças com tipo 1, com 5 anos de idade, que apresentam a doença desde os primeiros meses de vida, sem mobilidade preservada, com perda maciça de neurônios motores, que não foram contempladas nos estudos realizados. Fora ponderado que não sabia se o medicamento poderá beneficiá-las. Além do fato de que nem todos os pacientes respondem ao tratamento, seria necessário definir fatores de predição dos pacientes respondedores.

Após a apreciação das informações prestadas pelo médico pesquisador, os membros deliberaram para que o tema fosse submetido à consulta pública por 20 dias com recomendação preliminar de não incorporação. A CONITEC considerou desfavorável à incorporação no SUS do Nusinersena para o tratamento de crianças com AME 5q tipo I. Ponderou ainda que as evidências clínicas apresentadas são frágeis e os resultados obtidos com o tratamento, observados no ensaio clínico principal, não demonstram aumento de sobrevida para além da expectativa de vida esperada para crianças com a doença. Na análise de custo-efetividade mostrou que o medicamento não apresentava resultados clínicos condizentes com o preço praticado para o medicamento no Brasil e a análise de impacto orçamentário, que previa gastos na ordem de R$ 1 bilhão, evidenciando que a incorporação do medicamento poderia comprometer a sustentabilidade do SUS.

O posicionamento dos membros da CONITEC responsáveis pela elaboração do relatório de recomendação que foi submetido a CP esteve fortemente relacionado as crenças que compõe a formação desta coalização (Coalização A) representada pelo DGTIS onde verifica-se a colocação do princípio básico da ATS que é a análise da evidência científica utilizando os critérios da medicina baseada em evidências que neste momento não se mostrou robusta o suficiente para justificar a recomendação de incorporação.

A contribuições a CP 045/2018 foram apreciadas na 72ª reunião ordinária, em 7 de novembro de 2018. Foram recebidas 36.972 participações das quais 36.104 eram contribuições de experiência ou opinião e 868 técnico-científicas. Entre as contribuições de experiência ou opinião em relação à recomendação inicial, 1.522 manifestaram concordância total, 195 concordância parcial, 733 discordância parcial e 33.654 discordância total. Entre as

contribuições técnico científicas, 34 manifestaram concordância total, sete concordância parcial, 38 discordância parcial e 789 discordância total em relação à recomendação inicial.

Algumas das contribuições apresentaram alguns estudos, onde a CONITEC argumentou que estes não responderiam à pergunta de pesquisa do relatório de recomendação (O medicamento nusinersena é eficaz, seguro e custo-efetivo para o tratamento da AME 5q tipo I?). A outra parte de estudos citados nas contribuições foram publicados após a busca de estudos feitas para o relatório da CONITEC, contudo foram analisados e seus resultados corroboram com o relatório de recomendação.

Durante o debate do Plenário sobre as contribuições da CP, um membro (não identificado) sugeriu duas possibilidades de encaminhamento: incorporação condicionada a protocolo restrito ou não incorporação. Segundo ata pública dessa reunião, o Plenário entendeu que não houve evidência suficiente para alterar sua recomendação inicial e deliberou, por unanimidade, manter a não incorporação. O Relatório nº 400 correspondente à deliberação final não está disponível nas páginas eletrônicas da CONITEC; a demanda consta apenas como “processo encerrado a pedido do demandante”.

Ao analisarmos os aspectos políticos envolvidos no Momento 1, alguns pontos possuem grande relevância. A primeira submissão a CONITEC teve como demandante a SCTIE ou seja, o setor que representa o próprio Ministério da Saúde na temática de ATS. Outro ponto importante se trata de que Nusinersena era, à época, única alternativa terapêutica disponível no mercado e se apresentava como fonte de esperança para salvar a vida das crianças com AME.

Assim, verifica-se que na formação da coalização A tem-se a CONITEC, representada pelo DGTIS que tem papel fundamental na recomendação de não incorporação do medicamento ao defender o seu posicionamento de que não havia evidências científicas que suportassem a efetividade e segurança do medicamento, bem como o enorme impacto econômico que a incorporação, naquelas condições de negociação causariam.

Na outra ponta da discussão encontra-se o então secretário da SCTIE (Coalizão B), Marco Antônio Fireman, que posteriormente a publicação da decisão de não incorporação pela CONITEC, realizou incursão a Advocacia Geral da União com questionamento acerca da legalidade jurídica de autorizar a incorporação do medicamento, mesmo diante recomendação desfavorável a incorporação tendo como claro objetivo interferir na autonomia da CONITEC.

Em dezembro de 2018, o então Secretário da SCTIE/MS envia consulta à Advocacia Geral da União (AGU) versando sobre a possibilidade de uma tomada de decisão em sentido diverso à recomendação do Plenário da CONITEC. O Despacho s/n enviado à AGU pela

SCTIE (documento SEI “7088380”) ilustra as motivações iniciais da ação do Secretário da SCTIE/MS: “principal motivação do não acatamento do relatório da CONITEC a existência de uma nova proposta de preço por parte da empresa Biogen, proposta essa ocorrida após a avaliação já realizada pela CONITEC”. O Despacho afirma que a SCTIE entende como “pertinente a incorporação do medicamento nusinersena para todos os com AME 5q, independentemente de fenótipo...”, refere-se ainda a “ampliação objetiva do escopo técnico da matéria”, uma vez que a apreciação da CONITEC se limitou à indicação para AME 5q tipo I.

Em resposta ao Despacho enviado pela SCTIE, a AGU emitiu o Parecer no 01377/2018/ CONJUR-MS/CGU/AGU transcreve o resumo executivo do Relatório nº 400 da CONITEC, destacando os critérios que subsidiaram a recomendação de não incorporação, diante das atribuições legais de competência, ressalta que, apesar do caráter de assessoramento das atividades da CONITEC, “não se pode concluir pela existência de um poder amplo e ilimitado de revisão, pelo Secretário da SCTIE, do entendimento exarado pela CONITEC”. Discute também que a nova proposta de preço não resolve a “fragilidade das evidências clínicas referidas na recomendação da CONITEC” (AGU,2018).

Finaliza, considerando que “não obstante haver, de fato, a possibilidade do Secretário da SCTIE/MS, a priori, decidir”, pode “haver grave insegurança jurídica na opção pela decisão de não acatamento da recomendação da CONITEC”. Orienta que a SCTIE/MS, caso opte por não acatar a recomendação da CONITEC, promova nova submissão (AGU,2018).

Somam-se forças a formação desta coalização a presença de movimentos no Senado Federal, como a realização da Audiência Pública de títuto “Acesso ao Spinraza” que foi transmitida pela TV Senado (ao vivo) em 08/08/2018 (6 dias após a publicação da recomendação preliminar de não incorporação realizada pela CONITEC).

Na audiência, a Comissão de Direitos Humanos debateu-se a ampliação do acesso ao remédio Spinraza® para tratamento de atrofia muscular espinhal. O pedido da audiência pública foi feito pelo senador Romário (Pode-RJ). Representantes de entidades como ANVISA, Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo e Biogen, empresa que produz o Spinraza®, estavam presentes na audiência pública (SENADO, 2018).

A coalização B é composta ainda pelos participantes da CP 045/2012. Os participantes da foram identificados como “paciente”, “familiar, amigo ou cuidador”, “profissional de saúde”, “interessado no tema”, “empresa”, “empresa fabricante da tecnologia”, “grupo, associação, organização de paciente”, que se posicionaram em sua grande maioria por discordar da recomendação inicial de não incorporação.

O principal argumento apresentado indica o medicamento como uma esperança na melhoria da qualidade e ganho de vida para os pacientes como AME, como pode ser evidenciado nos trechos abaixo:

> Discordo totalmente da recomendação preliminar, o tratamento com esse medicamento pode ajudar diversas pessoas no tratamento dessa doença. Então se algo favorável ao tratamento de um ser humano por que não investir nisso? Acho extremamente necessário apostar no uso desse medicamento. (Familiar, amigo ou cuidador de paciente, 17/09/2018)

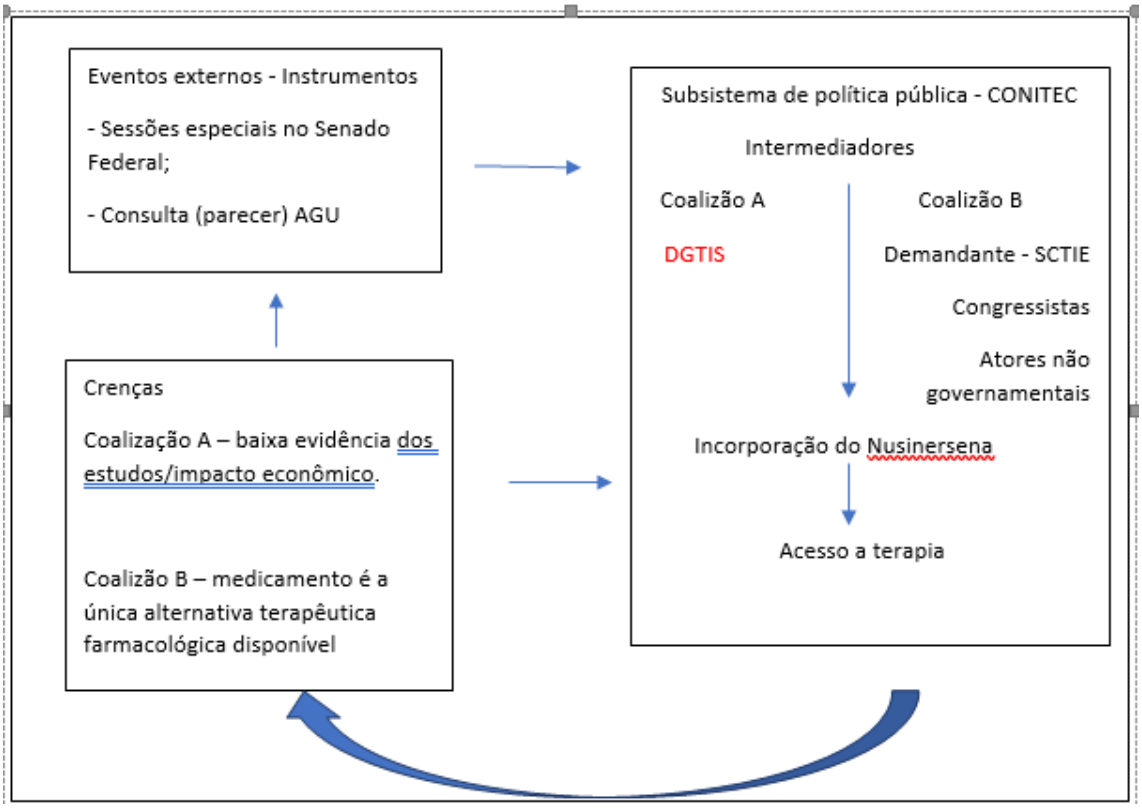
> Discordo totalmente da recomendação preliminar, porque acredito que é necessária essa inclusão, pois nem todos podem pagar pelo tratamento e a saúde é um direito de todos. (Familiar, amigo ou cuidador de paciente, 17/09/2018)

> Discordo totalmente da recomendação preliminar, este medicamento é capaz de salvar a vida de muitas crianças portadoras de AME tipo I. A melhora na qualidade de vida dessas crianças, após serem submetidas ao tratamento com o Nusinersena, é nítida! É inadmissível que qualquer ser humano seja privado da cura por questões financeiras. O medicamento deve ser acessível a todos, sob pena de ir de encontro ao princípio fundamental da dignidade humana previsto na Carta Magna brasileira. (Interessado no tema, 17/09/2018)

> Discordo totalmente da recomendação preliminar, A comunidade AME do Brasil, aguarda com muita ansiedade e esperança este tratamento, que esta mudando a vida dos portadores que estão recebendo fora do Brasil. É essencial que o acesso ao medicamento seja para todos! (Interessado no tema, 05/09/2018)

Identifica-se divergência de crenças representadas nas duas coalizões onde a Coalização A representa a não incorporação e a Coalização B a incorporação. Diante de uma conquista inicial da Coalização A, coube a Coalizão B utilizar-se de instrumentos do jogo político para tentar fazer valer o seu sistema de crença. A figura 2, apresenta o diagrama da ACF respectivo a esta primeira avaliação.

Figura 2: Diagrama da ACF – Momento 1 (2018).



Fonte: elaboração própria.

Assim fecha-se a análise do momento 1, consideram-se que os aspectos técnicos e científicos foram superiores aos posicionamentos políticos do momento o que levaram a manutenção da recomendação de não incorporação do medicamento.

Análise dos fatos, identificação das coalizões e seus sistemas de crença - Momento 2

O momento 2 surge imediatamente na sequência dos eventos anteriormente apresentados marcado pelo acatamento da SCTIE à recomendação da AGU (19/12/2018) e inicia-se com uma nova submissão de avaliação da incorporação de Nusinersena ao SUS em 22 de janeiro de 2019. O novo demandante é a indústria produtora do medicamento, a Biogen, que submeteu a avaliação considerando a indicação do Nusinersena para todos os tipos de AME.

O relatório de recomendação inicial divulgado, em 14/03/2019, apresentou parecer favorável a incorporação de Nusinersena nos casos de AME tipo I pois, considerou que os estudos apresentados que avaliavam a doença de início tardio eram insuficientes.

Destaca-se aqui, do ponto de vista da análise das evidências científicas, que foram apresentadas nos momentos 1 e 2, ambos os demandantes utilizaram as bases de dados PubMed, Cochrane, LILACS e EMBASE, divergindo apenas pela inclusão da CRD database (momento 2) sendo incluídos 5 estudos na primeira avaliação (momento 1) e 10 na segunda (momento 2). Ocorre que a segunda avaliação incluiu estudos de fase II (ECR) e estudos observacionais e de mundo real (fase IV) que foram excluídos na primeira análise.

De acordo com o Manual de graduação da qualidade da evidência e força de recomendação para tomada de decisão em saúde (BRASIL, 2014), estudos observacionais (comparados ou não) e opiniões de especialistas possuem níveis de evidência classificados como “Muito baixo” e não recomendados para influenciar a tomada de decisões em saúde.

Para compor o quadro de estudos apresentados na avaliação a Biogen apresentou as evidências informando que utilizou uma pergunta de pesquisa no formato PICO (P = pacientes; I = intervenção; C = comparador; O = desfechos) para busca e seleção de evidências. A estruturação da pergunta de pesquisa no formato PICO se apresentou da seguinte forma: “pergunta: Nusinersena é eficaz e seguro para o tratamento de pacientes com diagnóstico de AME 5q quando comparado ao placebo?”

Os critérios de inclusão consideraram estudos de metanálise, Revisões Sistemáticas (RS), Ensaios Clínicos Randomizados (ECR) fases II e III, estudos observacionais e de mundo real (fase IV). Com base na pergunta PICO estruturada acima, o demandante realizou, em 26 de abril de 2018, a busca nas bases de dados The Cochrane Library, PUBMED, LILACS e CRD, além de buscas manuais por artigos, pôsteres e resumos em congressos não indexados pelas bases de buscas utilizadas.

Das 88 publicações identificadas pelo demandante, seis foram excluídas por duplicidade. Ao final, nove estudos foram selecionados para análise, havendo a exclusão de 73 por estarem fora dos critérios de inclusão estabelecidos pela Biogen. Embora tenham sido selecionados 9 estudos, apenas 7 foram apresentados no relatório do demandante, que posteriormente, e após nova busca realizada, incluiu mais 2 estudos.

Dos 9 estudos apresentados pelo demandante, 6 foram incluídos na análise crítica da CONITEC, pois 3 tratavam-se de ensaios clínicos de fase II. Como o demandante realizou uma estratégia de busca simples, a CONITEC em sua análise crítica considerou relevante a atualização da busca, com utilização da ferramenta de busca avançada das bases. Além disso, foi feita inclusão da base de dados EMBASE, com o objetivo de localizar evidências complementares sobre o tema. A estratégia de busca realizada foi baseada nos critérios estabelecidos no PICO.

Após a atualização da busca e inclusão da base de dados EMBASE realizada pela CONITEC, foram identificados 429 estudos. Após a remoção das duplicatas, permaneceram um total de 310 estudos para a seleção e 32 foram selecionados para a leitura completa. Ao final, 10 estudos que respondiam à pergunta PICO foram incluídos e foram considerados na avaliação

O novo relatório apresentou como preço proposto pelo fabricante R$ 145.700,00 por frasco. Foi incluída ainda avaliação econômica tendo como comparador o não uso de tratamento modificador da doença, que apresentou razão de custo-efetividade incremental (RCEI) para a AME de início precoce de R$ 749.276,00 a R$ 1.023.351,00 por ano de vida ganho ajustado por qualidade (QALY), dependendo de quem avaliava as utilidades. É importante ressaltar essa informação tendo em vista que a CONITEC além de analisar os aspectos técnicos científicos relativos a segurança e eficácia dos medicamentos analisados, realiza a avaliação do impacto farmacoeconômico, importante para garantir o equilíbrio do sistema de saúde.

O relatório de recomendação da CONITEC apresentou como parecer inicial apresentada em sua 75ª reunião ordinária, no dia 14 de março de 2019, indicando que o tema fosse submetido à Consulta Pública com recomendação preliminar favorável à incorporação no SUS do Nusinersena para o tratamento da AME 5q tipo I com os seguintes condicionantes: para pacientes com menos de 7 meses de vida, com início de tratamento até 13 semanas após o diagnóstico e com diagnóstico genético confirmatório; atendimento em centros de referência com a disponibilização de cuidados multidisciplinares; protocolo clínico e diretrizes terapêuticas (com estabelecimento de critérios de inclusão, exclusão e interrupção); avaliação da efetividade clínica; reavaliação pela CONITEC em 3 anos; e doação pela empresa fabricante das 3 primeiras doses do tratamento de cada paciente (CONITEC, 2019).

A recomendação preliminar foi submetida à consulta pública por 10 dias (de 19 a 28 de março de 2019) e foram recebidas, no geral, 41.787 (quarenta e uma mil setecentos e oitenta e sete) contribuições, sendo 494 (quatrocentas e noventa e quatro) pelo formulário para contribuições técnico-científicas e 41.293 (quarenta e uma mil e duzentos e noventa e três) pelo formulário de experiência ou opinião. Das contribuições sobre experiência ou opinião, observou-se que 1.621 (mil seiscentas e vinte e uma) se manifestaram contrárias à recomendação preliminar da CONITEC. Destas, 800 discordaram parcialmente e 821 discordaram totalmente. 39.627 das contribuições concordaram com a recomendação preliminar, sendo que 26.767 concordaram parcialmente e 12.905 concordaram totalmente com a recomendação preliminar da CONITEC.

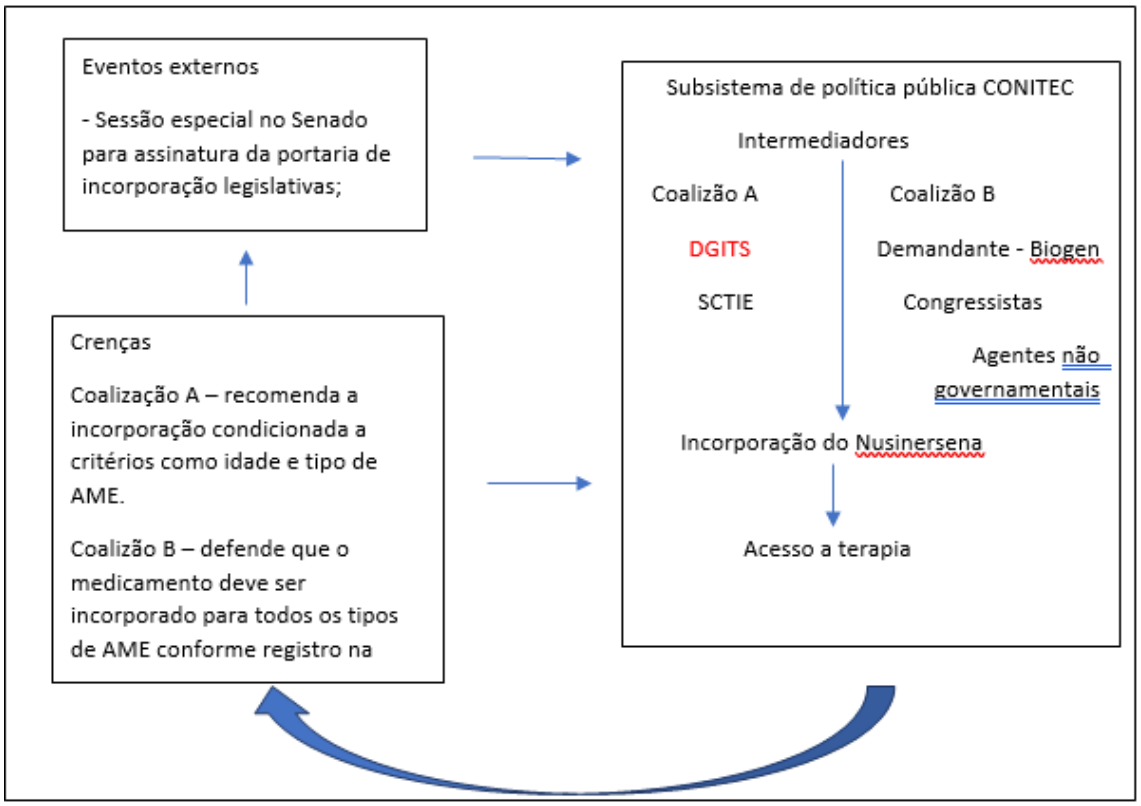
Analisando o relatório da CP 012/2019, verifica-se que a concordância parcial de 29.767 das contribuições se dá devido aos condicionantes relativos à idade e tipo de AME colocados pela CONITEC na recomendação inicial.

> Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A incorporação deve ser ampla, seguindo a bula aprovada pela Anvisa (Interessado no tema em 28/03/2019).
>
> Concordo parcialmente da recomendação preliminar, No Brasil. Uma país continental, com inúmeras disparidades econômicas, são poucos os centros de referência para a realização destes diagnósticos e para realizar o tratamento. Ao estabelecer a idade de 7 meses como corte, com início apenas nas 13 semanas após o diagnóstico, tais critérios irão excluir pacientes que se beneficiariam do tratamento, mas devido a dificuldades econômicas e técnicas para o diagnóstico preciso (genético) não receberão a medicação. Tais pontos devem ser rediscutidos e a rede de saúde, os centros de referência na investigação diagnóstica serem ampliados (Profissional de saúde, 26/03/2019)

Ressalta-se que, apesar do grande número de contribuições, não foram identificadas novas evidências científicas pela equipe técnica responsável pela análise das contribuições, não alterando, assim, a recomendação inicial da Comissão. Como a demanda foi para incorporação do Nusinersena para atrofia muscular espinhal 5q, sem tipificação, o Plenário considerou que, caso fossem apresentadas novas evidências sobre eficácia, efetividade e segurança do Nusinersena para tratamento dos tipos II e III de AME 5q, o tema poderia ser reavaliado.

No momento 2 embora o objetivo final de ambas as coalizões seja a incorporação há uma discordância em seus sistemas de crenças. De um lado a Coalizão A, que baseado nos aspectos técnicos impõe condicionantes a incorporação e do outro, a Coalizão B que possui a crença do medicamento como única alternativa disponível aos portadores de AME e desejam uma incorporação ampla. Mais uma vez, tem-se posição do medicamento como objeto simbólico que transita entre a ciência e a sociedade. A figura 3 apresenta o diagrama da ACF para o momento 2, bem como a composição das coalizões.

Figura 3: Diagrama da ACF – Momento 2



Fonte: elaboração própria.

Processo de aprendizado e mudança da política pública

Vê-se nesta análise que há um caminho percorrido na incorporação do Nusinersena ao SUS onde no momento 1 (2018) tem-se uma divergência dos aspectos técnicos e de forças políticas externas que divergem quanto a recomendação da CONITEC de não incorporação. E num segundo momento (2019) uma mudança no perfil de recomendação que passa a estabelecer condicionantes para a disponibilização do medicamento e avalia não somente a força das evidências científicas e dos aspectos econômicos, mas também a força da indústria farmacêutica e do seu papel mobilizador dos atores sociais quando observa-se, por exemplo o número de contribuições nas duas CP do nusinersena. Caetano et al. (2019) constatou que dos 172 relatórios com recomendação final favorável de incorporação pela CONITEC entre janeiro de 2012 e abril de 2019, 123 foram submetidos à consulta pública. As contribuições do Nusinersena correspondem a 55,8% do total de 74.900 contribuições. O número máximo de contribuições até então tinha ocorrido na avaliação das insulinas análogas de ação prolongada para o tratamento de diabetes mellitus tipo I, com 2.574 contribuições.

A análise deste estudo aponta que o processo de incorporação de Nusinersena para AME 5q tipo I ao SUS é o resultado dos processos de interação das coalizões no âmbito do subsistema, resultado semelhante ao encontrado por Almeida et al. (2022) ao analisar a política nacional de DST/Aids sob a perspectiva do modelo de coalizões de defesa.

Observou-se que não houve mudança na ciência, o que mudou foram os atores e a forma como estes se agruparam em suas coalizões e realizaram a interpretação dos dados apresentados. Assim percebe-se que os sistemas de crenças daqueles relacionados a análise da matéria promoveram a mudança política.

CONSIDERAÇÕES FINAIS

A CONITEC, analisada neste estudo enquanto subsistema de acordo com os critérios de Sabatier (1988), é no Brasil, a instituição que realiza a ATS para o SUS e emite relatório final como recomendação para a decisão do secretário da SCTIE/MS e suas recomendações são usualmente subscritas por estes dirigentes. Mesmo em casos de tratamentos para doenças raras como a AME em que há um número reduzido de estudos científicos que respaldem a eficácia e segurança dos medicamentos e que seja possível argumentar contra os critérios de priorização do que vem sendo avaliado e incorporado, os processos de análise de incorporação são geralmente conduzidos com agilidade e transparência.

Entretanto, as análises da aprovação para a incorporação do Nusinersena, chamadas aqui de momentos 1 e 2 contestam, em parte, a premissa de transparência do processo. Aparentemente, não houve a apresentação de novas evidências que justificassem a mudança de recomendação e este fato chama ainda mais atenção quando observamos o intervalo de tempo entre as divulgações dos relatórios de recomendação (apenas 6 meses).

Outro ponto a ser destacado é pedido de avaliação da SCTIE/MS enviado à AGU quanto a possibilidade de incorporação contrária a recomendação inicial do momento 1, que demonstra clara intenção de contornar o processo, tornando a incorporação apenas uma decisão política, sem o fulcro essencial da evidência científica e da análise técnica.

A avaliação e incorporação tecnológicas prevê que sejam utilizadas boas práticas na sua realização ancorando-se nos aspectos da transparência e da ética, sendo estes marcos essenciais para o reconhecimento das decisões pela sociedade. Quando não houve a divulgação do relatório final de incorporação na avaliação do momento 1, houve um deslize na efetivação desses princípios. A realização de nova avaliação logo em seguida e uma

postura diversa da adotada anteriormente deixam uma lacuna na análise de que fatos foram acrescidos para a mudança da tomada de decisão.

Nas avaliações de tecnologia, especialmente nos casos que envolvem a saúde pública é necessário que haja transparência e adoção de critérios de priorização para dar retorno à sociedade sobre decisões tomadas. Recomendar a incorporação com evidências que praticamente não sofreram alterações devido ao curtíssimo período entre as duas avaliações, com investimento de altíssimos valores em um único medicamento, é sem dúvida uma decisão de risco, especialmente quando olhamos o contexto da saúde no Brasil que enfrenta ao mesmo subfinanciamento e fenômeno da judicialização da saúde.

Ao utilizarmos a ACF abriu-se um olhar sobre a força das formações das coalizões e como estas podem influenciar a tomada de decisões e a mudança de aspectos relacionados as políticas públicas neste caso em especial, quanto as políticas de acesso a medicamentos para doenças raras. A CONITEC como subsistema de política pública no que refere-se ao aprendizado orientado às políticas públicas enquanto aspecto teórico definido como "alterações duradouras de pensamentos ou intenções comportamentais que resultam da experiência e que estão relacionadas com a obtenção ou revisão dos preceitos do sistema de crenças (e objetivos políticos) dos indivíduos ou dos grupos" (SABATIER; JENKINS-SMITH, 1999,) que diversos fatores contribuem para o aprendizado dentro e entre subsistemas, tais como as regras dos espaços de elaboração política. Dessa forma, as coalizões aprendem na medida em que se engajam no processo político e adaptam os aspectos instrumentais do seu sistema de crenças a partir do acesso a novas informações e evidências, desde que não interfiram nos recursos e atributos de cooperação de uma coalizão (WEIBLE; JENKINS-SMITH, 2016; CAIRNEY, 2015).

No caso do Nusinersena há um evidente aprendizado entre as coalizões que reforçou seus sistemas de crenças e levaram a incorporação do medicamento em 2019 para AME 5q tipo I e posteriormente novas avaliações foram realizadas para que a mudança da recomendação inicial de 2018 ocorre-se de forma completa com o medicamento sendo incorporado para o tipo II, bem como a inserção e avaliação de outros medicamentos de altíssimo custo, destinados ao tratamento da AME.

REFERÊNCIAS

AITH, F.; BUJDOSO, Y.; NASCIMENTO, P. R. do; DALLARI, S. G. Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. **Revista de Direito Sanitário**, *[S. l.]*, v. 15, n. 1, p. 10-39, 2014.

DOI: 10.11606/issn.2316-9044.v15i1p10-39. Disponível em: https://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/82804. Acesso em: 11 set. 2021.

ALMEIDA, A. I. S., RIBEIRO, J. M., e BASTOS, F. I. (2022). Análise da política nacional de DST/Aids sob a perspectiva do modelo de coalizões de defesa. Ciência & Saúde Coletiva, 27(3), 837–848. https://doi.org/10.1590/1413-81232022273.45862020

BIGLIA, L.V, MENDES, S. J., LIMA, T.M, AGUIAR, P.M. Incorporações de medicamentos para doenças raras no Brasil: é possível acesso integral a estes pacientes? Ciência e Saúde Coletiva [periódico na internet] (2020/Jul). [Citado em 28/06/2021]. Disponível em: http://www.cienciaesaudecoletiva.com.br/artigos/incorporacoes-de-medicamentos-para-doencas-raras-no-brasil-e-possivel-acesso-integral-a-estespacientes/17706?id=17706&id=17706&id=17706&id=17706&id=17706

BRASIL, Ministério da Saúde. Secretaria-Executiva. Área de Economia da Saúde e Desenvolvimento. Avaliação de tecnologias em saúde: ferramentas para a gestão do SUS / Ministério da Saúde, Secretaria-Executiva, Área de Economia da Saúde e Desenvolvimento. – Brasília : Editora do Ministério da Saúde, 2009. 110 p. : il. – (Série A. Normas e Manuais Técnicos)

BRASIL. Lei Nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Altera a Lei Nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Brasília, DF; 2011 [citado 01 de junho de 2017]. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/lei/l12401.htm.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM nº199 de 30 de janeiro de 2014. Institui a política nacional de atenção integral às pessoas com doenças raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. Brasília, 2014.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Ciência e Tecnologia. Diretrizes metodológicas: Sistema GRADE – Manual de graduação da qualidade da evidência e força de recomendação para tomada de decisão em saúde / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, Departamento de Ciência e Tecnologia. – Brasília: Ministério da Saúde, 2014. 72 p.

BRASIL. PORTARIA SCTIE-MS N.º 19, de 26 de MAIO de 2015. Torna pública a decisão de aprovar a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS. Disponível em: relatrio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf (bvsalud.org).

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Entendendo a Incorporação de Tecnologias em Saúde no SUS: como se envolver [recurso eletrônico] / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. – Brasília: Ministério da Saúde, 2016. 34 p. : il.

CAETANO, R., HAUEGEN, R. C., OSORIO-DE-CASTRO, C. G. S. (2019). A incorporação do nusinersena no Sistema Único de Saúde: uma reflexão crítica sobre a institucionalização da

avaliação de tecnologias em saúde no Brasil. Cadernos De Saúde Pública, 35(8), e00099619. https://doi.org/10.1590/0102-311X00099619.

CAIRNEY, P. Paul A. Sabatier, “An advocacy coalition framework of policy change and the role of policy-oriented learning therein”. In: LODGE, M; PAGE, E. C.; BALLA S. S. (org.). The Oxford handbook of classics in public policy and administration. Oxford and New York: Oxford University Press, 2015, p. 484-497.

CARVALHO, José Mauricio Avilla. Educação em disputa: uma análise sobre os conflitos decorrentes da reforma do ensino médio no Brasil sob o prisma do modelo de coalizões de defesa. 2019. 135 f.. Dissertação(Mestrado em Administração– - Instituto de Ciências Sociais Aplicadas/Instituto Três Rios/Instituto Multidisciplinar de Nova Iguaçu, Universidade Federal Rural do Rio de Janeiro, Seropédica, 2019.

CASTRO, R. Pesquisa clínica, ética e direito à saúde: práticas emergentes de bioativismo científico no brasil. **Vivência: Revista de Antropologia**, *[S. l.]*, v. 1, n. 51, 2019. DOI: 10.21680/2238-6009.2018v1n51ID17173. Disponível em: https://periodicos.ufrn.br/vivencia/article/view/17173.

CERQUEIRA, K. C.. Coalizões de defesa para uma nova política de desenvolvimento. Brasília: Enap, 2020.55 p. : il. -- (Cadernos Enap, 67).

CONITEC. Relatório de recomendação. Agosto 2018. Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal 5q. Disponível em https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2018/relatrio_nusinersena_5q_tipo_i_2018_cp.pdf

CONITEC. Relatório de recomenda nº449, abril 2019. Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal 5q. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relatorio_Nusinersena_AME5q.pdf

DALLARI, S. G. Fornecimento do medicamento pós-estudo em caso de doenças raras: conflito ético. Revista Bioética, [s.l.], v. 23, n. 2, p.256-266, ago. 2015. Disponível em: https://www.scielo.br/j/bioet/a/fq5BxsxMNSjYfJ8cPDMfFGp/?lang=pt&format=pdf

DESCLAUX, A. e LÉVY, J.-J. (2003). Présentation : cultures et médicaments. Ancienobjet ou nouveau courant en anthropologie médicale? Anthropologie et Sociétés, 27(2), 5–21. https://doi.org/10.7202/007443ar

DIAS C. Z, et al. Integrative Review of Managed Entry Agreements: Chances and Limitations. Farmacoeconomia. 2020;38(11):1165-1185. DOI:10.1007/s40273-020-00943-1

DINIZ, D., MEDEIROS, M., SCHWARTZ, I. V. D. (2012). Consequências da judicialização das políticas de saúde: custos de medicamentos para as mucopolissacaridoses. Cadernos De Saúde Pública, 28(3), 479–489. https://doi.org/10.1590/S0102-311X2012000300008

DUNKLE, M., PINES, W., SALTONSTALL, P.L. (2010). Advocacy Groups and Their Role in Rare Diseases Research. In: Posada de la Paz, M., Groft, S. (eds) Rare Diseases Epidemiology. Advances in Experimental Medicine and Biology, vol 686. Springer, Dordrecht. https://doi.org/10.1007/978-90-481-9485-8_28

FINKEL, RS, MERCURI E, DARRAS, BT, et al. Nusinersen versus Controle Simulado na Atrofia Muscular Espinhal de Início Infantil. N Engl J Med. 2017;377(18):1723-1732. DOI:10.1056/NEJMoa1702752

JABLONKA, S., HENNLEIN, L. SENDTNER, M. Therapy development for spinal muscular atrophy: perspectives for muscular dystrophies and neurodegenerative disorders. *Neurol. Res. Pract.* 4, 2 (2022). https://doi.org/10.1186/s42466-021-00162-9

KRANTZ, JC Jr. Novas drogas e a emenda Kefauver-Harris. J Novas Drogas. 1966;6(2):77-79.

LIMA, M. A. de F. D. de., GILBERT, A. C. B., HOROVITZ, D. D. G.. (2018). Redes de tratamento e as associações de pacientes com doenças raras. Ciência & Saúde Coletiva, 23(10), 3247–3256. https://doi.org/10.1590/1413-812320182310.14762018

LUZ, M. T.: Contribuição do conceito de racionalidade médica para o campo da saúde: estudos comparativos de sistemas médicos e práticas terapêuticas. In: Racionalidades e práticas integrativas em saúde / Madel T. Luz, Nelson F. Barros (Org.), prefácio de Roseni Pinheiro. p.15 - Rio de Janeiro: UERJ/IMS/LAPPIS, 2012. 452 p.

MORAES, G. C. Farmácia como estabelecimento de saúde: Uma leitura das coalizões de defesa para a discussão da implementação da lei 13.021/2014 - Gláucia Costa de Moraes; orientador João Mendes da Rocha Neto. - Brasília, 2022. 93 p. Dissertação (Mestrado - Mestrado Profissional em Administração) - Universidade de Brasília, 2022.

OLIVEIRA. C.C.: Doenças raras: qual a coisa certa a fazer? Escola Nacional de Saúde Pública Sérgio Arouca – ENSP. Informes. 25/05/2022. Disponível em: Doenças raras: qual a coisa certa a fazer? (fiocruz.br).

Orphan Drug Act of 1983. Pub L. No. 97–414, 96 Stat. 2049.

PASCARELLI, DBN, PEREIRA, ÉL. Doenças raras no Congresso Nacional brasileiro: análise da atuação parlamentar. Cad Saúde Pública [Internet]. 2022;38(6):e00167721. Available from: https://doi.org/10.1590/0102-311XPT167721.

PENAFORTE, T. R.. O negacionismo enquanto política: o debate da cloroquina em uma comissão parlamentar. Cadernos de Saúde Pública [online]. 2021, v. 37, n. 7 [Acessado 14 dezembro 2021], e00023021. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/0102-311X00023021>. Epub 13 Ago 2021. ISSN 1678-4464. https://doi.org/10.1590/0102-311X00023021.

PUTKPWSKI, S. The National Organization for Rare Disorders (NORD): Providing Advocacy for People With Rare Disorders. NASN School Nurse. 2010;25(1):38-41. Doi:10.1177/1942602X09352796

QIU, Jiaying, WU, Liucheng, QU, Ruobing, JIANG, Tao, BAI Jialing, SHENG, Lei, FENG, Pengchao, SUN, Junjie. History of development of the life-saving drug “Nusinersen” in spinal muscular atrophy. Frontiers in Cellular Neuroscience. V. 16 , 2022.

RABINOW, Paul. ‘‘Artificiality and Enlightenment: From Sociobiology to Biosocial-ity,’’ in Mario Biagioli (ed.), The Science Studies Reader. New York: Routledge, 1999, pp. 407–416.

REMUZZI G, GARATTINI S. Rare diseases: what's next? Lancet 2008; 371(9629):1978-1979. Schieppati A, Henter JI, Daina E, Aperia A. Why rare diseasese84ssentialsportant medical and social issue. Lancet 2008; 371(9629):2039-2041.

SABATIER, P.A. 1988. "An Advocacy Coalition Framework of Policy Change and the Role of Policy-Oriented Learning Therein." Policy Sciences 21:129–168.

SABATIER P.A; JENKINS-SMITH, H C. The essential coalition fremework: na assessment. In: Sabatier PA, editors. Theories of the Policy Process. Boulder: Westview Press; 1999. P. 117-166

SABATIER, P. A, WEIBLE, C.M. The advocacy coalition framework: innovations and clarifications. In: Sabatier PA, editor. Theories of the policy process. Boulder: Westview Press; 2007.

SCHIEPPATI A., HENTER JI., DAIANA, E., APERIA, A. Por que as doenças raras são uma questão médica e social importante. *Lancet*. 2008;371(9629):2039-2041. DOI:10.1016/S0140-6736(08)60872-7

SOUZA, M. V. et al. Medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil: o exemplo das doenças lisossômicas. Ciência & Saúde Coletiva [online]. 2010, v. 15, suppl 3 [Acessado 29 Setembro 2021], pp. 3443-3454. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S1413-81232010000900019>. Epub 19 Nov 2010. ISSN 1678-4561. https://doi.org/10.1590/S1413-81232010000900019.

STJ. ProAfR nº Resp 1.657.156/RJ. Relator: MINISTRO BENEDITO GONÇALVES. Data de Julgamento: (26/04/2017). DJe: (03/05/2017)

SWANN J. The story behind the Orphan Drug Act. 2018. https://www.fda.gov/industry/orphan-productsdevelopment-events/story-behind-orphan-drug-act. Accessed 15 Feb 2022.

THAMER, M., BRENNAN, N., SEMANSKY, R. A cross-national comparison of orphan drug policies: implications for the U.S. Orphan Drug Act. *J Health Polit Policy Law*. 1998;23(2):265-290. doi:10.1215/03616878-23-2-265

TOBAR, F., MARTICH,E (2014). "Economic tools for security access to pharmaceuticals in Latin-American countries". Pharmaceuticals Policy and Law 16 (2014) 207–224 (traducción de los autores).

TUSSET, D., SANTOS, L. dos, MERCHAN-HAMANN, E., CALMON, PCDP. Programa Academia da Saúde: correlação entre internações por doenças crônicas não transmissíveis e adesão nos municípios brasileiros, 2011-2017. Epidemiol Serv Saúde [Internet]. 2020;29(5):e2019453. Available from: https://doi.org/10.1590/S1679-49742020000500013

VICENTE, G., CUNICO, C., LEITE, S. N. Transformando incertezas em regulamentação legitimadora? As decisões das agências NICE e CONITEC para doenças raras. Ciência & Saúde Coletiva [online]. v. 26, n. 11 [Acessado 3 Julho 2023] , pp. 5533-5546. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/1413-812320212611.34542020>. ISSN 1678-4561. https://doi.org/10.1590/1413-812320212611.34542020.

VICENTE, V. M. B.; CALMON, P. C. D. P. A análise de políticas públicas na perspectiva do modelo de coalizões de defesa. Rio de Janeiro: XXXV Encontro da ANPAD, 2011. Disponível em: <http://www.anpad.org.br/admin/pdf/APB2163.pdf>.

WHO. Expanding access to effective treatments for câncer and rare and orphan diseases, including medicines, vaccines, medical devices, diagnostics, assistive products, cell- and gene-based therapies andother health technologies; and improving the transparency of markets for medicines, vaccines, and other health products. Relatório do Diretor-Geral. 2020. Disponível em: https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/EB148/B148_9-en.pdf

4.3. PRODUTO TÉCNICO – E-BOOK

Foi elaborado um *e-book* colaborativo cujo público-alvo é formado pelos profissionais do direito que atuam na saúde. A escolha deste formato está diretamente ligada às características do público a que se destina, já estes tendem a ter apreço pela leitura de materiais técnicos e com textos mais extensos.

Os livros digitais têm ganhado cada vez mais espaço como fontes de informação uma vez que apresentam inúmeras vantagens na sua adoção, tais como a praticidade e disponibilidade por se tratar um arquivo digital que pode ser facilmente acessado em dispositivos eletrônicos que tenham acesso à internet como smartphones, tablets e outros.

Os capítulos foram escritos por profissionais da área farmacêutica com experiência relacionada à temática proposta para cada capítulo, cabendo a autoria de capítulo 5 a mestranda, bem como a organização do *e-book*.

A proposta de elaboração de um *e-book* colaborativo contendo temas vinculados à Assistência Farmacêutica com um olhar voltado para os operados do direito, se deu ao fato da inserção profissional da mestranda como farmacêutica do Centro de Apoio Operacional de Defesa da Saúde (CESAU), órgão do Ministério Público da Bahia.

Público-alvo

Promotores de justiça, defensores de justiça, advogados que atuam no campo do direito à saúde.

Capítulos:

1. SUS e as políticas farmacêuticas
2. Assistência Farmacêutica e direito a saúde
3. Regulação econômica do mercado de medicamentos no Brasil

4. CONITEC e seu papel na incorporação de tecnologias em saúde
5. Medicamentos oncológicos no SUS
6. Sangue e hemoderivados

ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA PARA OPERADORES DO DIREITO

O que é preciso saber.

ORGANIZAÇÃO
CATARINE PEREIRA
PATRÍCIA SODRÉ
THAÍS PENAFORTE

ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA PARA OPERADORES DO DIREITO

O que é preciso saber.

1ª edição

Organizadores

Catarine dos Santos Pereira

Farmacêutica, mestranda do Programa de Pós-Graduação em Saúde Coletiva (MEPISCO) do DCV-UNEB. Especialista em Farmácia Hospitalar (2011). Assessora técnico Farmacêutica do Centro de Apoio Operacional de Defesa da Saúde - CESAU, Ministério Público do Estado da Bahia - MPBA.

Patrícia Sodré Araújo

Farmacêutica, Doutora em Saúde Pública (2016) com concentração em Planificação e Gestão em Serviços de Saúde e Mestre em Saúde Comunitária (2008) área de concentração em Ciências Sociais em Saúde pelo Instituto de Saúde Coletiva da Universidade Federal da Bahia. Professora Adjunta do Departamento de Ciências da Vida da Universidade do Estado da Bahia. Docente e orientadora do quadro permanente do Programa de Pós-Graduação em Saúde Coletiva (MEPISCO) do DCV-UNEB. Pesquisadora no Programa Integrado de Pesquisa, Ensino e Cooperação Técnica em Vigilância Sanitária do Instituto de Saúde Coletiva da Universidade Federal da Bahia, também Centro Colaborador em Vigilância Sanitária.

Thaís Rodrigues Penaforte

Farmacêutica, Doutora em Ciências Farmacêuticas pela Universidade de São Paulo (2011) e Mestre em Saúde na Comunidade pela Universidade de São Paulo (2006). Graduanda em Antropologia na Universidade Federal da Bahia. Atua como docente e orientadora do quadro permanente do Programa de Pós-Graduação em Saúde Coletiva (MEPISCO) do DCV-UNEB e docente colaboradora no Programa de Pós-graduação em Estudos Interdisciplinares sobre a Universidade (EISU) e professora associada na Universidade Federal da Bahia. Membro do Observatório de Riscos e Vulnerabilidade Socioambientais da Baía e Todos os Santos ObservaBaía/UFBA.

MEPISCO – UNEB
2023

Dados Internacionais de Catalogação na Publicação (CIP)
(Câmara Brasileira do Livro, SP, Brasil)

Assistência farmacêutica para operadores do direito [livro eletrônico] : o que é preciso saber / organização Catarine dos Santos Pereira, Patrícia Sodré Araújo, Thaís Rodrigues Penaforte. -- Salvador, BA : Ed. dos Autores, 2023.
PDF

Vários autores.
Bibliografia.
ISBN 978-65-00-74096-7

1. Assistência farmacêutica 2. Direito à saúde 3. Saúde pública 4. Sistema Único de Saúde (Brasil) I. Pereira, Catarine dos Santos. II. Araújo, Patrícia Sodré. III. Penaforte, Thaís Rodrigues.

23-165240 CDD-362

Índices para catálogo sistemático:

1. Assistência farmacêutica : Saúde pública : Bem-estar social 362

Aline Graziele Benitez - Bibliotecária - CRB-1/3129

APRESENTAÇÃO

Temos a satisfação de apresentar à comunidade acadêmica e ao Centro Operacional de Defesa da Saúde do Ministério Público do Estado da Bahia *o e-book* colaborativo Assistência Farmacêutica para Operadores do Direito: o que é preciso saber. A proposta do e-book foi de reunir temas relacionados às políticas farmacêuticas produzidos por professores e pesquisadores da área da Saúde Coletiva com experiência profissional na área de Assistência Farmacêutica e que pudessem servir como consulta aos operadores do direito, a exemplo dos Advogados e Advogadas, Promotores e Promotoras de Justiça, Defensores e Defensoras públicas e outros interessados.

A 1ª edição do *e-book* foi organizado em seis capítulos. O primeiro capítulo teve como objetivo discorrer sobre as principais políticas farmacêuticas instituídas em consonância com o SUS evidenciando a transversalidade desse tema nas várias áreas e campos de conhecimento. Abordou questões sobre os medicamentos como instrumentos da terapêutica, bem como das conjunturas envolvidas nos processos políticos que envolvem os medicamentos.

O capítulo dois discutiu a interface entre a Política de Assistência Farmacêutica e o direito a saúde. Neste capítulo as autoras apresentaram abordagem histórica que parte dos movimentos sociais, como a Reforma Sanitária Brasileira até a promulgação da Constituição Federal de 1988 além de discutir os desafios do acesso aos medicamentos na perspectiva da garantia do direito constitucional à saúde.

O capítulo três, intitulado Regulação econômica do mercado de medicamentos no Brasil, procurou descrever as principais características da política de regulação econômica do mercado de medicamentos no Brasil e sua inserção nas estratégias de promoção ao acesso de medicamentos. O autor discorre sobre o papel da ANVISA, através da CMED, na regulação e precificação de medicamentos no Brasil e os impactos esse tipo de regulação de mercado podem trazer para a sociedade.

O capítulo 4 avança apresentando a questão da incorporação de medicamentos ao elenco do SUS. Nesta parte do texto a autora discute os aspectos que envolvem a incorporação de medicamentos ao SUS, os critérios utilizados e como a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia ao Sistema Único de Saúde (CONITEC) atua no assessoramento ao Ministério da Saúde na matéria de avaliação de novas tecnologias,

incluindo os medicamentos, a revisão da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME e a elaboração de Protocolos clínicos para o SUS.

O capítulo seguinte apresentou a problemática que envolve a política e o financiamento dos medicamentos oncológicos no Sistema Único de Saúde. A autora buscou evidenciar a discussão sobre as principais razões da judicialização desses medicamentos bem como apresentar a organização dos serviços para disponibilizar o tratamento a esse grupo de pacientes.

Por fim, o capítulo seis apresentou as questões relacionadas à disponibilização sangue e hemoderivados regulamentada a partir da Política Nacional de sangue e hemoderivados. Os autores apresentam conceitos e discutem aspectos da legislação sobre o tema.

A reunião de tais temas neste e-book pretende contribuir com o conhecimento dos operadores do direito sobre questões relacionadas à Assistência Farmacêutica e ao acesso aos medicamentos e outras tecnologias no SUS de forma a contribuir com a prática cotidiana desses atores.

Uma excelente leitura.

As organizadoras.

AUTORES (AS)

Tatiane de Oliveira Silva Alencar

Farmacêutica. Doutora em Saúde Pública pelo Instituto de Saúde Coletiva – ISC/UFBA. Docente do Departamento de Saúde da Universidade Estadual de Feira de Santana (UEFS). Email: tosalencar@uefs.br

Neemias Santana da Conceição Oliveira

Farmacêutico pela Universidade do Estado da Bahia-UNEB, especialista em Assistência Farmacêutica pela Universidade Federal da Bahia, Mestre em Saúde Coletiva pela UNEB. Atua como farmacêutico nas áreas de assuntos regulatórios e gestão da qualidade na indústria farmacêutica. E-mail: neemiasfarma@gmail.com

Catarine dos Santos Pereira

Farmacêutica. Mestranda em Saúde coletiva – MEPISCO UNEB. Farmacêutica do Centro de Apoio Operacional de Defesa da Saúde – CESAU, Ministério Público da Bahia. E-mail: cspereira2021@gmail.com

Ariane Batista Lage

Farmacêutica – UNEB. Especialista em Avaliação de Tecnologias em Saúde – UFBA. Especialista em Oncologia e Hematologia - Faculdade Unyleya.

Mariluce Karla Bomfim de Souza

Graduada em Enfermagem pela Universidade Estadual de Santa Cruz (UESC). Mestre em Saúde Coletiva pela Universidade Estadual de Feira de Santana (UEFS) e Mestre em Enfermagem pela Universidade Federal da Bahia (UFBA). Doutora em Saúde Pública pela UFBA. Realizou pós-doutorado na Universidad Complutense de Madrid, Espanha (UCM/ES). Professora Associada do Instituto de Saúde Coletiva da Universidade Federal da Bahia (ISC/UFBA). Pesquisadora na área de Política, Planejamento e Gestão em Saúde. Integra o Eixo de Estudos e Pesquisas em Políticas de Medicamentos, Sangue, Assistência Farmacêutica e Vigilância Sanitária.

Marinho Marques da Silva Neto

Graduado em Medicina pela Escola Bahiana de Medicina e Saúde Pública (EBMSP). Residência Médica em Hematologia e Hemoterapia no Hospital Universitário Professor Edgard Santos da Universidade Federal da Bahia (HUPES/UFBA). Mestre e Doutor em Patologia Humana pela UFBA. Realizou pós-doutorado no Programa de Pós-Graduação em Medicina e Saúde da UFBA. Professor Adjunto de Hematologia da Universidade do Estado da Bahia (UNEB). Professor Permanente do Mestrado Profissional em Saúde Coletiva (MEPISCO) da UNEB. Médico Hematologista e Hemoterapeuta da Fundação de Hematologia e Hemoterapia da Bahia (Hemoba). Pesquisador na área de Hematologia, Hemoterapia e Gestão em Saúde.

Yara Oyram Ramos Lima

Doutora em Saúde Pública (2013), e Mestre em Saúde Comunitária pelo Instituto de Saúde Coletiva da Universidade Federal da Bahia (2008), Especialista em Saúde Coletiva na área de Portos, Aeroportos e Fronteiras pela Universidade Federal da Bahia (2006), graduada em Direito pela Universidade Estadual de Santa Cruz (2003). Atualmente é professora adjunta II do Instituto de Saúde Coletiva da Universidade Federal da Bahia (ISC/UFBA) e pesquisadora no Programa Integrado de Pesquisa, Ensino e Cooperação Técnica em Vigilância Sanitária do Instituto de Saúde Coletiva da Universidade Federal da Bahia, também Centro Colaborador em Vigilância Sanitária. Atua na Secretaria Executiva do eixo temático Estudos e Pesquisas em Políticas de Medicamentos, Sangue, Assistência Farmacêutica e Vigilância Sanitária do OAPS (Observatório de Análise Política em Saúde - ISC/UFBA).

Andrija Oliveira Almeida

Graduada em Ciências Sociais (UFBA), Pedagogia (UNEB) e Direito (UCSAL), doutoranda em Ciências Sociais (FFCH-UFBA), mestre em Saúde Comunitária (ISC/UFBA /Área de Concentração: Ciências Sociais e Saúde), especialista em Metodologia da Pesquisa, Ensino e Extensão em Educação (UNEB), integrante do Laboratório de Estudos sobre Crime e Sociedade - LASSOS (FFCH-UFBA).

CAPÍTULO I

Sistema Único de Saúde e políticas farmacêuticas

Tatiane de Oliveira Silva Alencar

A questão dos medicamentos tem sido caracterizada por um processo conflituoso que tem assumido conformações distintas a partir de ações governamentais em diferentes conjunturas. Isso pode ser atribuído ao fato de que, além de serem produtos dotados de propriedades técnicas e necessários à saúde, os medicamentos incorporam, de modo simultâneo, características políticas, econômicas, ideológicas e simbólicas (LEFÈVRE, 1991).

Em todo o mundo, o debate em torno dos medicamentos é intenso, haja vista que eles representam um elemento importante nas despesas totais em saúde (CHIEFFI; BARATA, 2009; LOPERT, 2007; VIEIRA; ZUCCHI, 2013) e também nas discussões sobre as políticas públicas de saúde.

Desde a década de 1970 já havia, no contexto internacional, discussões sobre a necessidade mundial de implementação de políticas de medicamentos. Essas discussões foram motivadas pela Organização Mundial de Saúde (OMS) e tiveram como foco a acessibilidade, a disponibilidade e o uso racional, tendo produzido documentos norteadores para elaboração dessas políticas (WHO, 1988; OPS, 1995).

Contudo, há ainda iniquidades na saúde, de modo que, pelo menos um terço da população mundial não tem acesso regular a medicamentos (WHO, 2011). No cenário mundial, a disponibilidade de medicamentos essenciais no setor público é menor que no setor privado, havendo grandes desigualdades na disponibilidade e no acesso desses fármacos, e ainda preços excessivos (UN, 2012; CAMERON et al, 2009).

Nos países desenvolvidos com sistemas de saúde universais, a exemplo da França, Canadá, Dinamarca, Itália, Noruega, Portugal, Suécia, Brasil e países do Reino Unido (Conill, 2008; Giovanella *et al*., 2012; Cordilha; Lavinas, 2018), a questão dos medicamentos, especialmente no que diz respeito ao direito ao acesso, apresenta algumas particularidades sendo também um processo complexo.

Particularmente no Brasil, há marcos importantes de políticas relativas a medicamentos antes mesmo da institucionalização do Sistema Único de Saúde (SUS), por meio da Lei Orgânica da Saúde nº 8080, de 19 de setembro de 1990. Contudo, foram os princípios de universalidade, equidade e integralidade que motivaram um ordenamento das ações do Estado relacionadas aos medicamentos, tendo sido produzidas um conjunto de políticas orientadoras de sua relação com a sociedade e o mercado, as quais podem ser

denominadas políticas farmacêuticas. Nesse processo, houve uma mudança de perspectiva centrada na disponibilidade do medicamento para uma vertente mais ampla, centrada nas necessidades de saúde da população, sem perder de vista a promoção do uso racional e a qualificação dos profissionais de saúde envolvidos com a assistência farmacêutica.

São mais de 30 anos de SUS e, obviamente, também são muitas as políticas farmacêuticas instituídas nesse período, e que tem sido objeto de investigações diversas, haja vista a complexidade envolvida com esse tema. Neste sentido, o objetivo deste capítulo é discorrer sobre as principais políticas farmacêuticas instituídas em consonância com o SUS, que tem orientado outras políticas nos dias atuais, e que evidenciam a transversalidade desse tema nas várias áreas e campos de conhecimento.

Para tanto, inicialmente serão apresentadas algumas definições sobre medicamentos e políticas farmacêuticas para, posteriormente, discutir os principais marcos que fazem interface com a área do Direito.

Medicamento: alguns elementos conceituais para sua reflexão

SUS se constituiu numa conjuntura de correlação de forças e protagonizado pelo movimento sanitário brasileiro na luta pela democracia pela saúde, que foi incorporada no capítulo sobre Saúde constante na Constituição Federal e, posteriormente, nos marcos legais que orientam sua implementação, especialmente as Leis nº 8080, de 19 de setembro de 1990 e a de nº 8.142, de 28 de dezembro de 1990 (PAIM, 2008). A criação do SUS é, portanto, um dos produtos do movimento sanitário, cuja pauta mantém ativa elementos para a sua sustentabilidade.

Com sucessos e retrocessos na implementação de programas de saúde e na organização de seu sistema de saúde, o Brasil tem alcançado acesso quase universal aos serviços de saúde para a população (CASTRO et al., 2019). Nesse movimento pelo estabelecimento de um sistema universal de saúde, a pauta do medicamento e suas relações com a sociedade esteve presente, haja vista que esta sempre foi uma preocupação de sanitaristas. Ainda que muito enfatizada no aspecto da disponibilidade de medicamentos, já se reconhecia a relevância deste insumo para a garantia da assistência integral à saúde. Também abrangia a pesquisa e desenvolvimento de fármacos, o controle de qualidade, o uso racional, a qualidade dos serviços prestados e o uso da flora brasileira (ALENCAR, 2017). Aspectos estes que delinearam as discussões e instituição das políticas farmacêuticas vigentes.

Nos países desenvolvidos com sistemas de saúde universais, a exemplo da França, Canadá, Dinamarca, Itália, Noruega, Portugal, Reino Unido, Suécia e Brasil (Conill, 2008; Giovanella et al., 2012; Cordilha e Lavinas, 2018), a questão dos medicamentos, especialmente no que diz respeito ao direito ao acesso, apresenta algumas particularidades sendo também um processo complexo.

No Brasil, as políticas voltadas para a os medicamentos e para a organização da Assistência Farmacêutica tornaram-se um marco legal de grande relevância para o Sistema Único de Saúde (SUS), por causa de ações destinadas ao desenvolvimento e produção local de insumos e medicamentos voltados para as necessidades da população brasileira, à promoção do uso racional e à qualificação dos profissionais de saúde envolvidos com medicamentos (ALENCAR, 2017).

Com base na complexidade que envolve este produto, em particular no contexto do SUS, algumas reflexões conceituais sobre o medicamento são fundantes para a compreensão sobre a políticas farmacêuticas. O medicamento pode ser entendido como um objeto da ciência dotado de propriedades técnicas, que o caracteriza como recurso terapêutico da era moderna, mas é também um produto que se insere no mercado e na sociedade, estabelecendo interação entre esses âmbitos (ciência, mercado e sociedade), com implicação nas relações de produção social (PIGNARRE, 1999). Assim, o medicamento pode ser entendido como mercadoria dotada de valor de uso e valor de troca à medida que se insere no ciclo econômico produtivo da saúde. Ou seja, sua definição assume complexidade que extrapola o campo da saúde para permear outros campos de saber.

No sentido de incorporar essa complexidade, é possível entender o medicamento a partir de algumas dimensões de análise a saber:

- a *dimensão tecnológica*, por tratar-se de um produto de saúde caracterizado por propriedades (farmacológicas, farmacocinéticas, farmacodinâmicas) capazes de reparar, diminuir ou prevenir uma situação indesejável a um indivíduo;

- *dimensão econômica*, representada pelo custo envolvido para o indivíduo ou para a gestão do sistema de saúde (municipal, estadual ou federal), por ser um bem de consumo inserido no Complexo Econômico-Industrial da Saúde, além de ser objeto de lucro e acumulação de capital;

- *dimensão simbólica*, representada pelo sentido que o indivíduo ou grupos atribuem a ele;

- *dimensão ideológica*, resultante da produção social de sentido quanto ao medicamento;

- *dimensão sanitária*, visto que é produto/bem de consumo relacionado à saúde individual e das populações, que oferece benefícios, mas também riscos à saúde, requerendo, portanto, regulação em todas as etapas do seu processo produtivo.

Há ainda a *dimensão política*, com a articulação das dimensões anteriores e como isso se reflete nas decisões do Estado na formulação de políticas relacionadas, em razão dos interesses e pressões de grupos ou classes.

Assim, o medicamento, por sua complexidade, se insere em um conjunto de atividades que torna possível a sua existência e manutenção no mercado e na sociedade. Tais atividades são compreendidas, em geral, pela pesquisa, desenvolvimento, produção, seleção para uso nas populações conforme critérios específicos, distribuição (aos serviços de saúde e indivíduos), consumo (compreendendo a prescrição, a dispensa, o uso, a avaliação de sua utilização e o descarte adequado) e serviços farmacêuticos. Também integra esse conjunto as ações da vigilância sanitária relativas ao controle de qualidade, eficácia e segurança, sendo essas atribuições do Estado, visando interceder entre a produção de bens e serviços – que encerram benefícios, mas também riscos – e a saúde da população (COSTA, 2009).

Esse conjunto articulado de atividades envolvendo o medicamento que permite a manutenção do ciclo econômico produtivo, bem como sua inserção nas práticas de saúde, é definido como assistência farmacêutica. O medicamento também pode ser considerado uma tecnologia utilizada nas práticas de saúde, pois materializa diversos processos de trabalho durante sua cadeia produtiva (SOUZA, 2007). Neste caso, entende-se a tecnologia como um conjunto de saberes e instrumentos materiais que organizam as práticas de saúde em sua articulação com a totalidade social histórica (MENDES-GONÇALVES, 1988).

Entende-se, portanto, o medicamento como um produto complexo do ciclo econômico produtivo, uma tecnologia inserida nas práticas de saúde e definidora de prática específica (assistência farmacêutica), que se articula aos princípios e diretrizes do SUS, por meio de políticas farmacêuticas.

Políticas farmacêuticas: conceito e marcos mais importantes do SUS

Uma política pública pode ser entendida como um elemento orientador da atuação do Estado na garantia de direitos à população, incluindo aqueles relacionadas à saúde (SOUZA, 2006; ALVES, 2009). Ou seja, refere-se a ação do Estado, sendo um conjunto de disposições, medidas e procedimentos que traduzem a orientação política do Estado e regula as atividades governamentais relacionadas a tarefas de interesse público, atuando e influindo sobre as

realidades econômicas, social e ambiental (BOBBIO, 1995 apud PINTO; VIEIRA DA SILVA; BAPTISTA, 2014).

Tomando como objeto as necessidades de saúde, tem-se uma política de saúde, ou seja, uma ação (ou omissão) do Estado diante de um problema de saúde e seus determinantes sociais, ambientais e culturais, bem como em relação à produção, à distribuição e a regulação de bens, serviços e ambientes que afetam a saúde do indivíduo ou da coletividade (PAIM, 2003).

O surgimento de uma política pública se dá em resposta a um problema ou necessidade. No caso dos medicamentos, houve a necessidade de políticas farmacêuticas que garantissem o acesso aos medicamentos essenciais nos diferentes níveis de cuidado, e que estes fossem seguros, eficazes e de qualidade (ALENCAR, 2017). Partindo-se deste entendimento, pode-se compreender uma política farmacêutica como ação do Estado relativa à questão dos medicamentos, em suas variadas dimensões.

A questão dos medicamentos é motivo de preocupação em todo o mundo, com desafios e dificuldades para garantia do seu acesso, como a baixa cobertura, a insuficiência do financiamento, a fragmentação dos sistemas de fornecimento e o uso inadequado. Diante desse cenário, a Organização Mundial da Saúde (OMS) recomenda aos países que formulem e implementem políticas farmacêuticas nacionais (JARAMILLO; CORDEIRO, 2014), com foco na acessibilidade, na disponibilidade e o uso racional de medicamentos (WHO, 1988; OPS, 1995).

As formas de acesso a medicamentos diferem entre os países, de acordo com a configuração dos sistemas de saúde e a política de medicamentos adotada. Nos sistemas universais de saúde, espera-se que ele seja universal e igualitário. No entanto, apesar de se esperar que as políticas farmacêuticas nos sistemas universais assegurem que o acesso a medicamentos seja igualitário e amplo, na prática, nem sempre ele é gratuito. Em alguns países ocorre a gratuidade total como no Brasil, em outros, a depender do grau de vulnerabilidade dos usuários, os medicamentos são distribuídos gratuitamente, assim como pode existir o sistema de copagamento ou coparticipação, em que parte das despesas é coberta pelo sistema de saúde e a outra parte vem do desembolso direto do usuário, fato que acontece em sistemas universais como o *National Health Service* (NHS) inglês e o sistema australiano *Medicare* (OLIVEIRA; NASCIMENTO; LIMA, 2019).

Particularmente no Brasil, as políticas farmacêuticas foram se constituindo mesmo antes da Constituição Federal de 1988, remetendo a antecedentes a exemplo da Lei Eloy Chaves e da Central de Medicamentos (ALENCAR; PAIM, 2017). Desde então, o Brasil

sempre adotou alguma ação para atender à necessidade de medicamentos manifestada pela sociedade ou por parte dela. Porém, foi a partir da Constituição Federal de 1988 e a criação do Sistema Único de Saúde, que as políticas farmacêuticas no Brasil foram sendo implementadas em consonância com as recomendações da Organização Mundial de Saúde (JARAMILLO; CORDEIRO, 2014).

O período subsequente à publicação da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, que instituiu o SUS, resultou em um movimento de reorientação das políticas farmacêuticas no Brasil, ao enfatizar a assistência farmacêutica como uma das ações do Estado visando a integralidade da assistência. Dentre os marcos desse movimento de reorientação tem-se: a Política Nacional de Medicamentos (PNM), a criação da Agência Nacional de vigilância Sanitária (Anvisa), a Política Nacional de Medicamentos Genéricos, a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF) e o Programa Farmácia Popular do Brasil (PFPB). As diretrizes e eixos estratégicos destas políticas subsidiaram o desenvolvimento de outras políticas farmacêuticas ao longo dos mais de 30 anos do SUS (ALENCAR, 2017), sobre as quais abordaremos adiante.

A PNM foi instituída em 1998 por meio de uma portaria do Ministério da Saúde (BRASIL, 1998), e se constitui o primeiro documento oficial, após a instituição do SUS, relativo à questão de medicamentos. Tem como diretrizes: a adoção da Relação Nacional de Medicamentos (Rename), a regulação sanitária de medicamentos, a reorientação da Assistência Farmacêutica, a promoção do uso racional de medicamentos, o desenvolvimento científico e tecnológico, a promoção da produção de medicamentos, a garantia da segurança, eficácia e qualidade dos medicamentos e o desenvolvimento e capacitação de recursos humanos.

Também aponta como prioridades a revisão permanente da Rename, a assistência farmacêutica e sua organização nos estados e municípios, a promoção do uso racional de medicamentos (por meio de recursos diversos como campanhas educativas, registro e uso de medicamentos genéricos, elaboração e divulgação do Formulário Terapêutico Nacional, desenvolvimento de ações de farmacovigilância e farmacoepidemiologia, qualificação de profissionais) e organização das atividades de vigilância sanitária de medicamentos. A PNM faz referência também quanto a necessidade de acompanhamento e avaliação de sua repercussão na saúde da população.

A PNM consegue articular muitas demandas manifestadas pelas entidades farmacêuticas e pelo movimento sanitário em torno da questão dos medicamentos, contudo, identificam-se algumas lacunas a serem resolvidas, tais como: ao enfatizar o medicamento

observa-se que o objeto central é a assistência terapêutica e não a farmacêutica conforme estabelecido na Lei Orgânica da Saúde; do mesmo modo, não há realce para o trabalho do farmacêutico no processo de assistência à saúde, nem mesmo na diretriz referente à promoção do uso racional de medicamentos. As diretrizes delimitadas para o desenvolvimento tecnológico e produção de medicamentos não se fundamentaram em condições concretas para operá-las, pois não havia estrutura de gerência específica no Ministério da Saúde capaz de articular as ações de assistência farmacêutica. Tais lacunas motivaram a discussão mais ampla de uma política que viria a ser a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (ALENCAR, 2017).

Consoante às diretrizes da PNM, motivado pela reforma administrativa do governo Fernando Henrique Cardoso (1995-1998 e 1999-2002) e ainda às discussões sobre a incapacidade do órgão de Vigilância Sanitária daquela época (a Secretaria de Vigilância Sanitária) resolver os inúmeros problemas relativos a medicamentos (falsificação e irregularidades na produção de medicamentos), foi criada a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). A proposta foi finalizada pela equipe técnica do governo, inspirada nos moldes da *Food and Drug Admnistration* (FDA), sendo instituída por meio da Lei nº 9782, de 26 de janeiro de 1999 (BRASIL, 1999).

Por não ter sido decorrente de um processo democrático de discussão, houve rejeição do modelo de agência proposto pelo governo à futura Anvisa, mas, de todo modo, havia a expectativa de que, com a estruturação de um órgão administrativamente independente, com constância de seus dirigentes nos cargos e autonomia financeira, as interferências no órgão fossem reduzidas. Contudo, o que ocorreu foi o surgimento de novas formas de interferência, que podem ser constatadas desde a indicação de dirigentes pelo presidente da República e posterior aprovação no Senado Federal até a elaboração de normas sanitárias (ALENCAR, 2017).

A despeito das críticas existentes no processo inicial de sua implementação (SOUTO, 2007), a estrutura de autarquia viria a fortalecer as ações sanitárias e regulatórias de medicamentos previstas na PNM. A partir da estruturação da Anvisa e do aperfeiçoamento de seus mecanismos de atuação e articulação com outros setores, houve avanços na pauta da vigilância sanitária, entre os quais se destacam: descentralização de ações; instituição do Sistema Nacional de Vigilância Sanitária; ampliação e qualificação do quadro técnico; estabelecimento de sistemas informáticos para o processo de trabalho e acompanhamento de processos e decisões. Destacam-se ainda o estabelecimento de normas sanitárias em consonância com o desenvolvimento tecnológico considerando o princípio do risco e a

promoção da saúde; criação de mecanismos para controle de preços de medicamentos; integração com as universidades e institutos de pesquisa; maior participação da sociedade; e institucionalidade de políticas para promoção do uso racional de medicamentos (ALENCAR, 2017).

Tem-se, portanto, que as atribuições da vigilância sanitária são complexas e conflitivas, pois se inserem num contexto no qual há interseção na relação entre o Estado (e suas atribuições), o mercado (e os interesses do capital) e a sociedade (e suas necessidades). Ademais, frise-se que o desenvolvimento econômico tem imposto novos óbices para a regulação sanitária. Aspectos sobre a regulação sanitária serão abordados com mais detalhes em capítulo específico desta coletânea.

Neste momento histórico, fins dos anos 1990, e antes mesmo da discussão sobre uma política de medicamentos para o Brasil, havia um debate sobre a política de genéricos motivado pelas recomendações internacionais para adoção de uma política para esta finalidade e por um debate interno que já ocorria deste 1993 no âmbito do Parlamento brasileiro. Objeto de intensos conflitos entre interesses do setor produtivo e do Legislativo, bem como diante da necessidade de se definir claramente aspectos técnicos relativos aos produtos genéricos, os debates culminaram na Lei nº 9.787/1999, estabelecendo-se o medicamento genérico, definido como medicamento semelhante a um produto de referência ou inovador, eficaz, seguro e de qualidade (BRASIL, 1999b). Tinha-se, desse modo, condições para a intercambialidade (a substituição do medicamento de referência por um genérico), podendo o genérico ser produzido com a expiração ou renúncia da proteção de patente ou de outros direitos de exclusão.

Além de observações em relação à identificação do produto, a lei também estabeleceu que as aquisições de medicamentos e sua prescrição, no âmbito do SUS, adotassem obrigatoriamente a Denominação Comum Brasileira. Estabeleceu ainda que, também no âmbito do SUS, deveria ser dada preferência aos medicamentos genéricos nos processos de aquisição, nos casos em que houvesse condições de igualdade de preço; e que a dispensa de medicamentos genéricos nos serviços públicos e privados deveria respeitar a decisão do prescritor quanto à intercambialidade (BRASIL, 1999b), ou seja, seria obedecido o direito dele de prescrever sob marca comercial ou de fantasia.

Após a instituição da lei de genéricos, vários regulamentos técnicos foram emitidos pela Anvisa no sentido de viabilizar a efetiva implementação da Lei, haja vista os conflitos ocorridos e a necessidade de adequação das normas sanitárias para este produto.

A PNAF foi elaborada por ocasião da I Conferência Nacional de Medicamentos e Assistência Farmacêutica, em 2003, resultando em um processo de construção coletiva fundamentada na participação social, instituída por meio da Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 338/2004 (BRASIL, 2004) e norteadora para a formulação de outras políticas de setor a exemplo de ciência e tecnologia, desenvolvimento industrial e formulação de recursos humanos.

Por meio da PNAF, a Assistência Farmacêutica é entendida como política pública norteadora para a formulação de políticas setoriais, compreendendo um conjunto de ações voltadas à promoção, proteção e recuperação da saúde, individual coletiva, tendo o medicamento como insumo essencial e visando o acesso e ao seu uso racional. Essas ações envolvem: a pesquisa, o desenvolvimento e a produção de medicamentos e insumos, bem como a sua seleção, programação, aquisição, distribuição, dispensação, garantia da qualidade dos produtos e serviços, acompanhamento e avaliação de sua utilização, na perspectiva da obtenção de resultados concretos e da melhoria da qualidade de vida da população (BRASIL, 2004).

Esta política engloba os seguintes eixos: a garantia de acesso à Assistência Farmacêutica; manutenção de serviços de assistência farmacêutica na rede pública de saúde; descentralização das ações; formação de recursos humanos. Também menciona a modernização e ampliação da capacidade instalada e de produção dos laboratórios farmacêuticos oficiais; a utilização e a atualização periódica da Rename; a pactuação de ações intersetoriais que visem à internalização e o desenvolvimento de tecnologias e à utilização das plantas medicinais e medicamentos fitoterápicos. Ademais, também compõem os eixos estratégicos: adoção de uma política de Vigilância Sanitária que garanta o acesso da população a serviços e produtos seguros, eficazes e com qualidade; o estabelecimento de mecanismos adequados para a regulação e monitoração do mercado de insumos e produtos estratégicos para a saúde; e a promoção do uso racional de medicamentos (BRASIL, 2004).

Dada a abrangência de seus eixos estratégicos, a PNAF é uma das políticas prioritárias da assistência à saúde, em face de sua transversalidade com as demais ações de programas de saúde e impacto financeiro visando a sua estruturação e implementação, nos diferentes níveis de complexidade (VIEIRA; ZUCCHI, 2013; SANTOS-PINTO *et al*., 2013).

Essas políticas mencionadas denotam que o acesso a medicamentos tem sido preocupação constante ao longo do desenvolvimento do SUS. Esse aspecto motivou a formulação de políticas para promover a ampliação do acesso, a exemplo do Programa Farmácia Popular do Brasil (PFPB), criado em 2004, inicialmente, na modalidade rede

própria e, depois, em convênio com farmácias privadas, inaugurando o sistema de copagamento no País.

O PFPB foi instituído pelo Decreto nº 5.090/2004, que regulamentou a Lei nº 10.858/2004, e dispôs que a criação do programa decorria da necessidade de ações para promover a universalidade do acesso aos medicamentos, diminuindo a repercussão desses gastos no orçamento familiar e permitindo a sua disponibilidade a baixo custo para os cidadãos assistidos pela rede privada (ALENCAR et al., 2018).

Dois anos após sua criação, o PFPB foi ampliado para farmácias da rede privada, conforme previa o Decreto nº 5.090/2004, e os cidadãos puderam adquirir medicamentos para o tratamento de hipertensão e diabetes mediante copagamento. O MS repassaria às farmácias 90% do valor de referência do produto, conforme valores definidos pela Câmara de Regulação de Medicamentos, e o cliente pagaria 10%. Fixaram-se critérios para credenciamento de farmácias ao PFPB, dispensação de medicamentos, controle e fiscalização, processamento de compras e comunicação ao público pelas farmácias (ALENCAR, 2017).

Conforme apontam estudos (PEREIRA, 2013; YAMAUTI, BARBERATO-FILHO; LOPES, 2015; MIRANDA et al., 2016; FERREIRA, 2017), no decorrer dos catorze anos do PFPB, houve conquistas na ampliação do acesso; redução da mortalidade e de internações por doenças crônicas; e também críticas, por suas características, estruturação, elenco, custos, desarticulação com a política industrial, relações com o setor farmacêutico privado etc. Seguiram-se inflexões, intensificadas na conjuntura de austeridade fiscal, que tem marcado o país nos últimos anos (ALENCAR et al., 2018). A despeito dessas inflexões, recentemente houve ampliação do elenco de medicamentos em prol do tratamento de doenças crônicas cardiovasculares (BRASIL, 2022). De acordo com dados disponibilizados pela Casa Civil (BRASIL, 2022), 30 mil farmácias estão credenciadas ao Programa, abrangendo 4.397 municípios.

As políticas farmacêuticas mencionadas têm contribuído para ampliação do acesso aos medicamentos, mas ainda há problemas, conforme revelaram os resultados da Pesquisa Nacional de Acesso e Uso de Medicamentos – PNAUM. O acesso a medicamentos de uso contínuo e gratuito, por exemplo, ainda é limitado: enquanto o acesso a todo o tratamento abrange cerca de 85% dos usuários, o acesso gratuito é alcançado por pouco mais da metade desses (FRITZEN et al., 2017). Esses resultados corroboram com outros achados que revelaram que a prevalência de acesso a medicamentos prescritos para tratamento de doenças crônicas não transmissíveis e de hipertensão arterial foi de 94,36 e 97,9%, respectivamente, enquanto o acesso gratuito variou entre 45,3 e 56% (MENGUE *et al*., 2016; TAVARES *et al*.,

2016). Drummond, Simões e Andrade (2017) verificaram ainda que a maioria (63,9%) dos indivíduos precisou pagar algum valor para ter acesso aos medicamentos e apenas 15,3% tiveram acesso total a medicamentos prescritos pelo SUS.

O acesso a medicamentos é influenciado por fatores sociodemográficos e fatores socioeconômicos e para tanto a assistência farmacêutica deve ser o resultado da combinação de estrutura, pessoas e tecnologias, num dado contexto social, a fim de contribuir na melhoria da qualidade de vida da população (COSTA *et al*., 2017).

Cabe mencionar ainda que, a despeito da ampliação do acesso, também houve incremento do processo de judicialização para acesso aos medicamentos, de modo que as ações judiciais passaram a ser preocupação para o Ministério da Saúde, haja vista o volume de recursos destinados ao atendimento de demandas.

A interferência do poder Judiciário passou a ser um problema para o SUS, uma vez que as ações eram julgadas tendo como fundamento o princípio constitucional "saúde direito de todos e dever do Estado", entendido como tudo para todos. Além do agravo para o financiamento do SUS, havia prejuízo também na dimensão sanitária, pois, em muitos casos, os estados eram obrigados a fornecer medicamentos até mesmo sem registro na Anvisa, novidades terapêuticas indisponíveis no país e ainda sem comprovação de segurança e eficacidade; ou ainda medicamentos fornecidos pelo SUS, mas que eram prescritos sob nome de marca (de fantasia). Enquanto isso, em vários estados havia prejuízo no atendimento de demandas de outros programas de assistência farmacêutica para que se cumprisse as decisões judiciais, sob pena de prisão do responsável pelo órgão impetrado, o secretário municipal ou estadual de saúde, e multa em caso de descumprimento (ALENCAR, 2017).

As discussões sobre a judicialização para garantia do acesso ao medicamento que se intensificava na sociedade também foi pautada no Legislativo e no Judiciário, motivando a elaboração de políticas que objetivassem minimizar esses danos e reorientar o acesso aos serviços e tecnologias conforme os princípios do SUS, a exemplo da Lei nº 12.401/2011 (BRASIL, 2011a). Esta lei estabelecia, entre outros aspectos, que a assistência terapêutica integral consistia na dispensação de medicamentos e produtos que seguissem protocolos definidos pelo SUS quanto à incorporação, segurança, qualidade e eficácia e custo-efetividade; e enfatizando a atribuição do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec), pela incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos no SUS. Nesta coletânea há um capítulo dedicado a explicar as atribuições da Conitec.

Ou seja, a referida lei acentua a relevância da Rename e das relações de medicamentos das demais esferas (conforme pacto na CIT, na CIB e no Conselho Municipal de Saúde) como elementos determinantes das políticas farmacêuticas, devendo o Poder Judiciário ater-se a tais recomendações. Criou-se, desse modo, um mecanismo para minimizar as interferências do Judiciário acerca de questões da saúde, especialmente aquelas abrangendo medicamentos, preservando-se o direito à saúde e o princípio da integralidade.

Outra política importante diz respeito ao Decreto nº 7.508/2011(BRASIL, 2011b), que regulamentou a Lei nº 8080/1990, previu mudanças para a assistência farmacêutica, mais uma vez reiterando a Rename, o Formulário Terapêutico Nacional e os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas como instrumentos para orientar o processo de incorporação de tecnologias e a regulação do acesso a medicamentos.

Essas disposições esclarecem as condições para tornar possível a integralidade, interferindo nos principais motivos geradores das demandas judiciais por medicamentos, e que, equivocadamente, transformavam o SUS numa farmácia pública, uma vez que muitas pessoas recorriam ao sistema público apenas para ter acesso a medicamentos, embora fossem atendidas no setor privado. Ademais, o decreto atribuiu a devida relevância à Rename, como política farmacêutica orientadora do acesso a medicamentos e estabeleceu critérios com capacidade para eliminar ou reduzir interferências das indústrias farmacêuticas e a articulação de diferentes sujeitos (médicos, organizações de pacientes e advogados) em processos de ações judiciais para aquisição de tecnologias diversas.

As políticas farmacêuticas encontram-se fundamentalmente estruturadas na tentativa de atender as necessidades da população. No entanto, essa organização precisa ser constantemente revista no sentido de adequá-la melhor às realidades locais, apontando falhas, limites e avanços no processo de construção de um modelo descentralizado e equânime.

Considerações finais

É notável as transformações no cenário dos medicamentos mundial e nacionalmente. Esse cenário reforça a necessidade e a defesa constante do estabelecimento e atualização das políticas farmacêuticas, para que seja possível garantir a integralidade e a equidade no SUS visando a assistência farmacêutica integral. Neste capítulo foram apresentados os principais marcos relativos ao assunto, norteadores de outras políticas e estratégias, num processo dinâmico de transformação e de conflitos entre o Estado, o mercado e a sociedade.

Tais políticas, por sua vez, não podem ser restritas ao componente disponibilidade de medicamentos, pois, conforme visto neste capítulo, as políticas farmacêuticas transversalizam todas as ações de saúde e incorporam distintas dimensões de análise que precisam ser consideradas no processo de assistência.

Sobre este aspecto, cabe ressaltar que, do ponto de vista político, a área farmacêutica, no Brasil, tem sido marcada por grandes mudanças, incluindo: o reconhecimento da farmácia como um estabelecimento de saúde com prestação de serviços e a incorporação de consultórios farmacêuticos (BRASIL, 2014); a possibilidade de incorporação de farmacêuticos às equipes de saúde; as mudanças curriculares no curso de Graduação em Farmácia (CNE, 2017); nos programas de Residência Multiprofissional em Saúde, que propiciam a formação de farmacêuticos para contribuir com a mudança da configuração tecno-assistencial do SUS.

Neste sentido, torna-se importante a atuação do profissional farmacêutico no cenário da assistência à saúde, tendo em vista a permanência imutável da alta difusão da oferta de medicamentos em nossa sociedade e a superexposição ao risco ao qual a sociedade está sujeita. Situações complexas, como adesão ao tratamento, intoxicações por medicamentos, resultados negativos associados aos medicamentos, necessidades em saúde, são exemplos ainda frequentes que destacam a necessidade produção de conhecimento de forma articulada aos valores e às demandas da sociedade.

REFERÊNCIAS

ALENCAR, T de O. S. **Reforma sanitária brasileira e políticas farmacêuticas** (1976-2014). São Paulo: Hucitec, 2017

ALENCAR, T. de O. S.; PAIM, J. S. Reforma Sanitária Brasileira e políticas farmacêuticas: uma análise dos fatos produzidos entre 2003 e 2014. **Saúde debate**, Rio de Janeiro, v. 41, n. spe3, p. 45-59, set. 2017. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/0103-11042017S304>. Acesso em 23 nov. 2020.

ALVES, T. N. P. **Política Nacional de Medicamentos**: análise a partir do contexto, conteúdo e processos envolvidos. 187p. Tese (Doutorado em Saúde Coletiva). Instituto de Medicina Social, Universidade Federal do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, 2009.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Portaria nº 3.916, de 30 de outubro de 1998.** Aprova a Política Nacional de Medicamentos. Brasília: Ministério da Saúde, 1998.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Lei nº 9.787, de 10 de fevereiro de 1999**. Dispõe sobre a vigilância sanitária, estabelece o medicamento genérico, dispõe sobre a utilização de nomes

genéricos em produtos farmacêuticos e dá outras providências. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 1999.

BRASIL. Conselho Nacional de Saúde. **Resolução nº 338, de 06 de maio de 2004**. Aprova a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. Brasília, DF: Conselho Nacional de Saúde, 2004.

BRASIL. Presidência da República. Casa Civil. Programa Farmácia Popular conta com cinco novos medicamentos. São remédios que atuam principalmente no controle de doenças cardiovasculares, diabetes e insuficiência cardíaca. Disponível em: https://www.gov.br/casacivil/pt-br/assuntos/noticias-2022/setembro/programa-farmacia-popular-conta-com-cinco-novos-medicamentos. Acesso em: 10 out. 2022

CAMERON, A. *et al.* Medicine prices, availability, and affordability in 36 developing and middle-income countries: a secondary analysis. **The lancet.** Health policy. v. 373, n. 9659, p. 240-249, 2009.

CASTRO, M. C. et al. Brazil's unified health system: the first 30 years and prospects for the future. **The lancet**. Health policy. v.394, ed. 10195, p.345-356, jul. 2019

CHIEFFI, A. L.; BARATA, R. B. Judicialização da política pública de assistência farmacêutica e equidades. **Cad. Saúde Pública**, v. 25, n.8, p. 1839-1849, 2009 (Conill, 2008;

CORDILHA, A. C; LAVINAS, L. Transformações dos sistemas de saúde na era da financeirização. Lições da França e do Brasil. Ciênc. **Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 23, n. 7, p. 2147-2158, July, 2018. Disponível em: https://www.scielo.br/j/csc/a/7ngjNc674JpS3S4WfSK9gPb/. Acesso em 10 jun. 2020.

COSTA, E.A. (org.) **Vigilância Sanitária**: temas para debate [online]. Salvador: EDUFBA, 2009. 237 p.

FERREIRA, P. A. A. Efeitos do copagamento de medicamentos sobre saúde no Brasil: evidências do programa Aqui Tem Farmácia Popular. **Rev BNDES**. 2017 jun; 47:67-77

FRITZEN, J. S.; MOTTER, F. R.; PANIZ, V. M. V. Acesso regular e adesão a medicamentos do componente especializado da Assistência Farmacêutica. **Revista de Saúde Pública [online]**, v. 51, 2017. Supl. 2: 109s. Disponível em: <https://doi.org/10.11606/S1518-8787.2017051006932>. >. Acesso em 23 outubro 2021.

JARAMILLO, M. N.; CORDEIRO, B.C. Assistência Farmacêutica. In: OSÓRIO-DE-CASTRO. C.G.S (org.). **Assistência Farmacêutica**: gestão e prática para profissionais de saúde. Rio de Janeiro: Fiocruz, 2014.

LEFÈVRE, F. **O medicamento como mercadoria simbólica**. São Paulo: Cortez, 1991.

LOPERT, R; ROSENBAUM, S. What is fair? Choice, fairness, and transparency in access to prescription medicines in the United States and Australia. **Journal of Law Medicine & Ethics**, v. 35, n.4, p. 643-656, 2007.

MENDES GONÇALVES, R. B. **Práticas de saúde e tecnologia**: contribuição para a reflexão teórica. Brasília: OPS, 1988.

MEUCCI, R. D. et al. Utilização do Programa Farmácia Popular do Brasil por idosos. **Rev Saúde Pública**. 2016; 50(13):1-13. 9.

OLIVEIRA, L. C.; NASCIMENTO, M. A. A do; LIMA, I. M. S. O. O acesso a medicamentos em sistemas universais de saúde – perspectivas e desafios. **Saúde em Debate** [online]. v. 43, n. spe5, p. 286-298. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/0103-11042019S523>. ISSN 2358-2898. https://doi.org/10.1590/0103-11042019S523. Acesso em: 12 out. 2022

ORGANIZACIÓN PANAMERICANA DE LA SALUD. Formulación y puesta em práctica de uma política nacional de medicamentos. Guia de formulación y puesta em marcha de um plan rector farmaceutico y un plan de acción prioritária en el marco de una política nacional de medicamentos. Washington: OPS, 1995.

PAIM, J. S. Políticas de Saúde no Brasil. In: Rouquayrol, M.Z; Almeida-Filho, N. **Epidemiologia e saúde**. 6 ed. Rio de Janeiro: Medsi, 2003, p. 587-603.

PEREIRA, M. A. **Programa Farmácia Popular no Brasil**: uma análise sobre sua relação com o Complexo Econômico-Industrial da Saúde e os programas estratégicos do Governo Federal. 2013. Dissertação (Mestrado Profissional em Saúde pública) – Fundação Oswaldo Cruz, Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca, Rio de Janeiro, 2013. 104p

PINTO, I. C. de M.; VIEIRA-DA-SILVA, L. M.; BAPTISTA, T.V. de F. Ciclo de uma política pública: problematização, construção da agenda, institucionalização, formulação, implementação e avaliação. In: PAIM, J.; ALMEIDA-FILHO, N. de. **Saúde Coletiva**: teoria e prática, 1 ed. Rio de Janeiro: Medbook, 2014, p.69-81

SANTOS-PINTO et al. Novos delineamentos da Assistência Farmacêutica frente à regulamentação da Lei Orgânica da Saúde. **Cad. Saúde Pública**, v. 29, n.6, p.1056-1058, jun. 2013.

SOUTO, A. C. **Processo de gestão na Agência Nacional de Vigilância sanitária** – Anvisa. 2007, 191f. Tese (Doutorado em Saúde Pública) - Instituto de Saúde Coletiva, Universidade Federal da Bahia, Salvador, 2007.

SOUZA, G. S. **Trabalho em Vigilância Sanitária:** o controle sanitário da produção de medicamentos no Brasil. 2007, 217f. Tese (Doutorado em Saúde Pública)- Instituto de Saúde Coletiva/Universidade Federal da Bahia. Salvador, 2007.

SOUZA, C. Políticas públicas: uma revisão da literatura. **Sociologias** [online]. 2006, n. 16, p. 20-45. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S1517-45222006000200003>. Acesso em: 12 out. 2022. https://doi.org/10.1590/S1517-45222006000200003.

UNITED NATIONS. Millennium Development Goal 8. The Global Partnership for Development: Making Rhetoric a Reality. MDG Gap Task Force Report 2012. New York: United Nations, 2012

VIEIRA, F. S.; ZUCCHI, P. Financiamento da assistência farmacêutica no Sistema Único de Saúde. **Saúde e Sociedade**, v. 22, n. 1, p. 73-84, 2013.

WORLD HEALTH ORGANIZATION. **Guidelines for developing national drug policies**. Geneva: Word Health Organization, 1988.

WORD HEALTH ORGANIZATION. **The Word medicines situation 2011**. Access to essential medicines as part of the right to health. 3rd ed. Geneva: Word Health Organization, 2011.

YAMAUTI, S. M.; BARBERATO-FILHO, S.; LOPES, L.C. Elenco de medicamentos do Programa Farmácia Popular e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. **Cad Saúde Pública**. 2015 ago; 31(8):1648-1662

CAPÍTULO II

ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA E DIREITO À SAÚDE: DESAFIOS AO CAMPO JURÍDICO

Yara Oyram Ramos Lima
Andrija Oliveira Almeida

Introdução

No Brasil, diferentes sentidos sociopolíticos em torno da saúde informaram estratégias e reivindicações de direitos ao longo do tempo. Segundo Asensi (2013), é possível identificar três concepções de saúde que, longe de representarem etapas históricas estagnes, em maior ou menor grau, estão presentes na institucionalidade jurídico-política e administrativa do Estado brasileiro, quais sejam: 1) a saúde como favor; 2) a saúde como serviço decorrente de direito trabalhista ou como serviço privado; e 3) a saúde como direito de cidadania.

A saúde como favor foi a concepção predominante durante o Império e a República Velha, baseada na perspectiva de submissão do cidadão à autoridade estatal. Não obstante a saúde tenha se tornado questão de Estado, na ausência de universalidade e de instrumentos jurídico-legais de garantia, a sua exigibilidade manteve-se subordinada à discricionariedade do poder público.

A concepção de saúde como favor sofreu transformações durante a Era Vargas com a reforma política, a ampliação dos direitos dos trabalhadores, o surgimento das caixas de assistência e dos planos privados de saúde entre as décadas de 1940 e 1970. Desse modo, “a saúde passa a ser concebida como um serviço público decorrente de um direito trabalhista ou como serviço privado” (ASENSI, 2013, p.133) em um contexto no qual a atuação estatal favoreceu a reprodução de desigualdades de acesso a serviços de saúde, bem como reforçou a noção de direito à assistência médico-curativa vinculada a benefícios trabalhistas.

Essa concepção excludente de saúde começou a ser tensionada durante a ditadura civil-militar, nos anos 1970, por movimentos sociais em prol da redemocratização da sociedade brasileira e da democratização e universalização da saúde no país, sobretudo o movimento da Reforma Sanitária Brasileira: “na década de 1970, movimentos sociais no campo da saúde combateram a ditadura militar e participaram das lutas pela redemocratização o país e pela democratização da vida social.” (PAIM e ALMEIDA FILHO, 2014, p. 203)

O movimento da Reforma Sanitária Brasileira incluiu no debate político brasileiro a pauta da defesa da saúde como direito de cidadania, assumindo um papel de suma relevância na transformação das relações entre Estado e sociedade por meio da proposta de um novo

modelo de saúde, fundado no arcabouço jurídico-institucional que, em 1988, culminou na constitucionalização do direito à saúde no Brasil como direito fundamental e dever do Estado:

> Com o advento da Constituição de 1988 e as intensas reivindicações de uma pluralidade de grupos sociais e políticos no Brasil, a saúde foi alçada à categoria de direito fundamental, cujo imperativo é a prestação positiva do Estado no sentido de concretizá-la e ampliá-la a todos os cidadãos. A universalização da saúde foi acompanhada de sua institucionalização normativa, o que possibilitou a cristalização de princípios, normas e diretrizes que seriam desenvolvidas nos anos seguintes, cuja expressão mais significativa foi a criação do Sistema Único de Saúde (SUS). (ASENSI, 2013, p. 134)

Nessa chave de leitura, observa-se uma inflexão e uma complexificação do direito à saúde que, segundo Asensi (2013), assume a forma de direito individual, direito social e direito de participação no ordenamento jurídico brasileiro a partir de 1988 (Figura 1), fundada em pressupostos tais como titularidade dos indivíduos e dever de não violação pelo Estado, desenvolvimento de políticas sociais para sua efetivação por meio de ações e estratégias governamentais e participação social na formulação, implementação e controle social das políticas de saúde.

Figura 1- Dimensões do direito à saúde no Brasil a partir da Constituição de 1988

Fonte: Elaboração própria.

Além de estabelecer as bases institucionais, as diretrizes de um novo sistema público de saúde e os marcos regulatórios das atividades do setor privado na área da saúde, repercutindo nas relações Estado-Sociedade, o contrato social de 1988 acarretou desafios de natureza político-administrativa e jurídica relacionadas à eficácia, à efetividade e à

exigibilidade judicial do direito à saúde em suas múltiplas e complexas dimensões, inclusive do ponto de vista interpretativo e decisório. (ASENSI, 2013; ROCHA, 2019)

Nessa perspectiva, segundo Santana e Freitas Filho (2021), o manejo jurídico do direito à saúde como direito fundamental implica inflexões que desafiam a racionalidade e a doutrina jurídica tradicionais, exigindo dos operadores do direito uma abordagem sistêmica, bem como a consideração do caráter transindividual da saúde enquanto direito social regido por normas que reclamam ao mesmo tempo efetividade e eficácia. Para tanto, segundo os autores, cabe problematizar aspectos tais como os objetivos das políticas públicas, a mobilização de instrumentos processuais de cognição estreita para tratamento de conflitos de escala transindividual como problemas interindividuais, a aplicação de textos normativos enunciadores de direitos de modo genérico.

Na visão dos autores, isso concorre, por exemplo, para a geração de disfuncionalidades jurídicas e para o risco de intervenção no funcionamento sistêmico das políticas de saúde, o que é comumente observado em litígios judiciais relativos ao fornecimento de medicamentos e, em sentido mais geral, à política de assistência farmacêutica no âmbito do SUS.

> A complexidade do processo de definição do que seja o dever jurídico do Estado em prestar o direito à saúde não somente se expressa em relação aos contextos fático, econômico e político no qual se dá a adjudicação sobre o tema. O arcabouço normativo a respeito da assistência terapêutica e do fornecimento de medicamentos no Brasil é extremamente complexo e é expresso em uma cartografia de normas que vão desde a Constituição Federal; passando pela Lei n. 8.080/90 (Lei do SUS); pela Lei n. 12.401/2011, que dispõe sobre a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do SUS; pelo Decreto n. 7.508/2011, que regulamenta a Lei do SUS; e pela Portaria GM n. 3.916/98, que aprovou a Política Nacional de Medicamentos (PNM). Há uma série de outros dispositivos normativos relativos ao tema, tanto na esfera federal quanto nas esferas estadual e municipal, mas a espinha dorsal do sistema é formada por essas disposições. (SANTANA e FREITAS FILHO, 2021, p. 28)

Nessa mesma linha argumentativa, Lima e Vasconcelos (2019) destacam que a Constituição de 1988 e suas alterações concorreram para a ampliação do acesso ao sistema de justiça e para o aumento da capacidade de controle das instituições jurídicas sobre a administração pública e a prestação de direitos. Entretanto, paradoxalmente, esse fenômeno não significou necessariamente melhoria estrutural de políticas sociais ou avanço em relação à equidade, mormente no que se refere à garantia do direito à saúde.

De acordo com os autores, nas últimas décadas, o SUS respondeu por um crescimento anual de ações judiciais nas esferas federal, estadual e municipal, caracterizadas por pedidos

individuais de medicamentos ou tratamentos com baixa razão custo-efetividade, não incorporados à política de saúde ou em desacordo com os protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas preconizados pelo SUS, mas ainda assim com alta taxa de sucesso dos demandantes. Nesse sentido, a atuação judicial, além de produzir iniquidades tocantes à focalização de políticas e ao acesso a serviços públicos, pode gerar impactos relevantes na gestão orçamentária do sistema de saúde, na organização de políticas assistenciais, na qualidade do cuidado e segurança do paciente e nas ações de vigilância à saúde.

Assim, considerando que a garantia constitucional do direito à saúde realiza-se mediante a implementação de políticas públicas complexas e plurais e do acesso universal e igualitário, Santana e Freitas Filho (2021) argumentam em favor do tensionamento das relações entre direito prestacional e direito subjetivo na abordagem do direito à saúde à luz de uma releitura jurídico-político-econômica e de uma perspectiva sistêmica capaz de reconstruir os pontos de contato entre as decisões sociopolíticas acerca dos objetivos e dos modos de efetivação da política de saúde e o direito, ou seja, a "instância que lhe vai conferir o modo formalmente imperativo pelo qual ela se realizará." (SANTANA e FREITAS FILHO, 2021, p. 28)

Ainda a esse respeito, de acordo com Schulze (2018), com vistas ao cumprimento da legislação, à observância da noção de sustentabilidade no âmbito da saúde e à construção de uma teoria da decisão judicial mais alinhada aos preceitos constitucionais e, sobretudo, compatíveis com o direito fundamental à saúde, é importante que questões tais como a influência e a atuação da indústria farmacêutica, o estabelecimento de limites ético-jurídicos aos tratamentos experimentais, os conflitos de interesse dos atores, os níveis de evidência científica, eficácia, efetividade e segurança envolvidos nas terapias que são objeto de pedidos judiciais e a precificação das tecnologias em saúde sejam consideradas por operadores do direito e pelo sistema de justiça no processamento judicial de demandas relacionadas à saúde.

Por uma abordagem sistêmica da assistência farmacêutica como conteúdo material do direito à saúde

Considerando as profundas transformações sofridas pelo sistema de saúde a partir da Constituição de 1988 e da consequente complexificação do aparato normativo infraconstitucional relativo à prestação do direito fundamental à saúde no Brasil, propõe-se uma aproximação do Direito das questões operacionais da saúde, especialmente da assistência farmacêutica como expressão do conteúdo material do direito à saúde, à luz de uma

abordagem jurídica sistêmica e transindividual, alinhada aos princípios e diretrizes do SUS e às ferramentas de gestão baseadas em evidências científicas que norteiam as políticas de fornecimento de medicamento e assistência terapêutica no SUS. (ROCHA, 2019; SANTANA e FREITAS FILHO, 2021)

Nesse registro, a Lei n. 8080/90 estabelece que estão incluídas na atuação do Sistema Único de Saúde (SUS) a execução de ações de assistência terapêutica integral, inclusive a farmacêutica. O que depois foi detalhado no Capítulo VIII, incluído pela Lei nº 12.401/2011 da Assistência Terapêutica e da incorporação de tecnologia em saúde em seu artigo 19-M como:

> a) Dispensação de medicamentos e produtos de interesse para a saúde, cuja prescrição esteja em conformidade com as diretrizes terapêuticas definidas em protocolo clínico para a doença ou o agravo à saúde a ser tratado.
> b) Oferta de procedimentos terapêuticos, em regime domiciliar, ambulatorial e hospitalar, constantes de tabelas elaboradas pelo gestor federal do SUS, realizados no território nacional por serviço próprio, conveniado ou contratado.

Ainda no sentido de esclarecer as definições utilizadas legalmente para as ações desenvolvidas pelo SUS a respeito da Assistência Farmacêutica, a lei definiu protocolo clínico[1] e diretriz terapêutica como documento que estabelece critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS.

Os protocolos clínicos e as diretrizes terapêuticas devem estabelecer os medicamentos ou produtos necessários nas diferentes fases evolutivas das doenças ou dos agravos à saúde, bem como aqueles indicados em casos de perda de eficácia e de surgimento de intolerância ou reação adversa relevante, provocadas pelo medicamento, produto ou procedimento de primeira escolha. Devendo os medicamentos ou produtos utilizados/indicados serem avaliados quanto à sua eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade para as diferentes fases evolutivas da doença ou do agravo à saúde de que trata o protocolo (BRASIL, 2011).

[1] Na falta do protocolo clínico para a doença ou o agravo à saúde a legislação estabelece as relações de medicamentos instituídas pelo gestor federal do SUS como diretrizes, observadas as competências estabelecidas e a responsabilidade pelo fornecimento pactuadas na Comissão Intergestores Tripartite e Comissão Intergestores Bipartite e no âmbito de cada Município, de forma suplementar, com base nas relações de medicamentos instituídas pelos gestores municipais do SUS, e a responsabilidade pelo fornecimento será pactuada no Conselho Municipal de Saúde. (BRASIL, 2011)

As ações relacionadas à incorporação, à exclusão ou à alteração pelo SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) e efetuadas mediante a instauração de processo administrativo, que levam em consideração:

> a) as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso;
> b) a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar.

Para contribuir nos referidos processos sobre incorporação, exclusão ou alteração de decisão, também podem ocorrer a apresentação pelo interessado dos documentos e de amostras de produtos. Além disso, é legalmente prevista a realização de consulta pública que inclua a divulgação do parecer emitido pela Conitec, sendo possível a convocação de audiência pública pela Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos (SCTIE) do Ministério da Saúde.

Assim, segundo Pontarolli, Rossignoli e Moretoni (2018), no âmbito do SUS, a integralidade da assistência à saúde passou a ser vinculada a três instrumentos norteadores do acesso universal e igualitário, que devem ser atualizados e publicados pelo gestor federal a cada dois anos, a saber: os protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT), as relações de medicamentos e as relações de ações e serviços de saúde.

No tocante à Assistência Farmacêutica, são vedados, em todas as esferas de gestão do SUS o pagamento, o ressarcimento ou o reembolso de medicamento, produto e procedimento clínico ou cirúrgico experimental, ou de uso não autorizado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), exceto para os processos de incorporação de tecnologias e sobre a utilização, no SUS, de medicamentos cuja indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro da Anvisa. Autorizando o uso de:

> a) Medicamento e produto em que a indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro na Anvisa, desde que seu uso tenha sido recomendado pela Conitec, demonstradas as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança, e esteja padronizado em protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde;
> b) Medicamento e produto recomendados pela Conitec e adquiridos por intermédio de organismos multilaterais internacionais, para uso em

> programas de saúde pública do Ministério da Saúde e suas entidades vinculadas, nos termos do § 5º do art. 8º da Lei nº 9.782/99[2]

Para além da formalização legal do ordenamento jurídico brasileiro sobre a Assistência Farmacêutica e Política de Medicamentos, o processo de formulação de um conceito sobre o tema tem por marco importante o I Encontro Nacional de Assistência Farmacêutica e Política de Medicamentos, ocorrido em 1988 em Brasília, que definiu Assistência Farmacêutica e a Política de Medicamento como instrumentos estratégicos na formulação das políticas de saúde (ARAÚJO, 2005). A Carta de Brasília apresenta ainda que a Assistência Farmacêutica inclui pesquisa, produção, distribuição, armazenamento, prescrição, dispensação[3], e participação de distintos profissionais como farmacêuticos, médicos, enfermeiros, químicos, biólogos, dentre outros neste processo (ARAÚJO, 2005; MARIN et al, 2009).

Em concordância e buscando organizar o sistema de saúde e seu componente de infraestrutura, a Lei nº 13.021/2014, dispõe sobre o exercício e a fiscalização das atividades farmacêuticas, definindo-as como o conjunto de ações e de serviços que visem a assegurar a assistência terapêutica integral e a promoção, a proteção e a recuperação da saúde nos estabelecimentos públicos e privados que desempenhem atividades farmacêuticas; tendo o medicamento como insumo essencial e visando ao seu acesso[4] e ao seu uso racional[5],

---

[2]Compete a ANVISA, respeitada a legislação em vigor, regulamentar, controlar e fiscalizar os produtos e serviços que envolvam risco à saúde pública. Os bens e produtos submetidos ao controle e fiscalização sanitária são: I - medicamentos de uso humano, suas substâncias ativas e demais insumos, processos e tecnologias, entre outros que não tem relação direta com o que se propõe o texto. Ressalta-se que A Agência poderá dispensar de registro os imunobiológicos, inseticidas, medicamentos e outros insumos estratégicos quando adquiridos por intermédio de organismos multilaterais internacionais, para uso em programas de saúde pública pelo Ministério da Saúde e suas entidades vinculadas. (BRASIL, 1999)

[3] Segundo a PNM, a dispensação é uma das atividades da assistência farmacêutica e é privativa do farmacêutico: Dispensação é o ato profissional farmacêutico de proporcionar um ou mais medicamentos a um paciente, geralmente como resposta à apresentação de uma receita elaborada por um profissional autorizado. Neste ato o farmacêutico informa e orienta o paciente sobre o uso adequado do medicamento (ANGONESI, 2008)

[4] O acesso da população aos medicamentos considerados essenciais é um propósito da Política Nacional de Medicamentos (PNM). Para tanto, é fundamental a adoção e a implementação das diretrizes prioritárias estabelecidas, com destaque para a revisão permanente da Rename e a reorientação da AF. A Assistência Farmacêutica no SUS engloba as atividades de seleção, programação, aquisição, armazenamento e distribuição, controle da qualidade e utilização, o que deverá favorecer a permanente disponibilidade dos produtos segundo as necessidades da população, identificadas com base em critérios epidemiológicos (BRASIL, 1998a). Penchansky & Thomas (1981) definiram acesso como o "grau de ajuste entre os clientes e o sistema", destacando que uma análise completa do acesso deve incluir atributos das necessidades dos usuários e dos serviços de saúde. Essa análise engloba conceito multidimensional, abrangendo cinco dimensões: disponibilidade, acessibilidade geográfica, adequação, capacidade aquisitiva e aceitabilidade.

[5] O Uso Racional de Medicamentos (URM) é definido como processo que compreende a prescrição apropriada; a disponibilidade oportuna e a preços acessíveis; a dispensação em condições adequadas; e o conjunto de doses indicadas, nos intervalos definidos e no período de tempo indicado de medicamentos eficazes, seguros e de qualidade (BRASIL 2012). O URM pode ser entendido como conjunto de práticas que inclui: escolha terapêutica medicamentosa adequada; indicação apropriada deste medicamento; inexistência de contraindicação; mínima probabilidade de reações adversas; dispensação correta, informação apropriada sobre os

contribuindo para a saúde individual e coletiva. A responsabilidade do poder público em assegurar a assistência farmacêutica, segundo os princípios e diretrizes do Sistema Único de Saúde, de universalidade, equidade e integralidade, pressupõe o usuário assistido por ações e serviços de saúde do SUS; medicamento sido prescrito por profissional de saúde, no exercício regular de suas funções no SUS; prescrição em conformidade com a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) e os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) ou com a relação específica complementar estadual, distrital ou municipal de medicamentos; e dispensação em unidades indicadas pela direção do SUS (YAMAUTI, 2017).

A classificação dos componentes da Assistência Farmacêutica, que se referiam a organização dos repasses de recursos para a compra de medicamentos, apesar de terem sido alterados pela Portaria nº 3.992/2017, serve para fins didáticos para os esclarecimentos sobre a organização dos componentes da Assistência Farmacêutica, a saber:

> 1) Componente Básico da Assistência Farmacêutica destina-se à aquisição de medicamentos e insumos de programas de saúde específicos, no âmbito da Atenção Básica à Saúde. Devendo os recursos serem investidos também em adequação de espaço físico das farmácias do SUS, na aquisição de equipamentos e mobiliários para suporte às ações de Assistência Farmacêutica e em atividades vinculadas à educação continuada voltada à qualificação dos recursos humanos da Assistência Farmacêutica na Atenção Básica do SUS (Brasil, 2016). Ressalta-se que as ações e os serviços, bem como os recursos financeiros relacionados à Assistência Farmacêutica, devem constar no Plano de Saúde, Programação Anual e Relatório Anual de Gestão (RAG). Ainda com relação à estruturação das farmácias, bem como sobre a manutenção dos serviços farmacêuticos no âmbito da Atenção Básica.
> 2) Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica destina-se à garantia do acesso equitativo a medicamentos e insumos para prevenção, diagnóstico, tratamento e controle de doenças e agravos de perfil endêmico, com importância epidemiológica, impacto socioeconômico ou que acometem populações vulneráveis, contemplados em programas estratégicos de saúde do SUS. A disponibilização dos medicamentos do Componente Estratégico nos municípios brasileiros é heterogênea, sendo os medicamentos para tuberculose e hanseníase os mais frequentemente disponibilizados na atenção básica.
> 3) Componente Especializado é uma estratégia de acesso a medicamentos no âmbito do SUS, caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em esfera ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas publicados pelo Ministério da Saúde. De acordo com a regulamentação vigente, a execução desse componente é descentralizada e de responsabilidade das Secretarias de Saúde dos Estados e do Distrito

---

medicamentos prescritos; adesão ao tratamento pelo paciente; e seguimento dos efeitos desejados e de possíveis reações adversas consequentes do tratamento, bem como se configura como um dos principais objetivos da PNAF (LIMA et al, 2017).

> Federal, sendo que o Ministério da Saúde poderá estabelecer regras diferenciadas de acesso a medicamentos de caráter especializado.

A Lei 7508/2011, que regulamenta a Lei 8080/90 estabelece a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename) que se refere a seleção e a padronização de medicamentos indicados para atendimento de doenças ou de agravos no âmbito do SUS e que compreende o Formulário Terapêutico Nacional que serve para subsidiar a prescrição, a dispensação e o uso dos seus medicamentos, devendo ser atualizado pelo Ministério da Saúde a cada dois anos. Podendo o Estado, o Distrito Federal e o Município estabelecer relações específicas e complementares de medicamentos, em consonância com a RENAME respeitadas as responsabilidades dos entes pelo financiamento de medicamentos. E com o registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária - ANVISA. A responsabilidade financeira pelo fornecimento de medicamentos, produtos de interesse para a saúde ou procedimentos de que tratam a legislação pertinente, no âmbito federal será pactuada na Comissão Intergestores Tripartite e Bipartite.

Considerações finais

No Brasil, diferentes concepções de saúde perpassaram os modos de organização sociopolítica e reivindicação por direitos ao longo do tempo, marcando a institucionalidade jurídico-política e administrativa do Estado brasileiro. A constituição de 1988 configurou-se o marco de uma profunda reformulação dos modos de prestação do direito à saúde e de funcionamento do sistema de saúde no Brasil, produzindo um complexo e sofisticado aparato normativo no campo das políticas de saúde.

Essas inovações decorrentes da universalização da saúde pela via constitucional que incluíram a saúde no ordenamento jurídico brasileiro como direito social fundamental ressignificaram as relações Estado-Sociedade e, em maior ou menor grau, tensionaram as práticas jurídicas, exigindo mudanças na racionalidade e na doutrina jurídica tradicional relativamente ao manejo judicial do direito à saúde desde uma perspectiva transindividual, multidimensional, sistêmica e informada por evidências científicas para determinação dos deveres jurídicos concernentes ao direito de natureza prestacional no campo da saúde, cujo conteúdo material envolve entre outros aspectos o fornecimento de medicamentos e a assistência farmacêutica.

Atentar para a necessidade de responsabilizar todas as partes envolvidas na consecução de um direito social é a difícil tarefa que a sociedade brasileira vem encontrando nas últimas décadas, uma vez que temos de forma reiterada entendido que cabe ao |Estado, mas ignoramos a responsabilidade sanitária da mídia, do mercado e dos próprios cidadãos – apesar de não podermos ignorar que é a parte mais frágil no processo. Há que se identificar instrumentos que coloquem todos os que direta ou indiretamente participam da consecução do direito à saúde para responderem ativamente pelas suas ações no âmbito do acesso aos medicamentos pela população brasileira.

Referências

ANGONESI, D. Dispensação farmacêutica: uma análise de diferentes conceitos e modelos. **Ciência & Saúde Coletiva** [online]. 2008, v. 13, n. suppl [Acessado 5 Dezembro 2022], pp. 629-640. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S1413-81232008000700012>. Epub 01 Abr 2008. ISSN 1678-4561. https://doi.org/10.1590/S1413-81232008000700012.

ARAÚJO, A. L. A; UETA, J. M; FREITAS, O. Assistência farmacêutica como um modelo tecnológico em atenção primária à saúde. **Revista de Ciências Farmacêuticas Básica e Aplicada**, São Paulo, v. 26, n.2, p. 87-92, 2005.

ASENSI, F.D. O direito à saúde no Brasil e em Portugal. In: ____. **Direito à saúde:** práticas sociais reivindicatórias e sua efetivação. Curitiba: Juruá, 2013. p.131-190.

BRASIL. Lei n. 12.401, de 28 de abril de 2011. Altera a Lei n. 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS. **Diário Oficial da União**, Poder Executivo, Brasília, DF, 28 abr. 2011. Seção 1, p. 1.

BRASIL. Lei n. 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e da outras providencias. **Diário Oficial [da] República Federativa do Brasil**, Poder Executivo, Brasília, DF, 20 set. 1990. Seção 1, p. 18055.

BRASIL. Lei n. 14.313, de 21 de março de 2022. Altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990 (Lei Orgânica da Saúde), para dispor sobre os processos de incorporação de tecnologias ao Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre a utilização, pelo SUS, de medicamentos cuja indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). **Diário Oficial da União**, Poder Executivo, Brasília, DF, 22 mar. 2022. Seção 1, p. 1.

BRASIL. Lei n. 9.782, de 26 de janeiro de 1999. Define o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária, cria a Agência Nacional de Vigilância Sanitária, e dá outras providências. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l9782.htm. Acesso em: 30 nov. 2022.

BRASIL. Lei n. 13021, de 8 de agosto de 2014. Dispõe sobre o exercício e a fiscalização das atividades farmacêuticas. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2014/lei/l13021.htm . Acesso em: 30 nov. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Uso racional de medicamentos: temas selecionados / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos – Brasília: Ministério da Saúde, 2012. 156 p. – (Série A. Normas e Manuais Técnicos)

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Componente Avaliação dos Serviços de Assistência Farmacêutica Básica: resultados [recurso eletrônico] / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. – Brasília : Ministério da Saúde, 2017. 100 p. : il. – (Série Pnaum – Pesquisa Nacional sobre Acesso, Utilização e Promoção do Uso Racional de Medicamentos no Brasil ; Caderno 4) Modo de acesso: World Wide Web: ISBN 978-85-334-2530-9 1.

BRASIL. Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011. Regulamenta a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a organização do Sistema Único de Saúde – SUS, o planejamento da saúde, a assistência à saúde e a articulação interfederativa, e dá outras providências. Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, DF, 29 jun. 2011a.

_____. Lei Complementar nº 141, de 13 de janeiro de 2012. Regulamenta o § 3º do art. 198 da Constituição Federal para dispor sobre os valores mínimos a serem aplicados anualmente pela União, Estados, Distrito Federal e Municípios em ações e serviços públicos de saúde; estabelece os critérios de rateio dos recursos de transferências para a saúde e as normas de fiscalização, avaliação e controle das despesas com saúde nas 3 (três) esferas de governo; revoga dispositivos das Leis nos 8.080, de 19 de setembro de 1990, e 8.689, de 27 de julho de 1993; e dá outras providências. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 16 jan. 2012a. Seção 1, p. 1-4.

Encontro Nacional de Assistência Farmacêutica e Política de Medicamentos, 1988, Brasília. Carta de Brasília. Relatório Final. Brasília: Ministério da Saúde, 1988.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. QUALIFAR-SUS: Programa Nacional de Qualificação da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS — Brasília: Ministério da Saúde, 2016. 72 p.

BRASIL. Ministério da Saúde. Organização da Assistência Farmacêutica nos municípios brasileiros: disponibilidade e utilização de medicamentos no SUS: relatório de pesquisa. Belo Horizonte, 2001.

_____. Ministério da Saúde. Portaria n° 1.555, de 30 de julho de 2013. Dispõe sobre as normas de financiamento e de execução do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, DF, n. 146, 31 jul. 2013a. Seção 1, p. 71.

_____. Ministério da Saúde. Portaria nº 1.214, de 13 de junho de 2012. Instituiu o Programa Nacional de Qualificação da Assistência Farmacêutica (QUALIFAR-SUS). Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, DF, 14 jun. 2012b. Seção 1, p. 29.

_____. Ministério da Saúde. Portaria nº 1.215, de 13 de junho de 2012. Regulamenta a transferência de recursos destinados ao Eixo Estrutura do Programa Nacional de Qualificação da Assistência Farmacêutica (QUALIFAR-SUS) no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, DF, 14 jun. 2012c. Seção 1, p. 30.

_____. Ministério da Saúde. Portaria nº 176, de 8 de março de 1999. Estabelece critérios e requisitos para a qualificação dos municípios e estados ao incentivo à Assistência Farmacêutica Básica e define valores a serem transferidos. Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, DF, 11 mar. 1999a. Seção 1, p. 22.

_____. Resolução nº 338, de 6 de maio de 2004. Aprova a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. 2004. Disponível em: . Acesso em: 15 out. 2014.

_____. Resolução nº 468, de 9 de maio de 2013. Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, DF, n. 113. 14 jun. 2013. Seção 1, p. 46.

CONSELHO NACIONAL DO MEIO AMBIENTE (Brasil). Resolução nº 358, de 29 de abril de 2005. Dispõe sobre o tratamento e disposição final dos resíduos dos serviços de saúde e dá outras providências. **Diário Oficial da União**, Poder Executivo, Brasília, DF, 4 maio 2005. Seção 1, p. 63-65.

CONSELHO REGIONAL DE FARMÁCIA DO ESTADO DO PARANÁ. **Assistência Farmacêutica no serviço público:** cartilha para gestores municipais. Curitiba: Conselho Regional de Farmácia do Estado do Paraná, 2013.

COSTA, K. S.; NASCIMENTO JUNIOR, J. M. Hórus: inovação tecnológica na Assistência Farmacêutica no Sistema Único de Saúde. **Revista de Saúde Pública**, São Paulo, v. 46, p. 91-99, dez. 2012. Suplemento 1.

COSTA, L. F. S. (Org.). **O farmacêutico na assistência farmacêutica do SUS:** diretrizes para ação. Brasília: Conselho Federal de Farmácia, 2015. 298 p.

LIMA, M. G. et al. Indicators related to the rational use of medicines and its associated factors. **Revista de Saúde Pública**, [S. l.], v. 51, n. suppl.2, p. 23s, 2017. Disponível em: https://www.revistas.usp.br/rsp/article/view/139771. Acesso em: 30 nov. 2022.

LIMA, R. B. de.; VASCONCELOS, N. P. O sistema de justiça brasileiro: atores, atuação e consequências do arranjo constitucional. In: MENEZES FILHO, N.; SOUZA, A.P. (Org.). **A Carta:** para entender a Constituição brasileira. São Paulo: Todavia, 2009. p. 83-116.

MARIN, N. (Org.) et al. **Assistência farmacêutica para gerentes municipais.** Rio de Janeiro: OPAS/OMS, 2003. 373 p.

ORGANIZAÇÃO PANAMERICANA DA SAÚDE. **Avaliação da Assistência Farmacêutica no Brasil:** estrutura, processo e resultados. Brasília: Organização Pan-Americana da Saúde: Ministério da Saúde. 2005. 260 p.

PAIM; J. S.; ALMEIDA-FILHO, N. Reforma Sanitária Brasileira em perspectiva do SUS. In: PAIM; J. S.; ALMEIDA-FILHO, N. (Orgs.). **Saúde Coletiva:** teoria e prática. Rio de Janeiro: MedBook, 2014.p. 203-210.

PAIVA FILHO, O. Oficinas de assistência farmacêutica. Pharmacia Brasileira, Brasília, v. 2, n. 10, jul./set. 1998.

PONTAROLLI, D.; ROSSIGNOLI, P. ; MORETONI, C. Panorama da judicialização de medicamentos na Secretaria Estadual de Saúde do Paraná. In: SANTOS, A. de O.; LOPES, L. T. **Coletânea Direito à Saúde**: dilemas do fenômeno da judicialização da saúde. Brasília: CONASS, 2018. p. 174-187.

PENCHANSKY, R.; THOMAS, J. W. The concept of access: definition and relationship to consumer satisfaction. **Medical Care**, [S.l.], v. 19, n. 2, p. 127-140, Feb. 1981.

PEPE, V. L. E. **Estudo sobre a prescrição de medicamentos em uma unidade de atenção primária**. Dissertação (Mestrado) – Instituto de Medicina Social, Universidade do Estado do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, 1994.

REIS, A. M. M.; PERINI, E. Desabastecimento de medicamentos: determinantes, consequências e gerenciamento. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 13, p. 603-610, 2008. Suplemento.

ROCHA, R. A saúde na Constituição de 1988: trinta anos de SUS e os desafios pela frente. In: MENEZES FILHO, N.; SOUZA, A.P. (Org.). **A Carta:** para entender a Constituição brasileira. São Paulo: Todavia, 2009. p.173-199.

SANTANA, H. V.; FREITAS FILHO, R. Os limites da defesa de direitos fundamentais por meio de instrumentos processuais de cognição estreita. Mandado de segurança e o caso da saúde. In: FREITAS FILHO, R. (Coord.). **Direito à saúde:** questões teóricas e a prática dos tribunais. São Paulo: Saraiva Educação, 2021. p. 11-62. (Série IDP - Linha Pesquisa Acadêmica)

SANTOS, V.; NITRINI, S. M. O. O. Indicadores do uso de medicamentos prescritos e de assistência ao paciente de serviços de saúde. **Revista de Saúde Pública**, São Paulo, v. 38, n. 6, p. 819-834, dez. 2004.

SCHULZE, C. J. Direito à saúde e a judicialização do impossível. In: SANTOS, A. de O. ; LOPES, L. T. **Coletânea Direito à Saúde**: dilemas do fenômeno da judicialização da saúde. Brasília: CONASS, 2010. p. 14-25.

VIEIRA, F. S.; ZUCCHI, P. Financiamento da Assistência Farmacêutica no Sistema Único de Saúde. **Saúde e Sociedade**, São Paulo, v. 22, n. 1, p. 73-84, 2013.

YAMAUTI, S. M et al. Essencialidade e racionalidade da relação nacional de medicamentos essenciais do Brasil. **Ciência & Saúde Coletiva** [online]. 2017, v. 22, n. 3 [Acessado 5 Dezembro 2022], pp. 975-986.

CAPÍTULO III

Política de regulação econômica do mercado de medicamentos no Brasil: estratégia de promoção ao acesso de medicamentos?

Neemias Santana da Conceição Oliveira

O conceito de regulação econômica é notadamente amplo e complexo e em geral essa definição está relacionada à intervenção do Estado na esfera econômica, a qual pode ocorrer por meio de um número amplo de medidas. Duas correntes teóricas se antagonizam na interpretação e análise da regulação econômica: a Teoria do Interesse Público e a Teoria Econômica da Regulação (CAMPOS e FRANCO, 2017).

A Teoria do Interesse Público defende que a sociedade demanda do Estado intervenções econômicas em situações nas quais o mercado gera resultados ineficientes ou desiguais. A regulação então é instituída com o propósito de defender o interesse público contra perdas de bem-estar associadas às falhas de mercado, caracterizadas principalmente pela ausência de concorrência perfeita (evidenciada pela existência de oligopólios ou monopólios) e a insuficiente provisão de bens públicos. Seria, portanto papel do governo corrigir essas falhas por meio de atividades regulatórias de maneira a maximizar o bem estar social (CAMPOS, 2008).

A segunda corrente teórica que antagoniza a interpretação e análise da regulação econômica é a Teoria Econômica da Regulação, a qual é inspirada na Teoria da Captura, que por sua vez, enfatiza a atuação das organizações produtoras na formulação e implantação das políticas públicas. Baseada nos estudos de cientistas políticos do início do século XX e na visão marxista, essa corrente teórica pressupõe que as empresas privadas sempre buscarão, por meio de diferentes mecanismos, “capturar” as agências reguladoras para maximizar seus ganhos (VIEIRA, 2015; CAMPOS e FRANCO, 2017).

Na maior parte do mundo a indústria farmacêutica sofre regulação econômica e nos países onde há fornecimento público de medicamentos, além de proteger o usuário, a regulação busca também prover proteção às contas públicas. Embora a maior parte do mundo regule de alguma forma o mercado de medicamentos, no Brasil essa ainda não é uma questão pacificada (MIZIARA, 2013).

O objetivo deste capítulo é descrever as principais características da política de regulação econômica do mercado de medicamentos no Brasil e sua inserção nas estratégias de promoção ao acesso de medicamentos.

Característica do mercado de medicamentos

O mercado da saúde, onde está inserida a indústria farmacêutica, é notadamente diferente de outros mercados econômicos. Nele, a demanda pelo produto ocorre em uma circunstância anormal, a doença, o que pode comprometer a racionalidade da decisão do consumidor. Atrelado a isto, nesse mercado, quem decide sobre qual produto e a quantidade a ser adquirida não é o consumidor direto e sim o profissional prescritor e por consequência da existência de uma diferença de conhecimento entre médicos e pacientes em favor dos primeiros – assimetria de informação - abre-se a possibilidade de haver indução da demanda (ARROW, 1963; BENNETT, 1997).

Outra particularidade do mercado da saúde é o fato de consumidores não pagarem diretamente pelos serviços consumidos. Frequentemente a figura do pagador está desassociada do consumidor e do indutor da demanda. Em geral, o “elemento pagador” é personificado pelos seguros e planos de saúde ou, pelos sistemas de saúde com acesso a medicamentos universal, como ocorre no Brasil (BENNETT, 1997; IUNES, 2002).

Nesses casos, o preço pago diretamente pelo consumidor é quase zero ou mesmo zero, tornando a demanda pelos "produtos da saúde" quase que perfeitamente inelástica, uma vez que o preço não é determinante para o volume de vendas do bem e sim o resultado/efeito esperado pelo seu uso, visto que, em muitos casos quem paga por um medicamento não é quem consome e nem muito menos que o indicou. (BENNETT, 1997; IUNES, 2002; SERRA, 2002).

Ressalte-se também a existência de assimetria de informação entre produtores e prescritores, uma vez que, os primeiros exercem demasiada influência e controle sobre os ensaios clínicos e os resultados das pesquisas de desenvolvimento dos medicamentos e são também os responsáveis por financiar parte, ou em muitos casos, a totalidade da educação continuada às quais os prescritores são submetidos (ANGELL, 2010).

Dessa forma, o pagador pelo medicamento, que em muitos casos é o Sistema de Saúde, desconhece se o paciente que vai de fato consumir o produto realmente necessita do dele. Desta forma, a assimetria de informações entre prescritor, paciente e financiador pode promover e facilitar comportamentos oportunistas abrindo a possibilidade de haver indução da demanda, o que contribui para produzir irracionalidades no uso dos medicamentos e desperdício de recursos financeiros (MOTA *et al.*, 2008).

Apesar de não ser uma exclusividade do setor farmacêutico, o sistema de patentes é outro elemento que torna esse mercado ainda mais complexo, pois por meio dele uma

empresa que insere uma nova droga ou molécula inovadora no mercado tem direito a um monopólio temporário para com o produto, mesmo que outras empresas possuam capacidade técnico-operacional para produzi-lo. Argumenta-se que a patente garante ao laboratório o retorno pelos investimentos e riscos das atividades de pesquisa e desenvolvimento (P&D) do produto, que muitas vezes demoram anos (JANNUZZI, VASCONCELLOS e SOUZA, 2008).

Entretanto, em alguns casos o sistema de patentes pode estar sendo utilizado de forma abusiva e inescrupulosa trazendo danos econômicos à sociedade, uma vez que não existe transparência com relação ao montante investido em P&D, o que de alguma forma pode possibilitar que o preço de entrada do produto no mercado possa ser sobrestimado (ANGELL, 2010).

O sistema de patentes confere ao mercado de medicamentos outra particularidade em comparação aos demais setores econômicos, visto que, o monopólio temporário impede a negociação de preços baseada na livre concorrência, o princípio de oferta e demanda dos mercados liberais não é posto em prática, e o acesso à medicamentos patenteados fica condicionada a decisões de natureza política (JANNUZZI, VASCONCELLOS e SOUZA, 2008).

Apesar das distorções, há um relativo consenso sobre a conveniência do sistema de patentes, fato que torna esse modelo consolidado nos maiores e mais importantes mercados econômicos globais. Cita-se a indústria farmacêutica como uma das que mais depende desse sistema, o que faz com que esse setor mantenha há décadas inúmeros representantes na linha de frente de negociações relativas ao sistema internacional de patentes no âmbito da Organização Mundial do Comércio (ALVES, 2016).

Dado a complexidade que envolve o medicamento, Pignarre (1999) resume que esse é um produto com característica de uma mercadoria especial, distinguindo-o de uma mercadoria comum, pois a socialização do medicamento ocorre no laboratório, desde o momento da pesquisa e, portanto, antes de se chegar ao consumidor final; existe um elemento intermediário entre o medicamento e o paciente, representado pelo médico prescritor, que intermedia e orienta o uso; e o preço é definido por outros elementos além daqueles que definem uma mercadoria comum, não se limitando à relação entre a oferta e a demanda como ocorre em outros setores econômicos.

Apesar de ser a principal intervenção utilizada na prática clínica por seu melhor custo-benefício, o medicamento foi incorporado à dinâmica de consumo e tornou-se vulnerável às mesmas tensões e interesses de qualquer outro setor do mercado, afastando-se de sua

finalidade de auxiliar no tratamento de doenças. (ARRAIS *et al.*, 1997; LEFEVRE e LEFEVRE, 2007).

Lefevre (1983) discute que a dinâmica do consumo difundiu a concepção de que "*qualquer sofrimento, qualquer dor, qualquer estado, enfim, que fuja daquilo que ela institui como padrão, inclusive estético, constitui algo insuportável para o indivíduo; por outro lado, oferece a solução mágica, na ponta dos dedos: os comprimidos*".

Dessa forma, a utilização do medicamento é constantemente atrelada à diminuição do sofrimento, melhoria da qualidade de vida e muitas vezes à manutenção da própria vida, o que o fez tornar-se uma escolha prioritária no tratamento das enfermidades e doenças, ganhando assim valor simbólico, deixando de ser apenas um composto químico para tratamento das doenças que atingem o ser humano, tornando-se uma mercadoria de consumo imbuído de uma série de simbologias que extrapolam o seu real papel de produto tecnicamente obtido com finalidade profilática, curativa, paliativa (IUNES, 2002; RUBINSTEIN, SIQUEIRA e GARRAFA, 2007).

Com isso tem-se em atividade o processo de medicalização da saúde, onde existe uma crescente e elevada dependência dos indivíduos e da sociedade por oferta de bens e serviços de ordem médico-assistencial, e o seu consumo torna-se cada vez mais intensivo. O papel extra técnico dos medicamentos faz extrapolar a sua ação farmacológica, associada ao ‘valor de uso’ e que ultrapassa o seu ‘valor de troca’, sendo que a lógica de mercado, que atua neste segmento desde os primórdios da indústria farmacêutica moderna, estimula intensivamente a extrapolação dita (BARROS, 2002).

O medicamento então tornou-se uma mercadoria de consumo e comércio e dessa forma passa a ser orientado pelas regras estabelecidas pelo mercado, e neste cenário a indústria farmacêutica vem cada vez mais se fortalecendo (RUBINSTEIN, SIQUEIRA e GARRAFA, 2007).

Essa indústria, como qualquer setor empresarial, tem bastante interesse em estimular o máximo de consumo, e por consequência, numa análise puramente comercial, é de seu agrado um máximo de doenças, acompanhadas de um máximo de tratamentos, ou seja, medicalização. Ela é certamente um dos mais poderosos e influentes ramos industriais, que historicamente trilha um caminho ambíguo, ora sendo vista benfeitora da humanidade, uma vez que produz um bem capaz de aliviar o sofrimento e curar enfermidades, ao passo que também é frequentemente acusada por estabelecer a lucratividade inescrupulosa como o cerne de sua prática de mercado (BARROS, 2008).

Essa indústria farmacêutica, por sua prática estritamente capitalista, negligencia a produção de medicamentos de baixa rentabilidade, gerando desabastecimento, e busca padrões de inovação focados em altos retornos no menor prazo possível, necessitando impor altos preços aos medicamentos para possibilitar a acumulação e valorização dos seus ativos (SOARES *et al.*, 2020).

O acesso a medicamentos como um direito social

A partir da promulgação da Constituição Federal no ano de 1988, todo e qualquer cidadão brasileiro tem direito a acessar a todos os serviços públicos de saúde, cabendo ao Estado o dever de prover garantias concretas de proteção deste direito mediante políticas econômicas e sociais (BRASIL, 1988; VALLE e FARAH, 2020).

Ao considerar a política de saúde como uma política social, o Estado brasileiro assumiu que a saúde é um dos direitos inerentes à condição de cidadania, e por consequência pressupõe a existência de uma comunidade política caracterizada pela participação ativa dos indivíduos na coisa pública nacional (FLEURY e OUVERNEY, 2008).

Foi através da ativa participação dos indivíduos na coisa pública nacional que o modelo de saúde ancorado no reconhecimento da saúde como direito humano fundamental foi adotado no Brasil. Essa participação social esteve efervescente durante a luta pela democratização da sociedade pós ditadura militar da segunda metade do século XX. Nesse mesmo contexto ocorre também o advento do Movimento da Reforma Sanitária, que foi um movimento abrangente, não restrito às discussões de questões das práticas em saúde, político e crítico da associação entre o Estado e o setor privado, centrado na defesa de um sistema de saúde que pudesse ser público ou estatal (CELLUPI, *et al.* 2019; MENICUCCI, 2011).

Algumas das bandeiras defendidas pelo Movimento da Reforma Sanitária foram concretizadas pós democratização do país, dentre elas, a criação de um sistema universal de saúde, protegido constitucionalmente. Entretanto, o contexto internacional dos anos de 1980 e de 1990 tornou-se desfavorável para a consolidação de um modelo de saúde estritamente público ou estatal, como era defendido pelo Movimento. Isso porque nessa época, diversos países reformaram seus respectivos sistemas permitindo a incorporação do ente privado na prestação de serviços em saúde (CELLUPI, *et al.* 2019; MENICUCCI, 2011).

Assim, no Brasil, após implantação Sistema Único de Saúde (SUS), ocorreram mudanças em relação ao que dantes foi proposto como responsabilidade a ser assumida pelo

Estado, introduzindo questões como a definição de prioridades, modelos alternativos de prestação de serviços e a ampliação do poder de regulação do Estado (MENICUCCI, 2011).

Com isso, os anos subsequentes à criação do SUS no Brasil foram permeados por políticas de natureza neoliberais, as quais usualmente estão alicerçadas em pretensões de desmonte dos sistemas de proteção social e incentivos à autorregulação dos mercados, com a consequente expansão do mercado privado e enfraquecimento das políticas sociais (CELLUPI, *et al.* 2019).

Diferentemente do que ocorreu na Europa, no Brasil não houve uma reforma político-social que desse conta de desenvolver um modelo de Estado de Bem Estar Social. Isso pode ser explicado pelo fato de que muitas políticas públicas de saúde foram concebidas à luz das recomendações do Banco Mundial, que objetivavam a mercantilização do setor saúde no Brasil, incentivando o Estado a se preocupar prioritariamente em criar um ambiente regulatório que possibilite a livre atuação do setor privado e a limitar a atuação do governo às funções de assistência técnica, pesquisa e regulação dos serviços privados (CELLUPI, *et al.* 2019).

As políticas econômicas, que deveriam ser elaboradas em nome da coletividade com o objetivo de efetivar no cenário social os princípios de justiça distributiva e soberania nacional descritos na Constituição Federal, alinham-se às recomendações de organismos internacionais e trazem como diretriz a austeridade fiscal (CLARK, 2008).

Entretanto, o Estado tem papel fundamental na garantia de proteção social para toda a população, e precisa defender os indivíduos por meio de políticas econômicas que evitem redução do poder de compra e empobrecimento em consequência do pagamento direto por serviços de saúde e medicamentos, atrelado ao planejamento de outras políticas sociais que impactam diretamente em determinantes sociais da saúde, como fatores relacionados às condições de vida e de trabalho da população (VIEIRA, 2020).

Por isso que é tão significativa a conquista da saúde no Brasil ser uma política social, pois essa última deve ser instituída a fim de reduzir as desigualdades estruturais originadas a partir do modo produtivo, se constituindo de ações implementadas pelo Estado que determinam o padrão de proteção social ofertado aos indivíduos (HÖFLING, 2001).

O campo de pesquisa sobre políticas farmacêuticas é extremamente desafiador, dado a complexidade e as contradições que são inerentes ao elemento central dessas políticas, o medicamento, que constitui-se como a principal intervenção utilizada na prática clínica em razão do seu melhor custo-benefício, permitindo em muitas oportunidades progressos terapêuticos a partir de medidas pouco ou não invasivas (ARRAIS *et al.*, 1997).

O gasto público per capita em saúde do Brasil é muito baixo em comparação ao de países com sistema universal de saúde, vem sofrendo reduções nos últimos anos e assim continuará como efeito da Emenda Constitucional nº 95/2016 (EC 95), que impõe restrição importante ao financiamento do SUS (VIEIRA, 2020).

Apesar nos avanços nos últimos anos das estratégias para ampliar o acesso, no Brasil, o gasto com medicamentos é, principalmente, decorrente do desembolso direto das famílias, sendo necessária a ampliação das fontes de financiamento públicas dos diferentes componentes da Assistência Farmacêutica (VASCONCELOS, *et al.*, 2017).

A universalização de acesso a medicamentos ainda se constitui como um desafio a ser superado, tendo como principal obstáculo a desigualdade social que impõe limites de aquisição àqueles que possuem rendimentos menores (AZIS *et al.* 2011).

Preço dos medicamentos e a necessidade de regular o mercado

Os preços dos medicamentos têm sofrido crescimentos significativos mesmo em um cenário de expansão tecnológica e avanços em descobertas científicas, que não necessariamente significam ganhos terapêuticos, uma vez que são estruturadas sob a égide do modelo biomédico e sua tendência à medicalização (BARROS, 2008).

Segundo dados do Tribunal de Contas da União (TCU), o fornecimento de medicamentos representa o maior número de ações interpostas contra o Estado e representa o grande volume de gastos públicos (TCU, 2017). Dessa forma, a necessidade de reduzir o impacto dessa rubrica nos orçamentos dos governos, de maneira a possibilitar a ampliação do acesso, é uma das principais razões para se regular os preços dos medicamentos (BARROS, 2008).

A saída para o sistema público é possuir um rigor na seleção de medicamentos, estritamente baseada em evidências clínicas, apostando na essencialidade como critério organizador das listas de produtos selecionados. No Brasil, a partir do ano de 2012, houve mudanças na estratégia e metodologia na elaboração da Relação Nacional de medicamentos Essenciais (RENAME), e essa lista deixou de uma lista orientadora de práticas clínicas e gerenciais para torna-se em uma lista positiva, o que a deixou susceptível à pressão para incorporação de novas tecnologias (VASCONCELOS, *et al.*, 2017).

Especialmente na lista dos medicamentos dos componentes Estratégico e Especializado, que contemplam medicamentos ainda sob patente, cujos preços são em geral elevados, a incorporação de novas moléculas representa preocupação para o orçamento

governamental em decorrência o peso que esses medicamentos representam no gasto total público (VASCONCELOS, *et al.*, 2017).

Ao mesmo tempo que esse é um cenário desafiador, dado o poder de lobby dos grandes grupos farmacêutico, a incorporação de medicamentos novos à RENAME, apresenta-se também como uma oportunidade de ser estabelecer uma agenda de regulação de preço de medicamentos que considere o poder de barganha governamental, no qual o Estado atue utilizando seu grande poder de compra e sendo um ente determinante para a dinâmica de indução desse setor, interferindo não somente nos preços, mas também possibilitando a nacionalização de tecnologias produtivas para esse mercado (GADELHA, 2003; VASCONCELOS, *et al.*, 2017).

Sob o ponto de vista individual, o acesso à medicamentos se dá de forma desigual entre diferentes classes sociais, àquelas com menor poder aquisitivo possuem mais dificuldade para usufruir de um tratamento terapêutico completo, sendo que nesse contexto, as barreiras ao acesso de ordem financeira figuram entre as principais razões para a subutilização de medicamentos (LUZ, LOYOLA FILHO, LIMA-COSTA, 2009).

Observa-se um aumento da participação das famílias na despesa com o consumo final de bens de saúde, especialmente medicamentos, sendo o crescimento desse tipo de desembolso é um dos principais fatores de piora da equidade no financiamento dos sistemas de saúde (VIEIRA, 2020).

O desequilíbrio entre o gasto público e o privado com medicamentos acende alertas, uma vez que a maior participação privada para aquisição de medicamentos pode sinalizar insucesso das políticas farmacêuticas que foram construídas dentro de um modelo cobertura e proteção universais. As despesas das famílias com medicamentos representaram 1,6% do Produto Interno Bruto (PIB) em 2010 e 1,5% em 2013, enquanto os gastos governamentais foram de 0,2% do PIB nos anos de 2010 e 2013 (VASCONCELOS, *et al.*, 2017).

Entretanto, existe incertezas quanto a racionalidade dos padrões de prescrição e uso desses medicamentos que são adquiridos por desembolso direto, uma vez que, conforme já discutido, no mercado farmacêutico há possibilidades de existir indução da demanda em decorrência da assimetria de informação entre consumidores e prescritores, sendo que os últimos muitas vezes podem estar sob influência das ações de educação e marketing promovida pelos produtores (VASCONCELOS, *et al.*, 2017).

Dessa forma, em um cenário onde as sociedades são caracterizadas pelo consumo sempre crescente de mercadorias, inclusive de bens e serviços de saúde, torna-se necessário estabelecer ferramentas de regulação da relação produção-consumo, uma vez que numa

economia baseada na produção em larga escala existe uma clara vulnerabilidade dos consumidores frente aos interesses dos grandes produtores (COSTA, 2004).

O medicamento é um produto com destacada dimensão social e espera-se que exista uma acentuada presença de políticas públicas nas atividades econômicas do setor farmacêutico (GADELHA, 2003). O Estado deve então exercer um papel de modulador das tensões e interesses entre a dimensão econômica, atrelada a um processo de inovação e acumulação de capital, e da dimensão sociossanitária, que está ligada à defesa dos interesses da população pautada no direito social (GADELHA, MALDONADO e COSTA, 2014).

A regulação de medicamentos é, portanto, uma medida necessária, contudo constitui-se como uma tarefa complexa e abrangente que envolve atividades de natureza técnico-científica, política, administrativa, abarcando também a regulação econômica e por consequência, demanda ações de natureza intersetoriais que implicam em uma articulação dos reguladores em saúde com outros espaços de poder do Estado, a exemplo do Legislativo e outras esferas de governo, exigindo também diálogo com setores econômicos do mercado e até mesmo organizações internacionais (COSTA, 2013).

O papel da CMED e a metodologia de controle de preços no Brasil

A Lei 10.742, de 06 de outubro de 2003, define as normas de regulação para o setor farmacêutico brasileiro e por meio dela foi criada a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), a qual, dentre outras responsabilidades, possui o papel de definir diretrizes e procedimentos relativos à regulação econômica do mercado de medicamentos e estabelecer critérios para fixação e ajuste de preços de medicamentos (BRASIL, 2003a).

Apesar da Lei 10.742 ser relativamente recente, a regulação no mercado farmacêutico brasileiro é bastante antiga, sendo que a primeira intervenção estatal na formação de preços no Brasil data de 1808. Na década de 1990 houve momentos de liberação total do mercado, que resultaram em uma alta sem precedentes nos preços dos produtos farmacêuticos, em decorrência de práticas abusivas por parte dos laboratórios farmacêuticos nacionais e internacionais (MIZIARA, 2013). Isso levantou discussões sobre a necessidade de reformulação as políticas de preços de medicamentos, que levou,em 17 de novembro de 1999, a criação da Comissão Parlamentar de Inquérito (CPI), que ficou conhecida como CPI dos medicamentos (ALENCAR, 2016).

Os desdobramentos dessa CPI levaram à promulgação da Lei n° 10.213 que estabeleceu regras para o reajuste de preços dos medicamentos (BRASIL, 2001). Finalmente

no ano de 2003, a Lei n° 10.742 revogou a Lei n° 10.213 e redefiniu as normas de regulação do mercado farmacêutico no Brasil, instituindo a CMED (BRASIL, 2003a; ALENCAR, 2016).

A CMED é um órgão interministerial e é presidida pelo Ministro da Saúde. Está organizada em três níveis hierárquicos: a Secretaria Executiva (SCMED), o Comitê Técnico-Executivo e o Conselho de Ministros (BRASIL, 2003b).

A SCMED é composta por técnicos da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e institucionalmente está ligada diretamente ao Gabinete do Diretor da ANVISA (GADIP) sendo a responsável pela divulgação dos preços de produtos, reconsideração de análise e processos de menor complexidade (BRASIL, 2003b).

O Comitê Técnico-Executivo é formado por representantes das Secretarias dos Ministérios que compõe o Conselho e possui como responsabilidade a análise dos recursos administrativos, processos administrativos, fatores para reajuste de preços, processos omissos, dentre outros (BRASIL, 2003b).

O Conselho de Ministro é a instância máxima da CMED e formada pelos chefes dos seguintes Ministérios: Saúde, Casa Civil, Fazenda, Justiça e Desenvolvimento, Indústria e Comércio. Esse conselho possui como função a decisão sobre as Resoluções, Portarias e Comunicados, definição do fator do CAP (Coeficiente de Adequação de Preços), bem como a definição dos percentuais de reajuste (BRASIL, 2003b).

Uma vez que o acesso a medicamentos é uma das bases da Política Nacional de Assistência Farmacêutica e tendo em vista que a Política Nacional de Medicamentos estabelece como prioridade o “desenvolvimento de iniciativas que possibilitem a redução nos preços dos produtos, viabilizando, inclusive, o acesso da população aos produtos no âmbito do setor privado” é pertinente afirmar que a regulação econômica do mercado de medicamentos é também um importante componente da Assistência Farmacêutica no país (BRASIL, 1998; BRASIL, 2004b).

A política de regulação econômica então tem como objetivos promover a assistência farmacêutica à população, criando mecanismos que estimulem a oferta de medicamentos e a competitividade do setor farmacêutico no país (BRASIL, 2003a; BRASIL, 2004a).

Diferentes estratégias vêm sendo empregadas em todo o mundo como forma de regular o mercado de medicamentos, dentre as quais pode-se destacar a expansão do programa de genéricos, a fixação das margens de lucro das empresas, estabelecimento de preço teto e regime de cofinanciamento (BARROS, 2008).

Apesar do Brasil utilizar outras ferramentas no contexto das Políticas Farmacêuticas, o modelo de regulação de preços, executado pela CMED está alicerçado em dois pilares: a fixação do preço de entrada e a aplicação de fórmula de reajustes anuais (BRASIL, 2003a; BRASIL, 2004a; CALAIS, CALDEIRA e GUIOTI, 2013).

Cabe, portanto, à CMED a tarefa de encontrar o preço ideal para cada medicamento. Entretanto essa é uma tarefa extremamente complexa, uma vez que tetos muito baixos afastaria o interesse produtores, diminuiria a oferta de produtos, com consequente elevação dos preços. Por outro lado, o estabelecimento de tetos muito altos, como o que se tem percebido atualmente, ignora o propósito da regulação e prejudica a sociedade (ARAUJO e MELO NETO, 2018).

Para definição do preço de entrada a Portaria CMED n° 2 de 5 de março de 2004 organizou os produtos em seis categorias e estabeleceu critérios de apuração de preços para cada uma delas, conforme **Quadro 1**.

A Portaria CMED n° 2 de 5 de março de 2004 estabelece que as empresas produtoras de medicamentos deverão informar sempre que pretenderem iniciar a comercialização dos seus produtos e, para tanto, deverão protocolizar junto a CMED, o Documento Informativo de Preços (DIP) que dentre outras informações deverá conter o preço pelo qual a empresa pretende comercializar cada uma das apresentações do produto. No DIP, portanto, devem ser pleiteados o preço fábrica (PF), que é o preço máximo pelo qual o fabricante ou distribuidor pode vender o produto e o preço máximo ao consumidor (PMC), preço máximo a ser praticado no varejo (BRASIL, 2004a).

Quadro1. Critérios para estabelecer o preço de entrada

Classificação	Categoria	Característica do medicamento	Cálculo do preço
Produtos novos	I	Molécula que seja objeto de patente no país e apresente as seguintes características: 1) Maior eficácia comparado aos medicamentos de mesma	O preço não pode ser superior ao menor preço praticado para o mesmo produto nos seguintes países: Austrália, Canadá, Espanha, EUA, França, Grécia, Itália, Nova Zelândia, Portugal e o país

		indicação. 2) Mesma eficácia e diminuição dos efeitos adversos; 3) Mesma eficácia e redução do custo de tratamento.	de origem do produto.
	II	Produtos novos que não se enquadrem na categoria I	Análise de custo-minimização, tendo como base as opções terapêuticas disponíveis no Brasil. Preço não pode ser superior ao menor preço internacional (países supracitados).
Novas apresentações	III	Nova apresentação de medicamento já comercializado pela empresa na mesma forma farmacêutica.	O preço não pode ser superior à média aritmética dos preços das apresentações com mesma forma farmacêutica já comercializada pela própria empresa.
	IV	Nova apresentação de medicamento em uma das situações: 1) Medicamento novo na lista dos comercializados pela empresa, exceto se for categoria V; 2) Medicamento comercializado pela empresa em nova forma	O preço não pode ultrapassar o preço médio das apresentações com o mesmo princípio ativo disponíveis no mercado, na mesma forma farmacêutica, ponderado pelo faturamento de cada apresentação.

		farmacêutica.	
	V	Nova forma farmacêutica no país ou nova associação de princípios ativos já existentes no País	No caso de uma nova associação de monofármacos, o preço da associação não pode ser superior à soma dos preços dos monofármacos.
	VI	Medicamentos genéricos	O preço não pode ser superior a 65% do preço do medicamento de referência correspondente.

Os reajustes, por sua vez, conforme determinado em lei, são autorizados anualmente pela CMED e obedecem a seguinte fórmula:

VPP = IPCA – X + Y + Z

Na qual:

- VPP: Variação Percentual dos Preços
- IPCA: Índice Nacional de Preços ao Consumidor Amplo, que representa a taxa de inflação.
- Fator X: Fator de produtividade
- Fator Y: Fator de ajuste de preços relativos entre setores
- Fator Z: Fator de ajuste de preços relativos intrassetor, que leva em consideração o grau de concorrência entre os setores do mercado farmacêutico.

Ao divulgar o resultado da análise do DIP enviado pela empresa, a CMED além de publicar o PF e o PMC aprovado também publiciza o preço máximo de venda ao governo (PMVG), que é resultado da multiplicação do PF pelo coeficiente de adequação de preços (CAP), o qual é calculado e divulgado anualmente pela CMED levando em conta a média da razão entre o produto interno bruto (PIB) per capita do Brasil e de nove países desenvolvidos,

além de considerar o índice de desenvolvimento humano (IDH) (CALAIS, CALDEIRA e GUIOTI, 2013).

Cabe também à CMED divulgar anualmente o nível de concentração de cada mercado. Para tanto utiliza-se como ferramenta o Índice Herfindahl-Hirschman (IHH) calculado com base nas informações de comercialização prestadas pelas próprias empresas. O nível de concentração pode ser de 1 à 3, sendo que no nível 1- não existe evidências de concentração (IHH abaixo de 1.500, nível 2 - moderadamente concentrado (IHH entre 1.500 e 2.500) e nível 3 - fortemente concentrado (IHH acima de 2.500). Apesar da informação ser divulgada por apresentação farmacêutica, o nível de concentração é calculado por classes terapêuticas, levando em consideração a classificação da *Anatomical Therapeutic Chemical Code* - ATC (ALVES, 2016).

Apesar de ter uma estrutura hierárquica bem definida, parece faltar à CMED uma estrutura operacional suficientemente capaz de realizar tarefas essenciais à regulação do mercado como o monitoramento de preços reais dos medicamentos e a criação de mecanismos de fiscalização da aplicação do CAP em todas as compras públicas. Esses desafios relacionados à capacidade institucional da CMED na execução de suas atividades podem levar a um comprometimento da qualidade da regulação dos preços dos medicamentos no país (MIZIARA e COUTINHO, 2015).

A eficiência da CMED como agência capaz de proteger a sociedade de práticas de preços abusivas foi questionada pelo Tribunal de Contas da União (TCU) através do Relatório de Auditoria Operacional TC 034.197/2011-7. O TCU constatou que o PF de medicamentos brasileiros apresentava graves distorções, não sendo, em muitos casos, um indicador adequado para ser utilizado como parâmetro aplicável ao controle das compras públicas (TCU, 2012).

Em muitos casos os preços CMED podem estar muito acima da realidade do mercado, com diferenças que podem ser de mais de 600%. Diante disto, a aquisição de medicamentos apenas por preços inferiores aos registrados na lista da CMED não significa necessariamente que houve eficiência na compra pública e não isenta o gestor público de possíveis sanções (TCU, 2018). Portanto, é necessário fazer uma boa e fundamentada definição de valor referencial para segurança jurídica da licitação e para resguardar agentes públicos de sanções administrativas e penalidades cabíveis, adotando, por exemplo a estratégia de balizar-se pelos preços praticados no âmbito dos órgãos e entidades da Administração Pública (BRASIL, 1993).

Apesar da Lei que cria a CMED trazer como destaque que a regulação econômica de medicamentos tem como finalidade promover assistência farmacêutica à população, o debate sobre redução de preços e acesso de medicamentos não parece possuir destaque nas normativas e comunicados redigidos pela CMED . Sua atuação ainda concentra-se em ações burocráticas, com ênfase normativa, sendo urgente a necessidade do fortalecimento institucional da CMED, de maneira a fazê-la transpor a fronteira de uma atuação essencialmente burocrática, notadamente desarticulada de outras ações das políticas farmacêuticos (MALUF, 2011; OLIVEIRA e ELIAS, 2012).

A universalização de acesso a medicamentos é um dos principais objetivos das políticas farmacêuticas e possui como principal obstáculo a desigualdade social que impõe limites de aquisição àqueles que possuem rendimentos menores (AZIS *et al.* 2011). É injusto que pessoas em situação de vulnerabilidade econômica sejam obrigadas a pagar pelos altos preços dos medicamentos, ou mesmo que o Sistema Único de Saúde seja excessivamente onerado, em virtude da falta clareza e transparência no processo de precificação dos medicamentos, pois não se sabe qual de fato é o montante investido em Pesquisa e Desenvolvimento (P&D) pelas empresas farmacêuticas, de maneira que essas podem estar atuando de forma abusiva e inescrupulosa trazendo danos econômicos à sociedade (ANGELL, 2010).

É por isso que, em um momento de avanço das políticas liberais no Estado brasileiro, com perda de direitos dos trabalhadores e regressões legislativas, é crucial que se lute pelo fortalecimento das instituições de regulação, principalmente daquela que visa regular um mercado tão complexo e carregado de interesses obscuros como é o mercado de medicamentos, cabendo a essas instituições a responsabilidade de mediar a relação entre produtores e consumidores, sendo esse último constituído de indivíduos, instituições de saúde e o próprio Estado (COSTA, 2004).

A regulação econômica de preços deve, portanto, ter como principal objetivo proteger financeiramente o SUS contra abusos do mercado econômico, uma vez que, conforme estudo realizado pelo TCU, o fornecimento de medicamentos representa o maior número de ações interpostas contra o Estado e representa o maior volume de gastos públicos (TCU, 2017).

O valor pago pelos medicamentos é, portanto, um item de interesse social e o seu processo de regulação e a metodologia de precificação deve ser tema de debate abrangente em toda sociedade. A CMED, como órgão da administração pública federal, é responsável por fomentar a participação social na formulação, na execução, no monitoramento e na avaliação

das suas ações e seus programas, de maneira que as normativas publicadas reflitam e atendam aos anseios da sociedade (BRASIL, 2014).

Dessa forma, a utilização da ferramenta de consulta pública de forma mais ampla, com divulgação e acesso facilitado, pode ser uma estratégia de Boas Práticas a ser incorporada pela CMED, buscando sobretudo ampliar a discussão sobre as matérias em análise, agregando ao debate a ótica e as vivências de pacientes, profissionais de saúde, cidadãos e outros atores sociais, para além daqueles ligados ao setor industrial farmacêutico (BRASIL, 2014; SILVA, *et al.*, 2019).

Outra estratégia que pode também ser utilizada pela CMED é a ferramenta de audiência pública, um mecanismo que permite a participação social na gestão pública, possui natureza consultiva e possibilita que a sociedade manifeste seus interesses e opiniões, fornecendo subsídios para a tomada de decisão (SILVA, *et al.*, 2019).

É prioritária também, a implementação conjunta de outras medidas de regulação econômica devidamente aplicadas à realidade de um Sistema de Saúde brasileiro, que dada as suas dimensões continentais, poderia exercer maior influência na formação de preços e na nacionalização da produção de medicamentos e insumos farmacêuticos contribuindo para o desenvolvimento do complexo industrial da saúde de maneira a garantir a independência produtiva nacional (GADELHA, MALDONADO, COSTA, 2014).

Referências

ALENCAR, Tatiane de Oliveira Silva. **A reforma sanitária brasileira e a questão medicamentos/assistência farmacêutica.** 2016 439 f. Dissertação (Mestrado em Saúde Coletiva). Universidade Federal da Bahia, 2016.

ALVES, Lucas Bispo de Oliveira. **A regulação de preços de medicamentos: aspectos gerais e críticas à metodologia brasileira de reajustes**. 2016. 62 f. Dissertação (Mestrado em Economia). Universidade de Brasília, Brasília, 2016.

ANGELL, Marcia. **A verdade sobre os laboratórios farmacêuticos: como somos enganados e o que podemos fazer a respeito.** 5. ed. São Paulo: Record, 2010. 319p.

ARAUJO, Vitor Bruno Rocha; MELO NETO, Antônio Pedro de. A teoria da regulação aplicada a CMED: um paralelo entre o controle de preços sobre a indústria farmacêutica e as análises de Anthony Ogus. **Rev. de Direito, Economia e Desenvolvimento Sustentável**, Porto Alegre, 4 (2): 115-130, jul-dez, 2018.

ARRAIS, Paulo Sérgio Dourado *et. al*. Perfil da automedicação no Brasil. **Revista de Saúde Pública**, 31 (1): 71-77, 1997.

ARROW, K. **Uncertainty and the welfare economics of medical care**. American Economic Review, v. 53 n.5, p. 941-973, 1963.

AZIZ, Marina Meneses *et al.* .Prevalência e fatores associados ao acesso a medicamentos pela população idosa em uma capital do sul do Brasil: um estudo de base populacional. **Cad. Saúde Pública**, Rio de Janeiro , v. 27, n. 10, p. 1939-1950, Oct. 2011 . Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0102-311X2011001000007elng=enenrm=iso>. Acesso em 21 dez. 2020. https://doi.org/10.1590/S0102-311X2011001000007.

BARROS, José Augusto Cabral de (org). **Os fármacos na atualidade: antigos e novos desafios**. Brasília: ANVISA, 2008. p. 25-78.

BARROS, José Augusto Cabral de. Pensando o processo saúde doença: a que responde o modelo biomédico?.**Saude soc.**,São Paulo , v. 11, n. 1, p. 67-84, jul. 2002 . Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0104-12902002000100008elng=ptenrm=iso>. acessos em 19 nov. 2018. http://dx.doi.org/10.1590/S0104-12902002000100008.

BENNETT, S. Health care markets: defining characteristics. In: **Private health providers in Developing Countries**. Edited by Bennett, S. :MePake, B e Mills, A. Zed Books 1997.

BOING, Alexandra Crispim et. al. Acesso a medicamentos no setor público: análise de usuários do Sistema Único de Saúde no Brasil. **Cad. Saúde Pública**, Rio de Janeiro, 29(4):691-701, abr, 2013. Disponível em: < https://www.scielosp.org/pdf/csp/2013.v29n4/691-701/pt.> acesso em 21 dez 2020.

BRASIL. **Constituição da República Federativa do Brasil de 1988**. 1988; 05 out. Disponível em: http:// www.planalto.gov.br/ccivil_03/Constituicao/Cons- tituicao Compilado.htm. Acesso em 29 nov. 2019.

BRASIL. Decreto nº 8.243, de 23 de maio de 2014. **Institui a Política Nacional de Participação Social e o Sistema Nacional de Participação Social, e dá outras providências**. Brasília, DF; 2014.

BRASIL. Lei n° 10.213, de 27 de março de 2001. **Diário Oficial da União**, Poder Executivo, Brasília, DF, 28 de março de 2001.

BRASIL(a). Lei n° 10.742, de 06 de outubro de 2003. **Diário Oficial da União**, Poder Executivo, Brasília, DF, 07 de outubro de 2003.

BRASIL. Portaria n.º 3.916, de 30 de outubro de 1998. **Política Nacional de Medicamentos**. Disponível em: http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/1998/prt3916_30_10_1998.html

BRASIL(b). **Resolução CMED** n° 3 de 29 de julho de 2003.

BRASIL(a). **Resolução CMED** nº 2, de 5 de março de 2004.

BRASIL(b). Resolução Ministério da Saúde nº 338, de 06 de maio de 2004. **Política Nacional de Assistência Farmacêutica**. Disponível em: < http://portalarquivos2.saude.gov.br/images/pdf/2014/abril/17/Resolucao-338-06052004.pdf > Acesso em: 09 dez. 2018.

CALAIS, Giselle Silva Pereira; CALDEIRA, Telma Rodrigues; GUIOTI, Cidley de Oliveira. Regulação econômica. In: VIEIRA, Fernanda Pires; REDIGUIERI, Camila Fracalossi; REDIGUIERI, Carolina Fracalossi. **A regulação de medicamentos no Brasil**. Porto Alegre: Artmed, 2013. p. 563-584.

CAMPOS, Arthur Zaian Silva; FRANCO, Marco Paulo Vianna.Os efeitos da regulamentação de preços da CMED sobre as compras públicas de medicamentos do Estado de Minas Gerais. **Rev. de Gestão em Sistemas de Saúde –RGSS**, v.6, n. 3, setembro/dezembro 2017.

CAMPOS, Humberto Alves de. Falhas de mercado e falhas de governo: uma revisão da literatura sobre regulação econômica. **Prismas**, Brasília, v. 5, n. 2, p. 281-303, jul./dez. 2008.

CLARK, Giovani. Política econômica e Estado. **Estud. av.** , São Paulo, v. 22, n. 62, pág. 207-217, abril de 2008. Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0103-40142008000100014&lng=en&nrm=iso>. Acesso em 29 dez. 2020. https://doi.org/10.1590/S0103-40142008000100014 .

COSTA, Ediná Alves. Regulação e Vigilância Sanitária para proteção da saúde. In: VIEIRA, Fernanda Pires; REDIGUIERI, Camila Fracalossi; REDIGUIERI, Carolina Fracalossi. **A regulação de medicamentos no Brasil**. Porto Alegre: Artmed, 2013. p. 563-584.

COSTA, Ediná Alves. **Vigilância Sanitária para proteção da saúde**. São Paulo: SociedadeBrasileira de Vigilância de Medicamentos, 2004. p. 67-98.

COSTA, Ediná Alves, et. al. Concepções de assistência farmacêutica na atenção primária à saúde, Brasil. RevSaude Publica. 2017;51 Supl 2:5s.

DIAS, Leticia Lucia dos Santos; SANTOS, Maria Angelica Borges dos; PINTO, Cláudia Du Bocage Santos. Regulação contemporânea de preços de medicamentos no Brasil - uma análise crítica. **Saúde debate**, Rio de Janeiro , v. 43, n. 121, p. 543-558, Abril. 2019 . Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0103-11042019000200543elng=enenrm=iso>. acesso em 06 dez. 2020. EpubAug 05, 2019. https://doi.org/10.1590/0103-1104201912120.

FLEURY, Sonia; OUVERNEY, Assis M. Política de Saúde; Uma Política Social. In: GIOVANELLA, l; ESCOREL, S; LOBATO, L. V. C; NORONHA, J. C; CARVALHO, A. I. (ORG's). **Políticas e Sistemas de Saúde no Brasil.** Rio de Janeiro - R. J. Fiocruz, 2008. p. 23 – 64.

GADELHA, Carlos Augusto Grabois. O complexo industrial da saúde e a necessidade de um enfoque dinâmico na economia da saúde. **Ciênc. saúde coletiva**, Rio de Janeiro , v. 8, n. 2, p. 521-535, 2003 . Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S1413-81232003000200015elng=enenrm=iso>. acesso em:30 Jan 2020. https://doi.org/10.1590/S1413-81232003000200015.

GADELHA, C. A.G.; MALDONADO, J.M.S. de V.; COSTA, L. S. Complexo Produtivo de Saúde: inovação, desenvolvimento e Estado. In: Paim, J.S. e Almeida-Filho, N. de. **Saúde Coletiva: Teoria e Prática**. 2014. Rio de Janeiro: MedBook, 2014. p.173-183.

HÖFLING, Eloisa De Mattos. Estado E Políticas (Públicas) Sociais. **Cadernos Cedes**, ano XXI, nº 55, novembro/2001. p. 30-41

IUNES, R. F. Demanda e demanda em saúde. In: Piola, S. F., Vianna, S. M. (org). **Economia da Saúde: conceitos e contribuição para gestão da saúde**. 3.ed. Brasília: IPEA, 2002.

JANNUZZI, Anna Haydée Lanzillotti; VASCONCELLOS, Alexandre Guimarães; SOUZA, Cristina Gomes de. Especificidades do patenteamento no setor farmacêutico: modalidades e aspectos da proteção intelectual. **Cad. Saúde Pública**, Rio de Janeiro , v. 24, n. 6, p. 1205-1218, jun. 2008 . Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0102-311X2008000600002elng=ptenrm=iso>. acessos em 15 nov. 2018. http://dx.doi.org/10.1590/S0102-311X2008000600002.

LEFEVRE, Fernando. A função simbólica dos medicamentos. **Rev. Saúde Pública**, São Paulo , v. 17, n. 6, p. 500-503, Dec. 1983 .Disponível em<http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0034-89101983000600007elng=enenrm=iso>. acesso em:30 Jan 2020. https://doi.org/10.1590/S0034-89101983000600007.

LEFEVRE, Fernando; LEFEVRE, Ana Maria Cavalcanti. Saúde como negação da negação: uma perspectiva dialética. **Physis,**Rio de Janeiro , v. 17, n. 1, p. 15-28, abr. 2007 . Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0103-73312007000100002elng=ptenrm=iso>. acessos em 19 nov. 2018.

LUZ, Tatiana Chama Borges; LOYOLA FILHO, Antônio Ignácio de; LIMA-COSTA, Maria Fernanda. Estudo de base populacional da subutilização de medicamentos por motivos financeiros entre idosos na Região Metropolitana de Belo Horizonte, Minas Gerais, Brasil. **Cad. Saúde Públic**a, Rio de Janeiro , v. 25, n. 7, p. 1578-1586, July 2009 . Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0102-311X2009000700016elng=enenrm=iso>. Acesso em 21 dez. 2020. https://doi.org/10.1590/S0102-311X2009000700016.

MALUF, Erica. O controle de preços de medicamentos. **Revista de Direito Sanitário**, São Paulo, 12, n. 1 p. 67-84 Mar./Jun. 2011. Disponível em: < https://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/13237/15052>. Acesso em 21 dez 2020.

MENICUCCI, Telma Maria Gonçalves A reforma sanitária brasileira e as relações entre o público e o privado. In: Santos, N.R e Arantes, P.D.C (org.). **Gestão Pública e Relação Público Privado na Saúde**. Rio de Janeiro :Cebes, 2011, p.180-197.

MIRANDA, Elaine Silva *et al* . Disponibilidade no setor público e preços no setor privado: um perfil de medicamentos genéricos em diferentes regiões do Brasil. **Cad. Saúde Pública**, Rio de Janeiro , v. 25, n. 10, p. 2147-2158, Oct. 2009. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0102-311X2009001000006elng=enenrm=iso>. Acesso em 13 dez. 2020.

MIZIARA, Nathália Molleis. **Regulação do mercado de medicamentos: A CMED e a política de controle de preços**. 2013. 229f. Dissertação (Mestrado em Direito). Universidade de São Paulo, São Paulo, 2013.

MIZIARA, Nathália Molleis; COUTINHO, Diogo Rosenthal. Problemas na política regulatória do mercado de medicamentos. **Rev. Saúde Pública**,São Paulo , v. 49, 35, 2015. Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S0034-89102015000100226elng=ptenrm=iso>. Acesso em 09 dez. 2018. http://dx.doi.org/10.1590/S0034-8910.2015049005779.

MOTA, Daniel Marques *et al* . Uso racional de medicamentos: uma abordagem econômica para tomada de decisões. **Ciênc. saúde coletiva**, Rio de Janeiro , v. 13, supl. p. 589-601, Apr. 2008 . Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S1413-81232008000700008elng=enenrm=iso>. Acesso em: 15 dez. 2020. https://doi.org/10.1590/S1413-81232008000700008.

NISHIJIMA, Marislei; BIASOTO JR., Geraldo; LAGROTERIA, Eleni. A competição no mercado farmacêutico brasileiro após uma década de medicamentos genéricos: uma análise de rivalidade em um mercado regulado. **Econ. soc.**, Campinas , v. 23, n. 1, p. 155-186, Apr. 2014 . Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0104-06182014000100006&lng=en&nrm=iso>. Acesso em: 12 jan. 2021. http://dx.doi.org/10.1590/S0104-06182014000100006.

PIGNARRE, Philippe. **O que é o medicamento?** Um objeto estranho entre ciência, mercado e sociedade. São Paulo. Trad. Paulo Neves. Ed 34. 152 pp. 1999.

RUBINSTEIN, Franklin; SIQUEIRA, Cecília Regina Jacó; GARRAFA Volnei. Relação entre a indústria farmacêutica e Estado na propaganda de medicamentos. In:

GARRAFA, Volnei; MELLO, Dirceu Raposo de; PORTO, Dora. **Bioética e Vigilância Sanitária**. Brasília, DF: Ed. ANVISA, 2007. p. 79 – 87.

SERRA, José. **Ampliando o possível: A política de saúde no Brasil**. São Paulo: Campus, 2002.

SOARES, Cristiane *et al.* . Uma contribuição para compreender a indústria farmacêutica na dinâmica capitalista financeirizada. **Physis,** Rio de Janeiro , v. 30, n. 4, e300414, 2020 . Availablefrom<http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0103-73312020000400617&lng=en&nrm=iso>. Acesso em 31 dez. 2020. EpubDec 14, 2020. https://doi.org/10.1590/s0103-73312020300414.

SOUZA, Gisélia Santana, *et al*. Caracterização da institucionalização da assistência farmacêutica na atenção básica no Brasil. **Rev Saúde Publica**. 2017; 51 Supl 2:7s. Disponível em: < https://www.revistas.usp.br/rsp/article/view/139760/135042> Acesso em 05 jan. 2021.

SOUZA, Gisélia Santana. Trabalho em Vigilância Sanitária: o controle sanitário da produção de medicamentos no Brasil. 2007. 216 f. Tese (Doutorado em Saúde Coletiva). Universidade Federal da Bahia, Salvador, 2007.

VALLE, Fabiana Aparecida Almeida Lawall; FARAH, Beatriz Francisco. A saúde de quem está em situação de rua: (in)visibilidades no acesso ao Sistema Único de Saúde. **Physis**, Rio de Janeiro , v. 30, n. 2, e300226, 2020 . Disponível em<http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0103-73312020000200609&lng=en&nrm=iso>. Acesso em:01 jan. 2021. EpubOct 28, 2020. https://doi.org/10.1590/s0103-73312020300226

VIEIRA, Alexandre Sérgio Alves. **Agências reguladoras independentes? Especialização e captura nas trajetórias de carreira dos reguladores federais brasileiros**. 2015. 79f. Dissertação (Mestrado em Administração).Fundação Getúlio Vargas, Rio de Janeiro, 2015.

VIEIRA, Fabiola Sulpino. O financiamento da saúde no Brasil e as metas da Agenda 2030: alto risco de fracasso. **Rev. Saúde Pública** , São Paulo, v. 54, 127, 2020. Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0034-89102020000100304&lng=en&nrm=iso>. acesso em 31 de dezembro de 2020.

TCU. Tribunal de Contas da União. Aumentam os gastos públicos com judicialização da saúde. Brasília, DF, 23 ago. 2017. Notícias. Disponível em:https://portal.tcu.gov.br/imprensa/noticias/aumentam-os-gastos-publicos-com-judicializacao-da-saude.htm Acesso em: 02 jan. 2020.

TCU. Tribunal de Contas da União. (2012). Relatório de Auditoria Operacional TC 034.197/2011-7. Disponível em: <https://portal.tcu.gov.br/biblioteca-digital/auditoria-operacional-na-camara-de-regulacao-do-mercado-de-medicamentos-cmed.htm>. Acesso em 06 de dez. 2018.

VASCONCELOS, Daniela Moulin Maciel de *et al*. Política Nacional de Medicamentos em retrospectiva: um balanço de (quase) 20 anos de implementação. **Ciênc. saúde Coletiva**, Rio de Janeiro , v. 22, n. 8, p. 2609-2614, ago. 2017 . Disponível em <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttextepid=S1413-81232017002802609elng=ptenrm=iso>. acessos em 23 jan. 2021. https://doi.org/10.1590/1413-81232017228.02432017.

CAPÍTULO IV

Incorporação de tecnologias em saúde no SUS: o papel da CONITEC

Catarine dos Santos Pereira

No mundo globalizado a pesquisa e o desenvolvimento de novas tecnologias tem crescido de forma exponencial, e a ocorrência da pandemia de COVID-19, declarada em março de 2020, demonstrou o potencial crescimento que as tecnologias em saúde podem alcançar no século XXI.

O termo “tecnologia em Saúde” aplica-se a produtos e insumos, como medicamentos, vacinas, testes diagnósticos, equipamentos e dispositivos para saúde. São também os procedimentos realizados na assistência, sejam preventivos, curativos (clínicos e cirúrgicos) ou de cuidados em geral, os quais abrangem fortemente o fator humano na sua execução. E, por fim, as tecnologias, de forma mais ampla, incluem os procedimentos e modelos de organização de serviços, e os sistemas de apoio para a atenção à saúde (ELIAS, 2017).

Diante de um conceito tão amplo, é necessário entender o que é a avaliação de tecnologias em saúde e quais os seus objetivos, bem como compreender como esta ocorre no Sistema Único de Saúde – SUS.

Segundo Elias (2017) a Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) consiste na investigação das consequências clínicas, econômicas e sociais do desenvolvimento, difusão e uso das tecnologias nos contextos do sistema e dos serviços de saúde. É uma área multidisciplinar que utiliza evidências de revisões sistemáticas, avaliações econômicas, pesquisas clínicas e avaliação de programas e serviços para orientar decisões na saúde individual e coletiva. Tem como proposta principal, contribuir para melhorar o processo de tomada de decisão, tanto nas políticas do SUS quanto dentro dos serviços de saúde e nas práticas de cuidado prestadas pelos profissionais. Para isso, a ATS fornece informações sobre os benefícios, riscos e custos de tecnologias novas e daquelas que já estão sendo utilizadas.

A ATS reúne informações sobre eficácia, efetividade, segurança e custo-efetividade da tecnologia demandada para subsidiar a tomada de decisão na gestão da saúde pública e na prática clínica.

Os principais estudos científicos usados na ATS são:

- Revisões sistemáticas: análise de um conjunto de estudos que foram realizados separadamente sobre determinada intervenção;
- Estudos clínicos: estudos que avaliam os efeitos de uma intervenção em indivíduos ou grupo de indivíduos;

- Avaliações econômicas: estudos que analisam os custos e os resultados em saúde que são obtidos com o uso de uma determinada tecnologia em comparação a alternativas.

Considerando que os recursos disponíveis no SUS são limitados, é imprescindível a utilização da ciência para garantir que uma tecnologia relevante para os cuidados em saúde seja ofertada à população.

No Brasil, a ATS é realizada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) nas suas recomendações referentes às demandas de incorporação de tecnologias na rede pública de saúde.

A CONITEC foi criada pela Lei nº 12.401 de 28 de abril de 2011, que dispõe sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

É um órgão colegiado de caráter permanente, que tem como objetivo assessorar o Ministério da Saúde nas atribuições relativas à análise e à elaboração de estudos de avaliação dos pedidos de incorporação, ampliação de uso, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde; e na constituição ou na alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDTs). Por meio de instrumento legal, ATS foi institucionalizada no Brasil como critério indispensável para a tomada de decisão sobre a incorporação tecnológica no SUS (RENAME, 2022).

Composta atualmente, por três Comitês definidos por eixos temáticos e a Secretaria-Executiva, tem-se os Comitês responsáveis pela emissão de recomendação sobre incorporação, exclusão ou alteração das tecnologias em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre constituição ou alteração de diretrizes clínicas. Já a Secretaria-Executiva, é exercida pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS), e responsável pela gestão e coordenação das atividades da Comissão, bem como a emissão de relatórios técnicos sobre o tema avaliado, levando em consideração as evidências científicas, a avaliação econômica e o impacto da incorporação da tecnologia no SUS (BRASIL, 2022).

Todas as recomendações emitidas pela CONITEC são submetidas à Consulta Pública (CP) pelo prazo de 20 dias, exceto em casos de urgência da matéria, quando a CP o período será reduzido a 10 dias. As contribuições e sugestões da consulta pública são organizadas e avaliadas pela Comissão, que emite recomendação final. Posteriormente, o relatório da CONITEC é encaminhado para decisão do Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e

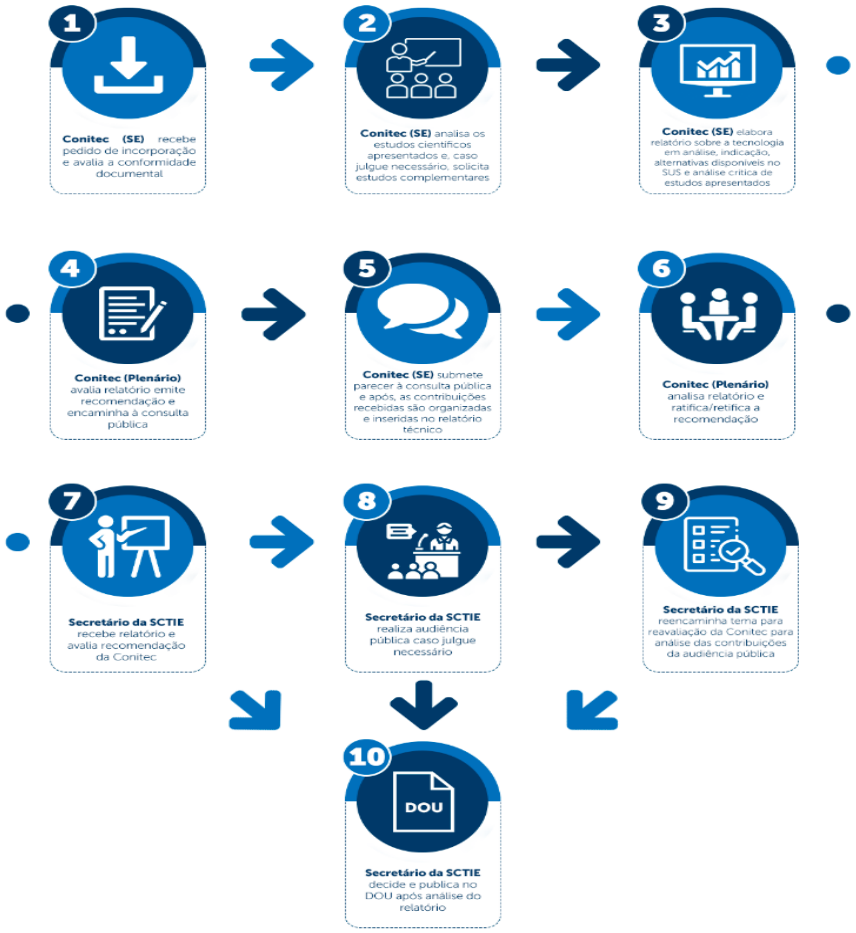
Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE/MS), que pode convocar audiência pública. A decisão é publicada no Diário Oficial da União.

O DGITS foi criado pelo Decreto nº 7.797, de 30 de agosto de 2012, atualizado, pelo Decreto nº 11.098 de 20 de junho de 2022. O Departamento é responsável, dentre outras atribuições, por acompanhar, subsidiar e dar suporte às atividades e demandas da CONITEC e contribuir para a promoção do acesso e do uso racional de tecnologias seguras e eficientes. Composto por três Coordenações-Gerais: a Coordenação-Geral de Gestão Estratégica de Tecnologias em Saúde (CGGTS), a Coordenação-Geral de Avaliação de Tecnologias em Saúde (CGATS) e Coordenação-Geral de Gestão de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (CGPCDT). Além destas, o Departamento também possui o Serviço de Gestão Técnica e Administrativa (SEGAD), a Coordenação de Monitoramento de Tecnologias em Saúde (CMTS) e a Coordenação de Incorporação de Tecnologias (CITEC).

A Secretaria-Executiva, exercida pelo DGITS, é responsável pela gestão e coordenação das atividades da Comissão, bem como a emissão de relatórios técnicos sobre a tecnologia avaliada, levando em consideração as evidências científicas, a avaliação econômica e o impacto da incorporação da tecnologia no Sistema Único de Saúde.

O fluxo das incorporações se dá a partir do pedido formal a CONITEC que recebe a solicitação de incorporação e avalia a conformidade documental analisando os estudos apresentados pelos demandantes e caso necessário solicita estudos e pesquisas complementares. O plenário da CONITEC analisa o relatório e emite parecer conclusivo que é submetido à consulta pública para posterior avaliação das contribuições. A plenária retifica/ratifica a recomendação e o secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia e inovação – SCTIE avalia se haverá audiência pública. A CONITEC realiza a audiência, caso o secretário da SCTIE solicite e novamente o secretário avalia o relatório, decide e publica no DOU a decisão por incorporar ou não a tecnologia ao SUS (CONITEC, 2022).

Figura 1: Fluxo de incorporações da CONITEC.



Fonte: CONITEC, 2022.

A análise da incorporação de uma tecnologia ao sistema público de saúde leva em consideração, dentre outros fatores, o impacto financeiro desta inclusão o que se torna um grande desafio para a gestão deliberar sobre qual tecnologia deve ser incorporada e quando isto deve acontecer.

No contexto das responsabilidades da CONITEC a elaboração, atualização e publicação dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e Diretrizes diagnósticas e terapêuticas (DDTs), bem como a atualização da RENAME merecem destaque neste capítulo. Importa ainda descrever a que correspondem esses documentos norteadores das práticas no SUS.

Os PCDT são documentos que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. Devem ser baseados em evidência científica e considerar critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

As DDT são documentos específicos da oncologia e são baseados em evidência científica que visam nortear as melhores condutas na área da Oncologia. A principal diferença em relação aos PCDT é que, por conta do sistema diferenciado de financiamento dos procedimentos e tratamentos em oncologia, este documento não se restringe às tecnologias incorporadas no SUS, mas sim, ao que pode ser oferecido a este paciente, considerando o financiamento repassado aos centros de atenção e a autonomia destes na escolha da melhor opção para cada situação clínica.

Os Protocolos de Uso são documentos normativos de escopo mais estrito, que estabelecem critérios, parâmetros e padrões para a utilização de uma tecnologia específica em determinada doença ou condição. Já as Diretrizes Nacionais/Brasileiras são documentos norteadores das melhores práticas a serem seguidas por profissionais de saúde e gestores, sejam eles do setor público ou privado da saúde.

Quando se trata da lista de medicamentos disponibilizados no SUS o documento norteador é a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME. A Lei nº 8.080/1990 é o marco legal para assegurar o acesso aos medicamentos uma vez que trata do direito de todos os cidadãos à assistência terapêutica integral, inclusive farmacêutica. A partir desta lei, o Brasil tem adotado estratégias que visam ampliar o acesso a medicamentos seguros e eficazes, por meio de regulamentações de grande relevância para o sistema de saúde (ALVARES et al., 2017).

São exemplos de tais estratégias, a Política Nacional de Medicamentos - PNM (BRASIL, 1998), a realização da I Conferência Nacional de Medicamentos e Assistência Farmacêutica (2003) e a aprovação da Política Nacional de Assistência Farmacêutica - PNAF (BRASIL, 2004). Merece destaque ainda, a Lei dos medicamentos genéricos - Lei Nº 9.787 de 10 de fevereiro de 1999 - e a obrigatoriedade da adoção da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), atualizada a cada dois anos, como parâmetro para o acesso aos medicamentos (SOUSA et al., 2017).

A PNM foi desenvolvida no contexto nacional de estruturação dos serviços farmacêuticos, buscando reparar as questões deixadas pela antiga Central de Medicamentos

(CEME) que possuía até 1997, ano da sua extinção, a gestão centralizada no Ministério da Saúde da aquisição e distribuição dos medicamentos disponibilizados no SUS (OLIVEIRA et. al., 2007, p.83). Segundo Oliveira et al. (2007, p. 85), "a PNM foi a primeira das políticas setoriais da área da saúde regulamentada no país". Segundo estes autores a PNM foi motivada por antecedentes históricos vários que levaram o Ministério da Saúde à sua elaboração, como a própria institucionalização do SUS, cujos princípios e diretrizes pretendiam contribuir, entre outras ações, para ampliar o acesso dos usuários aos medicamentos essenciais, direito fundamental para garantir uma assistência integral à saúde.

A PNM foi criada com a finalidade de garantir a adoção de medicamentos seguros, eficazes e de qualidade, bem como a promoção do uso racional e o acesso da população àqueles considerados essenciais. E apresentava como diretrizes: adoção de relação de medicamentos essenciais; regulamentação sanitária de medicamentos; reorientação da assistência farmacêutica; promoção do uso racional de medicamentos; desenvolvimento científico e tecnológico; promoção da produção de medicamentos; garantia da segurança, eficácia e qualidade dos medicamentos; e o desenvolvimento e capacitação de recursos humanos (BRASIL, 1998).

A fim de reforçar o atendimento às políticas de acesso a medicamentos essenciais foi publicada em 1999, uma nova Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) que serviu de referência para elaboração de listas de medicamentos para estados e municípios constituindo-se instrumentos norteadores à orientação e à prescrição, assim como para o abastecimento e dispensação. O caráter de orientação da prescrição no SUS e de sua relevância na garantia do acesso a medicamentos tornam fundamentais ações de atualização e revisão, a fim de que a RENAME seja de fato efetiva (ALENCAR, 2011).

Em 2011, atos normativos estabeleceram critérios para seleção de tecnologias em saúde no SUS. A publicação da Lei nº 12.401/2011, instituiu que o acesso aos medicamentos no SUS ocorreria baseado nas relações de medicamentos definidas pelo gestor federal do sistema respeitadas as competências estabelecidas nesta lei, sendo a Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde/MS a responsabilidade pelo fornecimento dos medicamentos elencados na RENAME pactuada na Comissão Intergestores Tripartite (CIT); o Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011, que regulamentou a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, dispôs que "a RENAME compreende a seleção e a padronização de medicamentos indicados para atendimento de doenças ou de agravos no âmbito do SUS" (RENAME, 2020).

O Brasil optou por selecionar os medicamentos não apenas para as doenças mais prevalentes, mas também contempla aqueles indicados para as doenças negligenciadas. Os critérios de seleção têm sido norteados, de maneira geral, pelas recomendações da OMS.

Assim, são considerados: dados consistentes e adequados de eficácia e segurança de estudos clínicos; evidência de desempenho em diferentes tipos de unidades de saúde; disponibilidade da forma farmacêutica em que a qualidade adequada, incluindo a biodisponibilidade, possa ser assegurada; estabilidade nas condições previstas de estocagem e uso; custo total de tratamento e preferência por monofármacos (PEPE, 2011).

O Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011 (alterado pelo Decreto nº 11.161, de 4 de agosto de 2022), trata sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde SUS, e dá outras providências, estabelece que a partir da criação da CONITEC, esta passa a ser responsável por propor a atualização da RENAME (BRASIL, 2011).

A atualização do elenco da RENAME proposta pela CONITEC compreende:

> i) um processo reativo em que os demandantes são órgãos e instituições, públicas ou privadas, ou pessoas físicas; e
> ii) um processo ativo conduzido por uma subcomissão da CONITEC – a Subcomissão Técnica de Atualização da RENAME e do Formulário Terapêutico Nacional. Em ambos os processos, os medicamentos e insumos são incorporados, excluídos ou alterados no SUS, após avaliação da CONITEC e decisão do secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde (RENAME, 2020).

O Brasil optou por selecionar os medicamentos não apenas para as doenças mais prevalentes, mas também contempla aqueles indicados para as doenças negligenciadas. Os critérios de seleção têm sido norteados, de maneira geral, pelas recomendações da OMS. São considerados dados consistentes e adequados de eficácia e segurança de estudos clínicos; evidência de desempenho em diferentes tipos de unidades de saúde; disponibilidade da forma farmacêutica em que a qualidade adequada, incluindo a biodisponibilidade, possa ser assegurada; estabilidade nas condições previstas de estocagem e uso; custo total de tratamento e preferência por monofármacos (PEPE, 2011).

Assim, ao realizar a ATS no Brasil, a CONITEC exerce um papel de regulador do acesso as tecnologias em saúde que serão disponibilizadas no SUS.

Considerações finais

O compromisso de fazer escolhas sobre as melhores tecnologias em saúde para uma população, aliando as necessidades e preferências dos pacientes é um desafio em qualquer sistema universal de saúde, assim a incorporação de tecnologias no SUS é um tema que mobiliza muitos interesses na sociedade e deve ter destaque na agenda dos gestores em saúde. De acordo com o guia do Ministério da Saúde, “entendendo a incorporação de tecnologias em saúde no sus” (BRASIL, 2016), é possível assumir o custo adicional de novas tecnologias levando em conta também as necessidades e perspectivas dos pacientes e isso se dá através de processos de avaliação de tecnologias transparentes e sistemáticos, nos quais todas as partes interessadas possam contribuir para a tomada de decisão. Tal processo já existe sob a forma de avaliação das tecnologias em saúde (ATS).

A ATS confere segurança na tomada de decisão pela incorporação ou não de uma tecnologia em saúde. Esses aspectos demonstram a importância de se considerar ações que busquem o fortalecimento da CONITEC.

Dentre essas iniciativas pode-se citar que a CONITEC está ligada a diversas agências e órgãos internacionais envolvidos em ações para aprimorar e difundir a Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) no Brasil e no mundo. A CONITEC apoia e é membro das seguintes iniciativas:

EUROSCAN (EuroScan international network e.V.).

GIN (Guidelines International Network).

HTAi (Health Technology Assessment International).

INAHTA (International Network of Agencies for Health Technology Assessment).

REBRATS (Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde).

RedETSA (Red de Evaluación de Tecnologías en Salud de las Américas).

No contexto brasileiro é importante destacar ainda a importância da participação social nas tomadas de decisão. Como mecanismos de envolvimento do público nas decisões de incorporação de tecnologias em saúde:

• Consultas públicas

• Audiências públicas

• Enquetes

• Participação de representantes de pacientes nas reuniões do plenário da Conitec, quando necessário

• Informação acessível e de boa qualidade.

O principal mecanismo de envolvimento do público na CONITEC são as consultas públicas realizadas para cada tema em avaliação. A Consulta Pública é um mecanismo de publicidade e transparência utilizado pela administração pública para obter informações, opiniões e críticas da sociedade a respeito de determinado tema. Esse mecanismo tem o objetivo de ampliar a discussão sobre o assunto e embasar as decisões sobre formulação e definição de políticas públicas.

Referências

ALENCAR, Tatiane de Oliveira Silva; NASCIMENTO, Maria Angela Alves do; ALENCAR, Bruno Rodrigues. **Assistência Farmacêutica no SUS: articulando sujeitos, saberes e práticas.** UEFS Editora. Feira de Santana, 2011.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM nº 3.916, de 30 de outubro de 1998. Política Nacional de Medicamentos. Brasília, DF. 1998.

BRASIL. Resolução CNS nº 338, de 06 de maio de 2004. Política Nacional de Assistência Farmacêutica. Brasília, DF. 2004. BRASIL. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm Acesso em: 21 de junho 2021.

BRASIL. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Disponível em: **http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/lei/l12401.htm Acesso em: 20/11/2020.**

BRASIL. Lei nº 10.742, de 06 de outubro de 2003. Define normas de regulação para o setor farmacêutico, cria a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED e altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e dá outras providências. Diário Oficial [da] República Federativa do Brasil, Poder Executivo, Brasília, DF, 07 out 2003a.

BRASIL. PRESIDÊNCIA DA REPÚBLICA. Decreto nº 4766, de 26 de junho de 2003. Regulamenta a criação, as competências e o funcionamento da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED. Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, 27 jun 2003b.

BRASIL. Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Brasília, DF. 2011.

BRASIL. RDC nº 16, de 02 de março de 2007. Aprova Regulamento Técnico para Medicamentos Genéricos. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2007/rdc0016_02_03_2007.html

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais Rename 2022 [recurso eletrônico] / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. – Brasília : Ministério da Saúde, 2022. 181 p. : il.

ELIAS, F.T.S. Avaliação de Tecnologias em Saúde: propósitos e desenvolvimento no mundo e no país. In: Avaliação de tecnologias de saúde & políticas informadas por evidências. / Organizadores Tereza Setsuko Toma [et al. ...] - São Paulo : Instituto de Saúde, 2017. 456p. (Temas em saúde coletiva, 22) Vários autores.

SOUZA, G.S., COSTA, E.A, BARROS, R.D., PEREIRA, M. T., BARRETO, J.L., GUERRA JÚNIOR, A.A, et al. Caracterização da institucionalização da assistência farmacêutica na atenção básica no Brasil. Rev Saúde Publica. 2017; 51 Supl 2:7s.

OLIVEIRA, M.A, BERMUDEZ, J.A.Z, OSÓRIO DE CASTRO, C.G.S. Assistência Farmacêutica e Acesso a Medicamentos. Rio de Janeiro, Editora Fiocruz; 2007. 112 p.

PEPE, V. L. E. O Formulário Terapêutico Nacional, os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: extensões da seleção de medicamentos – nota técnica. ENSP/FRIOCRUZ, Rio de Janeiro, 2011. Disponível em: Microsoft Word - NT Rename 13 03 2011 (fiocruz.br).

CAPÍTULO V

Medicamentos oncológicos no SUS

Ariane Batista Lage

Ao longo da história, o câncer vem sendo ilustrado por diversas fases e faces, caminhando desde a desinformação da população, representada pelo medo de um tumor maligno e incurável causador de uma tragédia individual; chegando ao seu atual reconhecimento como problema de saúde pública. Mas o elemento comum no curso do tempo é o incessante esforço da ciência em controlá-lo, seja pela via da prevenção, seja pela via das tecnologias para tratamento (TEIXEIRA, 2007). E assim, o conjunto de mais de 100 patologias denominado genericamente como câncer representa, atualmente, a segunda maior causa de morte no Brasil e no mundo (INCA, 2020; JENEI, *et al*., 2022; OMS, 2020).

Estas estimativas elevadas de morbidade e mortalidade podem ser explicadas pelos fenômenos demográficos e epidemiológicos de envelhecimento e crescimento populacional, somados ao aumento da prevalência de exposição a fatores de risco para neoplasias, muitos deles relacionados ao baixo desenvolvimento socioeconômico da população, especialmente nos países com baixo nível de desenvolvimento econômico ou em desenvolvimento, como o Brasil (MENDES, 2011; SUNG, *et al.*; 2021).

Deste modo, os sistemas de atenção à saúde, que respondem socialmente às necessidades de saúde dos cidadãos, são desafiados e tensionados a garantir o acesso integral aos serviços de atenção oncológica para diagnóstico e tratamento, através de políticas públicas sustentáveis e que apoiem o planejamento e a priorização de medidas de controle do câncer (MAIA, 2019). E é neste cenário que os medicamentos são parte importante e fundamental, em adição aos tratamentos primários de cirurgia e radioterapia; integrando toda e qualquer fase da cobertura ao tratamento integral ao paciente com câncer no Sistema Único de Saúde (SUS).

Entretanto, apesar dos avanços terapêuticos na área, o acesso a esta tecnologia é um desafio global, especialmente em países de baixa e média renda, nos quais se carece de infraestrutura e disponibilidade efetiva de medicamentos antineoplásicos, mesmo dos agentes citotóxicos convencionais (quimioterápicos), geralmente mais baratos; o que tem contribuído para piores desfechos de sobrevida em relação a países mais desenvolvidos (FUNDYTUS, *et al*., 2021; JENEI, *et al*., 2022).

A elevação dos preços dos medicamentos oncológicos figura como a maior barreia a ser enfrentada para ampliação deste acesso e, desde 1995, este aumento vem se expressando

cada vez mais em decorrência dos inovadores medicamentos biológicos – terapia de alvo molecular e imunoterapia, por exemplo. Este fenômeno impacta diretamente na incorporação de novas tecnologias para o tratamento antineoplásico em sistemas universais de saúde como do Brasil, prevalecendo na rede, por conseguinte, a disponibilidade de quimioterápicos tradicionais, que apresentam maior toxicidade, e, em alguns casos, menor benefício ao paciente em detrimento da terapia oncológica de precisão (LEIGHL, *et al*., 2021). Certamente, esta estrutura é capaz de favorecer desigualdades de acesso, que, no Brasil, se expressam na promoção de iniquidades dentro do sistema único, frente às diferentes possibilidades de investimento dos entes da federação (SILVA, 2018).

Como medida para minimização deste paradigma, a OMS introduziu o conceito de lista modelo de medicamentos essenciais para auxiliar países na criação de elencos que atendam às necessidades de saúde prioritárias da população. Contudo, há grande dificuldade na definição desta lista para medicamentos oncológicos, principalmente, face ao aumento do número de opções terapêuticas, o curso rápido das inovações na área e os elevados preços. Adiciona-se a isso, o crescimento de ensaios clínicos com desenhos metodológicos que lançam dúvidas quanto à eficácia e segurança estimados, devido ao uso de desfechos substitutos aos desfechos de sobrevida mais indicados, funcionado como confundidores na interpretação dos dados (FUNDYTUS, *et al*., 2021; HUTTN-POTTS; JOSHUA, 2020, JENEI, *et al*., 2022).

Para subsidiar esta seleção e tomada de decisão pelos serviços de saúde, nos últimos anos, pesquisadores e importantes associações médicas ao redor do mundo, como a Sociedade Americana de Oncologia Clínica (ASCO) e a Sociedade Europeia de Oncologia Clínica (ESMO), elaboraram ferramentas para análise de valor agregado destas terapias, comparando ao custo outros elementos como a eficácia e magnitude de demais benefícios e desfechos para o paciente. Através destas ferramentas foi possível observar em múltiplos estudos que os preços dos medicamentos antitumorais disponíveis não estão necessariamente correlacionados ao benefício clínico (FUNDYTUS, *et al*., 2021; HUTTN-POTTS; JOSHUA, 2020, JENEI, *et al*., 2022).

Em vista disso, medicamentos genéricos e biossimilares são alternativas relevantes para aumentar a competição no mercado e consequente redução de preços, sem sacrifício aos resultados terapêuticos (LEIGHL, *et al*., 2021). Por esse motivo, a atuação do Estado é fundamental, não apenas na regulação, incorporação e aquisição destes medicamentos, mas na consecução de ações e serviços de saúde, de forma articulada para prevenir, tratar e recuperar os pacientes oncológicos.

Política Nacional para Prevenção e Controle do Câncer (PNPCC)

No Brasil, ao longo dos anos, diversas ações políticas foram desenvolvidas para responder às necessidades dos pacientes com câncer. Contudo, com certas limitações, pois no país ainda se expressa a situação de tripla carga de doenças: “a agenda não concluída de casos de infecções, desnutrição e problemas de saúde reprodutiva; o desafio das doenças crônicas e de seus fatores de risco e o forte crescimento da violência e das causas externas” (UFMA/UNA-SUS, 2016). Logo, até a década de 1990, não existia uma política pública mais eficiente na prevenção, proteção e recuperação de neoplasias (SILVA, 2012).

Atualmente, busca-se alcançar este objetivo através da Política Nacional para a Prevenção e Controle do Câncer (PNPCC) na Rede de Atenção à Saúde das Pessoas com Doenças Crônicas, instituída a partir da Portaria n.° 874, de 16 de maio de 2013, compondo a Portaria de Consolidação GM/MS n.º 2, de 28 de setembro de 2017, como Anexo IX. Para tanto, traz como foco a redução da mortalidade e das incapacidades geradas pelo câncer, além da contribuição na melhora da qualidade de vida destes pacientes (BRASIL, 2013).

A conformação das neoplasias nesta política como uma doença crônica confere a estas patologias o reconhecimento como uma doença prevenível e que requer cuidado integral. Ademais, ao projetar o alcance de seus objetivos por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno e cuidados paliativos, amplia o olhar sobre o câncer ao compreende que seu cuidado deve ser prestado no âmbito Rede de Atenção à Saúde (RAS) (BRASIL, 2013; MAIA, 2019; SILVA, 2018).

Destarte, esta organização do cuidado em rede, que se estrutura segundo os princípios de regionalização e descentralização do cuidado, coloca-se como o caminho indispensável para integração dos serviços, proporcionando o uso eficiente das tecnologias em saúde em todo território nacional ao promover maior interação entre os diferentes níveis de atenção. De modo que aumenta a resolutividade dos problemas de saúde da população, reduzindo os custos e sistematizando adequadamente o processo de referência e contrarreferência (MENDES, 2011; SILVA, 2018).

Apesar disso, em realidade não se pode ignorar que ainda se privilegia a descentralização no desenho organizativo do SUS, sem efetiva integração regional, o que resulta na fragmentação dos serviços, concentração geoeconômica e vazios assistenciais no território brasileiro (LANDIM; GUIMARÃES; PEREIRA, 2019). Os serviços especializados, em regra, não são oferecidos em municípios do interior do estado, representando, na realidade, um nível de saúde fisicamente centralizado (FINGER; LIMBERGER, 2019).

Na estrutura da rede de eixo temático do câncer, ~~c~~abem aos pontos de atenção secundários e terciários (ambulatórios e hospitais) as ações e serviços especializados ou de maior nível de complexidade (média e alta). Os serviços habilitados do componente de atenção especializada em oncologia estão organizados, essencialmente, em Centro de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACON), Unidade de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON). Além deles, somam-se os complexos hospitalares de serviço de radioterapia e hospitais gerais com cirurgia de câncer (BRASIL, 2013).

São habilitados como Unidade de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON), os estabelecimentos hospitalares que possuam condições técnicas, estrutura física, equipamentos e recursos humanos adequados à prestação de assistência especializada de alta complexidade para o diagnóstico definitivo e tratamento para os cânceres mais prevalentes no Brasil; oferecendo, minimamente, os tratamentos de cirurgia e quimioterapia. Já o estabelecimento hospitalar credenciado como Centro de Alta Complexidade em Oncologia (CACON) deve atender aos requisitos e condições já estabelecidos para uma UNACON, com a diferença de que deve atender a todos os tipos de câncer, incluindo, obrigatoriamente, tratamento de cirurgia, de radioterapia e de quimioterapia dentro de sua estrutura hospitalar, em nível ambulatorial e de internação (BRASIL, 2013; BRASIL, 2014a).

Por fim, somam-se a esta política outros instrumentos legais que regulamentam pontos importantes na atenção oncológica, como o prazo de até 60 dias a partir da data de definição do diagnóstico para início do tratamento, definido pela Lei n° 12.732, de 22 novembro de 2012 (BRASIL, 2012). Percebe-se, portanto, o esforço pela detecção precoce e o tratamento tempestivo, que são elementares para um bom prognóstico. Este prazo em outros países, contudo, é de 30 dias, como ocorre no Canadá, e é provável que o tempo estabelecido no Brasil seja um resultado do equilíbrio entre o tempo que o paciente pode esperar sem ser prejudicado e a capacidade financeira e técnica do sistema de saúde (FINGER; LIMBERGER, 2019). Bem como a Lei nº. 14.238, de 19 de novembro de 2021 e a Lei nº. 14.308, de 8 de março de 2022, que preenchem lacunas importantes no arcabouço regulatório ao instituir, respectivamente, o estatuto da pessoa com câncer e a Política Nacional de Atenção à Oncologia Pediátrica (BRASIL, 2021a; BRASIL, 2022a).

Tratamento Oncológico

O termo neoplasia (neo = novo; plasia = tecido) é usado para designar uma proliferação celular não controlada, que pode ser tanto benigna quanto maligna, de acordo

com o comportamento biológico de tais lesões. No caso dos tumores malignos, somam-se às características de crescimento, o risco de invasão local, destruição de órgãos vizinhos, e disseminação regional ou sistêmica (INCA, 2020).

A classificação ou estadiamento da evolução das neoplasias malignas segue o padrão da União Internacional Contra o Câncer (UICC), que se baseia em três elementos: tamanho do tumor (representado pela letra T, e envolve as subcategorias T1 a T4), extensão de sua disseminação para linfonodos regionais (N, subcategorias N0 a N3) e presença, ou não, de metástase à distância (M, subcategorias M0 a M1); no chamado Sistema TNM de Classificação de Tumores Malignos. A combinação destas diferentes subcategorias determina o estádio clínico da neoplasia, que varia de I (invasão local inicial) a IV (tumor localmente avançado ou presença de metástases) (BRASIL, 2022b; INCA, 2020).

Complementarmente ao estadiamento clínico, pode haver o estadiamento patológico baseado nos achados cirúrgicos e exame anatomopatológico de peça operatória, que determina a extensão da doença com maior precisão. Não é aplicável para todos os tumores, mas em alguns casos é o único estadiamento possível. A partir destes estadiamentos, define-se o melhor tratamento e a, consequente, perspectiva de sobrevida do doente (BRASIL, 2022b; INCA, 2020).

Para tanto, há três modalidades mais comuns de tratamento do câncer: cirurgia, radioterapia e quimioterapia; e elas, usualmente, são usadas em conjunto, salvo poucas exceções (ARRUEBO; *et al.*, 2011). O tratamento medicamentoso sistêmico oral ou venoso é genericamente designado pelo termo quimioterapia, mas envolve tanto a quimioterapia propriamente dita, quanto a hormonioterapia, terapia alvo-molecular (anticorpos monoclonais, por exemplo) e imunoterapia, que diferem entre si nos aspectos de tipo de molécula, especificidade/seletividade e, consequentemente, toxicidade; sendo as quimioterapias tradicionais, de maneira geral, as mais tóxicas (INCA, 2020).

Este tratamento quimioterápico, outrossim, de acordo com a finalidade, pode ser classificado em quimioterapia: prévia, neoadjuvante ou citorredutora; adjuvante ou profilática; paliativa; para controle temporário de doença; ou curativa. O primeiro caso é indicado para redução do tamanho de tumores loco-regionalmente avançados (geralmente estádios II ou III) não passíveis de abordagem cirúrgica. Já a quimioterapia adjuvante é indicada a pacientes após cirurgia com alto risco de recidiva, mesmo sem evidência de doença maligna detectável. Ademais, a quimioterapia paliativa é indicada em situações de incurabilidade do tumor (estádio IV, doença recidivada ou metastática), tendo, por isso, a finalidade de controle de sinais e sintomas que comprometem a capacidade funcional do

doente, sem repercutir, necessariamente, em sobrevida. A quimioterapia para controle temporário da doença, por sua vez, assemelha-se à paliativa no aspecto de incurabilidade, contudo, pode gerar aumento da sobrevida global do indivíduo em tratamento. Por fim, a quimioterapia curativa objetiva controle definitivo doença (BRASIL, 2022b; INCA, 2020).

Estes medicamentos são geralmente combinados em protocolos/esquemas terapêuticos de poliquimioterapia, compostos por uma dose-padrão (regularmente calculada por superfície corpórea, em função de peso e altura), número de ciclos (repetições) e intervalo (tempo entre ciclos que, correntemente, são dados em semanas ou múltiplos de 7 dias). O tratamento inicial é chamado de primeira linha e é aquele que trará melhores resultados e menos eventos adversos ao paciente. Em situações de falha, inefetividade terapêutica ou toxicidade limitante, é substituído pelas linhas subsequentes (segunda, terceira linha, etc.) (INCA, 2020).

Em conclusão, os desfechos ou resultados destes tratamentos são, frequentemente, representados em termos de sobrevida: sobrevida global (tempo entre diagnóstico ou início do tratamento e óbito), sobrevida livre de progressão (período após tratamento de doença avançada, em que o tumor permanece estável/sem progressão) e sobrevida livre de doença (período após um tratamento adjuvante ou curativo em que não se detecta sinais e sintomas da doença) (VAZ-CARNEIRO, 2014).

Medicamentos no contexto oncológico

Desde 1998, tendo em vista a complexidade e diversidade de esquemas terapêuticos disponíveis para tratamento antineoplásico, os medicamentos oncológicos deixaram de integrar os Componentes da Assistência Farmacêutica; e seu financiamento passou a ser através do bloco da Assistência à Saúde de Média e Alta Complexidade (MAC) (SILVA, 2018). Com esta mudança, o ressarcimento passou a ser por meio dos procedimentos quimioterápicos no subsistema APAC (autorização de procedimentos de alta complexidade), do Sistema de Informações Ambulatoriais do SUS (SIA-SUS) e estes medicamentos deixaram de compor a Rename. Destarte, passaram a ser ressarcidos pelo Ministério da Saúde (MS) conforme o código do procedimento registrado na APAC, ficando a cargo da respectiva Secretaria de Saúde gestora o repasse do recurso aos estabelecimentos de saúde (BRASIL, 2022b; PONTAROLLI; MORETONI; ROSSIGNOLI, 2015).

Essa modalidade de financiamento – com foco no paciente e não no medicamento – tem uma lógica diferente dos demais tratamentos oferecidos pelo SUS (INCA, 2009). Nela, inexiste uma relação de medicamentos antineoplásicos do SUS, pois a tabela de

procedimentos quimioterápicos de APAC não lista os medicamentos oncológicos, mas os atributos e regras às situações tumorais específicas (tipo de câncer, estadiamento, linha de tratamento e finalidade terapêutica) que orientam esta codificação, estipulando valores e prazo de cobertura de tratamento para cada procedimento, independentemente de qual esquema terapêutico seja adotado (BRASIL, 2022b; SILVA, 2018).

Via de regra, cabe ao corpo clínico e aos estabelecimentos de saúde credenciados ao SUS a padronização, aquisição, prescrição e fornecimento destes antineoplásico aos seus pacientes (BRASIL, 2022a). Para tanto, os protocolos institucionais são ferramentas fundamentais na tomada de decisão e construção do plano terapêutico dos pacientes. Eles devem ser, desta forma, elaborados com base nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e Diretrizes Diagnósticas e Terapêuticas do Ministério da Saúde (DDT) publicados pelo MS, e, em caso destes não estarem disponíveis, devem estabelecer as suas condutas e protocolos a partir de recomendações baseadas nas práticas reconhecidas pela Saúde Baseada em Evidências e na Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS), considerando-se as repercussões técnicas, econômicas e sociais, com ênfase aos aspectos de eficácia, eficiência, efetividade e custo-efetividade (BRASIL, 2014b).

Argumenta-se que um dos objetivos para esta mudança para o sistema de APAC foi garantir o fornecimento imediato destes medicamentos ao paciente, de forma que os ciclos dos protocolos de quimioterapia seguissem os intervalos predeterminados, sem interrupções e consequentes prejuízos ao resultado terapêutico esperado. Ao mesmo tempo, as características peculiares da quimioterapia de doses variadas em função do peso e altura, em esquemas de poliquimioterapia também justificam esta alteração de financiamento (INCA, 2009).

O valor do procedimento pago através da APAC cobre, além dos medicamentos oncológicos, a consulta médica, os medicamentos de suporte à quimioterapia (antieméticos, corticosteroides, anti-histamínicos e outros), as soluções em geral (solução glicosada ou fisiológica, eletrólitos e outros), os materiais e insumos (equipos, luvas, escalpes, máscaras, dispositivos de segurança, aventais e outros), os impressos, o uso dos equipamentos (como a cabine de segurança biológica) e os serviços de limpeza e manutenção (BRASIL, 2021b). Contudo o valor da APAC não contempla a cobertura de medicamentos necessários para controle de doenças, sinais e sintomas posteriores à quimioterapia, nem de tratamento de cuidados paliativos, e alguns deles, ficam, desta forma, negligenciados, pois também não são financiáveis pelos blocos da Assistência Farmacêutica (SILVA, 2018).

A partir disso, gestores de serviço de saúde trazem críticas à política oncológica, alegando a existência de APACs deficitárias e que, por isso, falta dinheiro para tratamento de

alguns diagnósticos ou estádios da doença. Este fato pode ser explicado pela ausência de dados disponíveis sobre as referências para a definição dos valores das APACs e inexistência de estudos que correlacionem o custo dos diversos procedimentos, nas diversas doenças e situações clínicas oncohematológicas (D'AMICO, 2004).

Em novembro de 2022, de acordo com o Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS (SIGTAP), os valores dos procedimentos para câncer de mama variavam entre R$ 79,75, para a 1.ª linha de hormonioterapia do carcinoma avançado, e R$ 2.378,90, para a 2.ª linha de quimioterapia para o carcinoma de mama avançado. Considerando a quantidade de itens financiados pelo valor do procedimento, é possível compreender a preocupação dos gestores (SILVA, 2012).

Por outro lado, o MS tem constantemente reiterado em suas manifestações que estes valores expressam um valor pago e não um custo, pois "além do ressarcimento direto pela prestação dos serviços, outras benesses são concedidas tantos aos estabelecimentos públicos quanto às entidades filantrópicas" (SILVA, 2018).

A falta de padronização de protocolos utilizados entre diferentes serviços e ausência de dados para avaliação dos medicamentos utilizados para cada código de procedimento levou à publicação da Portaria SAES nº. 2, de 3 de janeiro de 2022, que incluiu o campo "Medicamentos Antineoplásicos Informados" na tela de dados complementares de quimioterapia da Autorização de Procedimentos Ambulatoriais (APAC) (BRASIL, 2022c). Com essa medida se facilitará, também, o processo de auditoria clínica e administrativa dos órgãos de controle, e ainda o monitoramento do uso das tecnologias incorporadas no SUS e dos desfechos de efetividade e segurança do tratamento de pacientes com câncer (SILVA; BERGMANN, 2022).

São exceções a esta regra de tabela de procedimentos alguns medicamentos para os quais o Ministério da Saúde, por meio do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos (DAF), assumiu a aquisição centralizada, para corrigir desvios de codificação, reduzir o custo dos tratamentos e, principalmente, aumentar o acesso da população ao tratamento. Com isso, eles passaram a compor o Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf), para neoplasias malignas com protocolos e diretrizes publicados e que devem ser observados obrigatoriamente. São eles: Talidomida, Trastuzumabe, Pertuzumabe, Mesilato de Imatinibe, Dasatinibe, Cloridrato de Nilotinibe e Rituximabe (BRASIL, 2022b).

Para estes medicamentos, os pacientes devem atender aos requisitos definidos no PCDT para que tenham o seu fornecimento autorizado, o que implica em situações de

indicações terapêuticas não cobertas para um medicamento incorporado no SUS (CERVI; *et al.*, 2020).

Há ocorrência, contudo, de irregularidade de fornecimento ou desabastecimento destes medicamentos, por falhas no fluxo (processo de liberação), ou pelo longo período da programação para o Ministério da Saúde (geralmente trimestral), que, consequentemente, pode gerar demora na inclusão de novos pacientes, acarretando em atraso do início do tratamento (SILVA; OSORIO-DE-CASTRO, 2019).

Reflexão sobre a Judicialização em Oncologia

Medicamentos oncológicos despontam dentro das demandas judiciais em saúde, em grande parte como resultado de dificuldades no acesso, de vazios sanitários e de desatualização das tecnologias disponíveis. Ademais, a desarticulação entre os modelos de assistência farmacêutica e oncológica se mostra como outro aspecto gerador deste contexto (VIDAL; *et al.*, 2017).

Os valores remuneratórios fixados pela União para as APACs representam em muitas CACONs e UNACONs “teto de gastos” por paciente oncológico, e esta insuficiência de repasse federal para a assistência oncológica termina por alimentar também os números de judicialização (NOGUEIRA, 2019). O congelamento desta tabela, com valores incompatíveis com o custo real dos medicamentos traz dificuldades financeiras permanentes, que particularmente dificultam a incorporação de novas tecnologias.

Para além disso, o rápido curso das inovações vêm gerando importante pressão para ações judiciais e um impacto orçamentário importante na Administração Pública para cumprimento de decisões proferidas nas ações de oncologia, adensadas pela lacuna atual de parâmetros claros e objetivos da terapêutica, uma vez há PCDT e DDT apenas para algumas neoplasias malignas e este último não traz obrigatoriedade de seguimento das diretrizes pelo prestador (BRASIL, 2014b; SILVA, 2012).

Essa realidade impõe ônus aos destinatários (paciente e serviço de saúde), impactando nos custos e impondo aos gestores dos sistemas públicos de saúde a tomada de decisão acerca dos limites financeiros. Todavia, a simples alegação de escassez de recursos pelos entes públicos não justifica a omissão estatal para garantia dos direitos fundamentais. A administração pública, neste cenário, falha na comprovação devida do argumento de reserva do possível, pela ausência de um acompanhamento sistematizado dos custos das ações de

saúde, disponibilizando para o Poder Judiciário e para a sociedade dados concretos das possíveis consequências delas para o SUS como um todo (SILVA, 2012).

As frequentes situações de evidências científicas com ganhos mínimos em sobrevida, em detrimento de custos elevados ao sistema, que impactam indiretamente na cobertura deste direito a outros usuários do SUS, requerem no juízo de ponderação maior aprofundamento acerca dos bens e interesses contrapostos. Para tanto, a análise mais objetiva destas demandas, frente à sua complexidade e às controvérsias dos elementos técnicos prescinde de uma instrução probatória mais aprofundada para se conciliar a dimensão subjetiva com a dimensão objetiva do direito à saúde (SILVA, 2012).

O apoio de critérios apontados como fundamentais para a análise e tomada de decisão no fornecimento de medicamentos via ação judicial deve ser considerado: análise técnica; identificação de registro de medicamentos, com sua respectiva indicação, na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa); recomendações de diretrizes clínicas; disponibilidade/incorporação do medicamento pelo sistema de saúde; identificação do medicamento em lista de medicamentos essenciais (VIDAL; *et al.*, 2017).

Estes mesmos critérios são norteadores para as ações necessárias para o fortalecimento de mecanismos institucionais para organização da disponibilidade destes tratamentos no SUS, como a criação de lista de medicamentos essenciais oncológicos e os protocolos do SUS e implementação de uma política sustentável de incorporação de medicamentos para se alcançar os objetivos traçados na PNPCC.

Referências

ARRUEBO, M.; *et al.* Assessment of the Evolution of Cancer Treatment Therapies. **Cancers**, v. 3, n. 3, 12 ao. 2011, p. 3279 – 3330. Disponível em: https://www.mdpi.com/2072-6694/3/3/3279/htm. Acesso em: 10 nov. 2022.

BRASIL. Lei n º 14.238, de 19 de novembro de 2021. Institui o Estatuto da Pessoa com Câncer; e dá outras providências. Brasília, DF: **Diário Oficial da União,** 19 nov. 2021a. Disponível em: https://in.gov.br/en/web/dou/-/lei-n-14.238-de-19-de-novembro-de-2021-360895776. Acesso em: 10 nov. 2022.

BRASIL. Lei n º 14.308, de 8 de março de 2022. Institui a Política Nacional de Atenção à Oncologia Pediátrica. Brasília, DF: **Diário Oficial da União,** 8 mar. 2022a. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2022/lei/L14308.htm. Acesso em: 10 nov. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. INCA - Instituto Nacional de Câncer José Alencar Gomes da Silva. **ABC do câncer : abordagens básicas para o controle do câncer**. Rio de Janeiro: INCA, 2020, 112p. Disponível em:

https://www.inca.gov.br/sites/ufu.sti.inca.local/files//media/document/livro_abc_6ed_0.pdf. Acesso em: 01 ago. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 874, de 16 de maio de 2013. Institui a Política Nacional para a Prevenção e Controle do Câncer na Rede de Atenção à Saúde das Pessoas com Doenças Crônicas no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 02 abr. 2013. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt0874_16_05_2013.html. Acesso em: 20 ago. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria SAES/MS nº 470, de 22 de abril de 2021. Mantém procedimentos e atualiza normas de autorização, registro e controle de procedimentos de quimioterapia e de radioterapia da Tabela de Procedimentos, Medicamentos, Órteses, Próteses e Materiais Especiais do SUS. **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 27 abr. 2021b. Disponível em: https://brasilsus.com.br/wp-content/uploads/2021/04/portaria470.pdf. Acesso em: 13. Set. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria SAS/MS nº 2, de 3 de janeiro de 2022. Inclui o campo "Medicamentos Antineoplásicos Informados" na tela de dados complementares de quimioterapia da Autorização de Procedimentos Ambulatoriais (APAC), para seleção dos medicamentos antineoplásicos utilizados no tratamento de pacientes com câncer. **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 4 jan. 2022c.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Oncologia. **Manual de Bases Técnicas** – SAI/SUS – Sistema de Informações Ambulatoriais. 30. ed. Ministério da Saúde, ago. 2022b. Disponível em: https://www.inca.gov.br/sites/ufu.sti.inca.local/files//media/document//manual_oncologia_30a_edicao_agosto_2022_25_08_2022_-_26-08-2022.pdf. Acesso em: 10 nov. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Portaria nº 140, de 27 de fevereiro de 2014. Redefine os critérios e parâmetros para organização, planejamento, monitoramento, controle e avaliação dos estabelecimentos de saúde habilitados na atenção especializada em oncologia e define as condições estruturais, de funcionamento e de recursos humanos para a habilitação destes estabelecimentos no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Brasília, DF: **Diário Oficial da União**, 17 maio 2014a. Disponível em: https://brasilsus.com.br/wp-content/uploads/2021/04/portaria470.pdf. Acesso em: 13. Set. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. **Protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas em Oncologia**. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2014b. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/protocolos_clinicos_diretrizes_terapeuticas_oncologia.pdf. Acesso em: 12 nov. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. **Da excepcionalidade às linhas de cuidado: o Componente Especializado da Assistência Farmacêutica**. Brasília: Ministério da Saúde, 2010. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/excepcionalidade_linhas_cuidado_ceaf.pdf. Acesso em: 10 nov. 2022.

CERVI, S. M.; *et al.* Perfil da Judicialização de Medicamentos Antineoplásicos do Serviço de Oncologia do Hospital Escola da Universidade Federal de Pelotas. **Revista Contexto & Saúde**, v. 20, n. 40, jul-dez. 2022, p. 212 -225. Disponível em: https://www.revistas.unijui.edu.br/index.php/contextoesaude/article/view/10209#:~:text=Os%20medicamentos%20mais%20demandados%20judicialmente,renal%20os%20acometimentos%20mais%20prevalentes. Acesso em: 10 nov. 2022.

D'AMICO, M. A. **Custo do tratamento quimioterápico e valor repassado pelo sistema APAC em um hospital da rede pública de saúde de Porto Alegre**. 2004. Trabalho de Conclusão de Curso (Especialização em Gestão em Saúde) – Universidade Federal do Rio Grande do Sul, Programa de Pós Graduação em Administração, Porto Alegre, 2004. Disponível em: https://lume.ufrgs.br/handle/10183/12364. Acesso em: 13 set. 2022.

FINGER, B. A.; LIMBERGER, T. Aces ao tratamento oncológico no SUS: a responsabilidade civil do Estado pela perda da chance de cura ou de sobrevida das pacientes com câncer de mama. **R. Dir. Gar. Fund.**: Vitória, v. 20, n. 1, jan./abr. 2019, p. 155-190. Disponível em: file:///C:/Users/Ariane%20Lage/Documents/Mestrado/Cap%C3%ADtulo%20do%20livro%20-%20Medicamentos%20oncol%C3%B3gicos%20no%20SUS/Refer%C3%AAncia/1082-Texto%20do%20artigo-5024-1-10-20190809.pdf. Acesso em: 10 nov.2022.

FUNDYTUS, A., *et al.* Access to cancer medicines deemed essential by oncologists in 82 countries: an international, cross-sectional survey. **The Lancet**, v. 22, out. 2021. Disponível em: < https://www.thelancet.com/action/showPdf?pii=S1470-2045%2821%2900463-0> Aceso em: 03 ago. 2022.

INCA - INSTITUTO NACIONAL DE CÂNCER JOSÉ ALENCAR GOMES DA SILVA. **Estimativa 2020 : incidência de câncer no Brasil**. INCA, 2019. Disponível em: https://www.inca.gov.br/sites/ufu.sti.inca.local/files//media/document//estimativa-2020-incidencia-de-cancer-no-brasil.pdf. Acesso em: 01 ago. 2022.

INSTITUTO NACIONAL DO CÂNCER (INCA). **Oncologia no SUS: os caminhos do financiamento.** Rede Câncer, Rio de Janeiro, n. 9, nov. 2009. Disponível em: https://www.inca.gov.br/sites/ufu.sti.inca.local/files//media/document//rede-cancer-ed09-politica.pdf. Acesso em: 22 out. 2022.

JENEI, K., *et al.* Cancer medicines on the WHO Model List of Essential Medicines: processes, challenges, and a way forward. **The Lancet**, 29 set. 2022. Disponível em: https://www.thelancet.com/journals/langlo/article/PIIS2214-109X(22)00376-X/fulltext. Aceso em: 07 nov. 2022.

LANDIM, E. L. A. S; GUIMARÃES, M. C. L.; PEREIRA, A. P. C. M. Rede de Atenção à Saúde: integração sistêmica sob a perspectiva da macrogestão. **Saúde em Debate**, Rio de Janeiro, v. 43, n. spe5, 2019, p. 161-173. Disponível em: https://www.scielo.br/j/sdeb/a/MPk6F9RKZ4LFbdjPCn3BVqn/?lang=pt . Acesso em: 14 nov. 2022.

LEIGHL, N. B., NIRMALAKUMAR, S., EZEIFE, D. A., GYAWALI, B. An Arm and a Leg: The Rising Cost of Cancer Drugs and Impact on Access. **American Society of Clinical Oncology Educational Book 41**, 6 maio 2021, p. 1-12. Disponível em: https://ascopubs.org/doi/pdf/10.1200/EDBK_100028?role=tab. Acesso em: 03 ago. 2022.

MAIA, F. O. Serviços assistenciais ao paciente oncológico no âmbito do sistema único de Saúde – SUS. **Revista de Extensão da UNIVASF**: Petrolina, v. 7, n. 1, 2019, p. 86-107. Disponível em: https://www.periodicos.univasf.edu.br/index.php/extramuros/article/view/941. Acesso em: 15 out. 2022.

MENDES, A. C. G. *et al*. Assistência pública de saúde no contexto da transição demográfica brasileira: exigências atuais e futuras. **Cad Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v. 28, n. 5, p. 955-964, may 2012. Disponível em: https://www.scielo.br/j/csp/a/YqW3NNYWrvMFWfVkSfmLgpj/?lang=pt&format=pdf. Acesso em: 6 set. 2022.

MENDES, E. V. As redes de atenção à saúde. Brasília: **Organização Pan-Americana de Saúde**, 2011. Disponível em: https://www.paho.org/bra/dmdocuments/Redes_Atencao_Saude_Eugenio_2ed.PDF. Acesso em: 6 set. 2022.

NOGUEIRA, M. C. O Tema 793 do STF e o direcionamento do cumprimento das prestações na área de saúde conforme as regras de repartição de competências estabelecidas no SUS. Brasília: **Cad. Ibero-amer. Dir. Sanit.**, v. 8, n. 4, out.- dez. 2019. Disponível em: https://www.cadernos.prodisa.fiocruz.br/index.php/cadernos/article/view/558. Acesso em 10 nov. 2022.

OMS – ORGANIZAÇÃO MUNDIAL DE SAÚDE. IARC - INTERNATIONAL AGENCY FOR RESEARCH ON CANCER. **IARC Biennial Report 2020–2021**. IARC, 2020. Disponível em: https://publications.iarc.fr/607. Acesso em: 01 ago. 2022.

PONTAROLLI, D. R. S., MORETONI, C. B., ROSSIGNOLI, P. **A organização da Assistência Farmacêutica no Sistema Único de Saúde**. *In* CONASS - CONSELHO NACIONAL DE SECRETÁRIOS DE SAÚDE. Direito à saúde – Para entender a gestão do SUS. CONASS, 2015. Disponível em: https://www.conass.org.br/biblioteca/pdf/colecao2015/CONASS-DIREITO_A_SAUDE-ART_3B.pdf. Acesso em: 6 set. 2022.

SILVA, F. L. **O direito à saúde e a política nacional de atenção oncológica**. 2012. Dissertação (Mestrado em Direito) – Universidade Federal do Rio Grande do Norte, Natal, 2012. Disponível em: https://repositorio.ufrn.br/jspui/handle/123456789/13941. Acesso em: 5 out. 2022.

SILVA, M. J. S. **Atenção oncológica e assistência farmacêutica no Sistema Único de Saúde**. 2018. Tese (Doutorado em Saúde Pública) – Fundação Oswaldo Cruz, Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca, Rio de Janeiro, 2018. Disponível em: https://www.arca.fiocruz.br/handle/icict/48847. Acesso em: 5 out. 2022.

SILVA, M. J. S.; BERGMANN, A. Novos Rumos da Política de Controle do Câncer no Brasil. Editorial. Rio de Janeiro: INCA, **Revista Brasileira de Cancerologia (RBC),** 2022. Disponível em: https://rbc.inca.gov.br/index.php/revista/article/view/2668/1608. Acesso em: 6 set. 2022.

SILVA, M. J. S.; OSORIO-DE-CASTRO, C. G. S. Organização e práticas da assistência farmacêutica em oncologia no âmbito do Sistema Único de Saúde. **Interface**, v. 23, 2019.

Disponível em: https://www.scielo.br/j/icse/a/F9mpmDmffkbmPftCQdz4nTM/?lang=pt. Acesso em: 20 Ago. 2022.

SUNG, H., FERLAY, J., SIEGEL, R., *et al.* Global cancer statistics 2020: GLOBOCAN estimates of incidence and mortality worldwide for 36 cancers in 185 countries. **CA Cancer J Clin**, v. 71, n. 3, maio-jun. 2021. Disponível em: https://acsjournals.onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.3322/caac.21660. Acesso em: 01 ago. 2022.

TEIXEIRA, L. A. (coord.). **De Doença desconhecida a problema de saúde pública: o INCA e o controle do Câncer no Brasil.** Rio de Janeiro: Ministério da Saúde, 2007. 172 p. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/doenca_desconhecida_saude_publica.pdf. Acesso em: 01 ago. 2022.

UNA-SUS/UFMA - UNIVERSIDADE FEDERAL DO MARANHÃO. **Redes de Atenção à Saúde: a atenção à saúde organizada em rede.** São Luís, MA: EDUFMA, 2016. Disponível em: https://ares.unasus.gov.br/acervo/bitstream/ARES/7563/1/Redes%20de%20aten%C3%A7%C3%A3o%20%C3%A0%20sa%C3%BAde%20-%20A%20aten%C3%A7%C3%A3o%20%C3%A0%20sa%C3%BAde%20organizada%20em%20redes.pdf. Acesso em: 6 set. 2022.

VAZ-CARNEIRO, A.; *et al.* Indicadores (Outcomes) Primários e Secundários em Ensaios Clínicos Oncológicos: Definição e Usos. **Acta Med Port**, v. 21, n. 4, jul.-ago. 2014, p. 498-502. Disponível em: https://www.actamedicaportuguesa.com/revista/index.php/amp/article/view/5286/4025. Acesso em: 10 nov. 2022.

VIDAL, T. J.; *et al.* Demandas judiciais por medicamentos antineoplásicos: a ponta de um iceberg? **Ciênc. saúde colet.**, v. 22, n. 8, ago. 2017. Disponível em: https://www.scielo.br/j/csc/a/6JtXgc6w4TTg57ZCGptCLCS/abstract/?lang=pt. Acesso em: 14 nov. 2022.

CAPÍTULO VI

Sangue e hemoderivados: o que os operadores do Direito precisam saber

Mariluce Karla Bomfim de Souza
Marinho Marques da Silva Neto

Introdução

O sangue, componentes e hemoderivados constituem-se como "produtos e subprodutos originados do sangue humano venoso, placentário ou de cordão umbilical" (BRASIL, 2001), sendo indicados como recurso terapêutico para doenças diversas e, portanto, constituindo essencialidade ao funcionamento dos sistemas e serviços de saúde (SOUZA, 2020). Conceitualmente, hemocomponentes e hemoderivados são produtos distintos. Os produtos obtidos individualmente por meio físico (centrifugação) a partir do sangue total doado são denominados hemocomponentes (exemplo: concentrado de hemácias, concentrado de plaquetas, plasma fresco congelado e crioprecipitado). Os produtos obtidos em escala industrial (processo físico-químico) a partir do plasma são denominados hemoderivados (albumina, imunoglobulinas e fatores de coagulação) (BRASIL, 2015).

A obtenção dos hemocomponentes pode ser realizada a partir da doação de sangue total (mais comum) e através de um procedimento mais complexo denominado aférese. Neste último, o doador é conectado a uma máquina que retira o sangue, separa o(s) componente(s) desejado(s) e o que não será aproveitado, retorna para o doador (BRASIL, 2015).

A Organização Mundial de Saúde inclui os produtos sanguíneos (sangue, componentes sanguíneos ou hemocomponentes - concentrado de hemácias, concentrado de plaquetas, plasma fresco e sangue total - e derivados de plasma ou hemoderivados - imunoglobulinas e fatores de coagulação) e substitutos do plasma de origem humana (dextrano 70) na lista de Medicamentos Essenciais[6], com publicação atualizada a cada dois anos (em 2017 foi

[6] A primeira publicação da lista de medicamentos pela OMS foi em 1977 (https://pt.wikipedia.org/wiki/Lista_de_Medicamentos_Essenciais_da_Organiza%C3%A7%C3%A3o_Mundial_de_Sa%C3%BAde, acesso em 15.07.22). No Brasil, a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF), conforme Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 338/2004, ressalta a utilização da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename), que deve ser atualizada periodicamente (BRASIL, 2004), a qual cumpre papel estratégico nessa política ter potencial racionalizador para a organização e a disposição das ações nessa área. O Decreto nº 7.508/2011, que regulamenta a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, dispõe que "a Rename compreende a seleção e a padronização de medicamentos indicados para atendimento de doenças ou de agravos no âmbito do SUS", com publicação revisada/atualizada a cada dois anos (BRASIL, 2011).

publicada a 20ª edição), assim, constam nesta os medicamentos considerados mais eficazes e seguros para responder às necessidades do sistema de saúde.

Tais recursos ou produtos constituem objeto de política pública nacional apresentada na Lei 10.205 de 21 de março de 2001 (conhecida como "Lei do Sangue") que regulamenta o § 4º do art. 199 da Constituição Federal, relativo à coleta, processamento, estocagem, distribuição e aplicação do sangue, seus componentes e derivados, estabelece o ordenamento institucional indispensável à execução adequada dessas atividades, e dá outras providências. Nesta, apresenta:

> I - sangue: a quantidade total de tecido obtido na doação; II - componentes: os produtos oriundos do sangue total ou do plasma, obtidos por meio de processamento físico; III - hemoderivados: os produtos oriundos do sangue total ou do plasma, obtidos por meio de processamento físico-químico ou biotecnológico (BRASIL, 2001).

Nos termos desta política pública, deve ser garantida autossuficiência do país, de modo que sua implementação deve ocorrer com harmonização das ações nos níveis de governo, cuja constituição do sistema de sangue deve incluir “organismos operacionais de captação e obtenção de doação, coleta, processamento, controle e garantia de qualidade, estocagem, distribuição e transfusão de sangue, seus componentes e hemoderivados; e, centros de produção de hemoderivados e de quaisquer produtos industrializados a partir do sangue venoso e placentário, ou outros obtidos por novas tecnologias, indicados para o diagnóstico, prevenção e tratamento de doenças” (BRASIL, 2001).

Importante destacar que a obtenção do sangue e hemocomponentes e a produção dos hemoderivados devem ser realizadas pelos organismos ou serviços que compõem as hemorredes estaduais (com diferentes níveis de complexidade e respectivas competências, conforme a Resolução de Diretoria Colegiada - RDC nº 151 - Anvisa, 2001) e devem ter o apoio das equipes das vigilâncias sanitária e epidemiológica para o controle da qualidade (BRASIL, 2001).

Diante da importância de tais recursos para o sistema de saúde e para a saúde da população no país, cabe considerar os aspectos que constituem seu processo de obtenção e produção, com observância às diretrizes, recomendações e atos normativos que regulam tal processo. Nesse sentido, o interesse sobre o tema inclui os gestores, profissionais de saúde, sociedade civil, pacientes e também operadores do Direito.

Especificamente, este capítulo tem por objetivo apresentar aspectos a serem observados pelos operadores do Direito, sobre Sangue, Hemocomponentes e Hemoderivados enquanto objeto de política pública de saúde e elementos da lista de medicamentos essenciais para assistência à saúde da população.

Prática hemoterápica

As práticas que circunscrevem desde a obtenção até a pós-transfusão são aquelas denominadas práticas hemoterápicas, que envolvem o "ciclo do sangue". Há que se distinguir o denominado "ciclo do paciente" ao qual estão relacionadas as práticas hematológicas, do diagnóstico ao tratamento e acompanhamento do paciente com alguma doença hematológica e que utiliza, em geral, dos produtos ou recursos do sangue ou derivados deste.

Considerando o foco deste capítulo, destaca-se a compreensão sobre as atividades hemoterápicas conforme legislação específica. Tomando por base cada atividade, há que destacar aspectos a serem conhecidos e observados pelos operadores do Direito:

a) Captação e triagem

De acordo com o regulamento técnico de procedimentos hemoterápicos, "a manutenção de toda a cadeia produtiva do sangue depende dos valores voluntários e altruístas da sociedade para o ato da doação" (BRASIL, 2017). Nesse sentido, tais valores devem orientar o processo de captação de doadores de sangue pelos serviços. Não se considera como comercialização a cobrança de valores referentes a insumos, materiais, exames sorológicos, imunohematológicos e demais exames laboratoriais definidos pela legislação competente, realizados para a seleção do sangue, componentes ou derivados, bem como honorários por serviços médicos prestados na assistência aos pacientes e aos doadores (BRASIL, 2001).

O primeiro "banco de sangue" público foi criado na cidade de Porto Alegre, em 1941 (BRASIL, 2022) e o primeiro banco de coleta de sangue inaugurado no Rio de Janeiro, no Instituto Fernandes Figueira, data de 1942, com o intuito de obtenção de sangue para este serviço e também para enviar bolsas de sangue aos hospitais das frentes de batalha (JUNQUEIRA, ROSENBLIT, HAMERSCHLAK, 2005). Entretanto, os serviços de hemoterapia mostraram avanços no que se refere à captação de doadores, quando aliados a novas tecnologias, pesquisas e campanhas (SANTOS, 2002; GUERRA, 2005 *apud* DUPILAR et al, 2018).

Sobre a captação e a triagem de doadores, voluntários e não pagos, desde 1988, quando publicada a Lei 7.649 já definia o cadastramento dos doadores de sangue e a realização de testes para doenças como Hepatites B, Malária, Doença de Chagas e AIDS (BRASIL, 1988). Na sequência, vários atos normativos foram publicados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e Ministério da Saúde (MS), entre os anos de 2004 e 2013, os quais definiram os critérios para recrutamento de doadores (estabelecimento de idade mínima - 16 anos segundo a Portaria 1.353/2011; e idade máxima - 69 anos, 11 meses e 29 dias pela Portaria 2.712/2013). Portanto, as alterações das legislações brasileiras relacionadas à hemoterapia promoveram, ao longo dos anos, adaptações nas metodologias para o recrutamento de doadores de sangue (DUPILAR et al, 2018).

Em 2014, a Portaria da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) n° 2.265/2014 (BRASIL, 2014) torna pública a decisão de incorporar o procedimento do teste de ácido nucleico (NAT), em amostras de sangue do doador, o que permitiu uma redução do período denominado "janela imunológica" - período que o doador já está infectado, mas os exames disponíveis ainda não são capazes de detectar a infecção, aumentando assim a segurança transfusional. Ao longo da última década, as arboviroses, epidemias e mais recentemente a pandemia pela Covid-19[7] exigiram posicionamento dos órgãos regulatórios sobre os critérios para orientar a doação de sangue a fim de manter a segurança do sangue e no ato da doação.

Todo serviço de hemoterapia que realiza coleta de sangue deve aplicar um plano ou programa de captação de doadores que deve contribuir para que a população seja sensibilizada sobre a importância da doação e possa mobilizar e/ou fidelizar doadores. Segundo Teixeira (2015, p. 9) “a tarefa de captar doadores de sangue requer técnicas que venham proporcionar conhecimento, entendimento dos aspectos sociais, econômicos, culturais e políticos que envolvem e influenciam a doação”. Portanto, a captação bem sucedida resulta de ações, estratégias, projetos e programas educativos, além do planejamento, monitoramento e avaliação das ações considerando as condições, o contexto e as possibilidades da sociedade envolvida (SANDRIN et al, 2015).

---

[7] Nota Técnica (NT) nº. 13/2020-CGSH/DAET/SAES/MS: atualiza critérios técnicos para triagem clínica dos candidatos à doação de sangue relacionados ao risco de infecção pelo SARS-CoV-2; NT nº. 21/2020-CGSH/DAET/SAES/MS: sobre coleta e transfusão de plasma de convalescentes para uso experimental no tratamento de pacientes com Covid-19; NT nº. 12/2021/SEI/GSTCO/DIRE1/ANVISA: sobre inaptidão temporária para os candidatos que foram vacinados contra Covid-19; NT nº. 4/2022-CGSH/DAET/SAES/MS: atualiza os critérios técnicos contidos na NT 13.

Entretanto, estudo desenvolvido no Brasil e Espanha evidenciou dentre as dificuldades e desafios experimentados pelos serviços de hemoterapia públicos, recrutar e fidelizar doadores, sobretudo jovens, assegurar o uso racional e lidar com patologias emergentes decorrentes do processo de migração e globalização (SOUZA, SANTORO, 2019).

b) Coleta e identificação do doador

Para o registro dos doadores de sangue, anterior a coleta, devem ser informados nome, sexo, data de nascimento, filiação, número e órgão expedidor do documento de identificação, nacionalidade, naturalidade e ocupação habitual. O sigilo dessas informações, ou qualquer uma prestada pelo doador antes, durante e depois do processo de doação de sangue deve ser absolutamente preservado, respeitadas outras determinações que podem constar na legislação vigente (BRASIL, 2017).

O candidato à doação deve ter todas as suas dúvidas esclarecidas e deve consentir a coleta e doação através de termo de consentimento livre e esclarecido, no qual declara expressamente consentir, dentre outras informações, “em doar o seu sangue para utilização em qualquer paciente que dele necessite ou, quando não utilizado para transfusão, possa ser utilizado para a produção de reagentes e hemoderivados” (BRASIL, 2017). A idade para doação no Brasil é a partir de 16 anos (os menores de 18 com consentimento formal escrito de um responsável legal) até 69 anos.

São considerados doadores aptos aqueles “cujos dados pessoais, condições clínicas, laboratoriais e epidemiológicas se encontram em conformidade com os critérios de aceitação vigentes para doação de sangue”. Para o doador inapto, pode ser definitivo (nunca poderá doar sangue para outra pessoa, podendo, em alguns casos, realizar doação autóloga), por tempo indeterminado (impedido de doar sangue para outra pessoa por um período indefinido de tempo segundo as normas regulatórias vigentes, mas apto a realizar doação autóloga) ou temporário (impedido de doar sangue para outra pessoa por determinado período de tempo, podendo realizar doação autóloga quando possível e necessário) (BRASIL, 2017).

Em julho de 2020, a Anvisa publicou a RDC nº 399/2020, que altera a resolução nº 34/2014, no que revoga sobre a inaptidão para doação de sangue por “homens que tiveram relações sexuais com outros homens e/ou as parceiras sexuais destes nos 12 meses antecedentes” (ANVISA, 2020). Tal mudança foi provocada por Ação Direta de Inconstitucionalidade - ADI 5543 que contestou dispositivos da RDC nº 34/2014, que dispõe sobre as boas práticas sanitárias no ciclo do sangue no país, e da Portaria nº 158/2016 do

Ministério da Saúde, que tratava, à época, do regulamento técnico de procedimentos hemoterápicos.

Para os casos de doadores inaptos, segundo orienta a portaria, cabe ao serviço o aconselhamento e encaminhamento do doador inapto para reabilitação ou promoção de suporte clínico, terapêutico e laboratorial necessário ao seu bem-estar físico e emocional (BRASIL, 2017). Importante destacar, nesse sentido, a articulação do serviço de hemoterapia e sua integração na rede de atenção à saúde no SUS.

c) Controle de qualidade no processamento, estocagem e distribuição

Desde a coleta até a distribuição devem ser providos “ambiente e equipamentos adequados segundo as boas práticas de produção e/ou manipulação”. Obriga-se ao serviço de hemoterapia práticas de segurança e minimização/redução de riscos, o que alcança os receptores, doadores e trabalhadores (BRASIL, 2017).

Portanto, procedimentos operacionais, incluindo as medidas de biossegurança, devem ter respaldo técnico e por programa de garantia de qualidade. Obrigatoriamente, os produtos obtidos através de doação devem ser submetidos a testes imunohematológicos (tipagem ABO/Rh, pesquisa de anticorpos irregulares) e sorológicos (pesquisa de infecção por HIV, HTLV, Hepatites B e C, Chagas, Sífilis e, se em zona endêmica, também malária), antes da liberação para uso (BRASIL, 2017). Conforme legislação vigente, os testes sorológicos realizados em banco de sangue não têm finalidade diagnóstica, pois apresentam alta sensibilidade, havendo possibilidade de ocorrer resultados falso positivos, que devem ser confirmados ou não por testes adicionais, preferencialmente envolvendo outras metodologias distintas das anteriormente realizadas (BRASIL, 2017).

d) Transfusão, pós transfusão e reações transfusionais

A transfusão de sangue deve atender às necessidades de saúde do paciente, levando-se em conta a administração segura, em quantidade e tempo adequados, devendo-se considerar que este procedimento envolve algum risco, os quais referem-se aos incidentes e/ou às reações transfusionais que podem ocorrer enquanto efeitos ou respostas indesejáveis, durante ou após a transfusão (MATTIA; ANDRADE, 2016; BRASIL, 2017). As transfusões devem ser prescritas por médicos, levando-se em consideração aspectos clínicos e/ou laboratoriais, baseados em evidências científicas, nunca devendo ser prescritas mediante bases empíricas ou

somente pela experiência do médico prescritor. É recomendável que o paciente ou seu responsável legal assine um Termo de Consentimento Livre e Esclarecido para ciência e autorização do procedimento transfusional (BRASIL, 2015).

A vigilância dos recursos - sangue e hemocomponentes, objeto deste capítulo, é feita pela hemovigilância, para a qual estão o Sistema Nacional de Notificações para Vigilância Sanitária (NOTIVISA) e o Sistema de Notificação e Investigação da Vigilância Sanitária (VIGIPÓS), para receber notificações de incidentes, eventos adversos ou de queixas técnicas a fim de apoiar a vigilância pós uso/comercialização de produtos de saúde. Nesse sentido, destaca-se a possibilidade e importância da notificação de ocorrências de reações transfusionais (FERNANDES, 2017).

Cabe ao serviço de hemoterapia, informar e esclarecer ao candidato, sobre os possíveis efeitos adversos da doação e orientações de como proceder na hipótese de ocorrência dos mesmos (BRASIL, 2017).

e) Finalidade terapêutica e de pesquisa

Os recursos, objeto deste capítulo, têm finalidade terapêutica e de pesquisa. No que tange a sua finalidade terapêutica, o acesso é um dos aspectos a ser observado. Sobre isso, a Lei nº 12.401/2011, estabelece que o acesso aos medicamentos se dá “com base nas relações de medicamentos instituídas pelo gestor federal do SUS, observadas as competências estabelecidas nesta lei” (BRASIL, 2011a); e, em resolução que direciona a composição da relação de medicamentos de acordo com as responsabilidades de financiamento entre os entes federativos, destaca o potencial de promoção do uso racional, e com transparência nas informações sobre o acesso (CIT nº 1, de 17 de janeiro de 2012), desafiando os gestores do SUS diante das necessidades de saúde da população e incorporação tecnológica (RENAME, 2020)[8].

Diante do consentimento expresso e assinado em termo pelo candidato à doação, este declara doar seu sangue para utilização em qualquer paciente que dele necessite. Para os casos de pesquisa, a legislação informa “a utilização de qualquer material proveniente da doação de sangue para pesquisas somente será permitida segundo as normas que regulamentam a ética em pesquisa no Brasil” (BRASIL, 2017).

[8] https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_medicamentos_rename_2020.pdf

Destaca-se, também, que todo serviço de saúde que potencialmente possa necessitar realizar transfusão, deve ter um contrato escrito firmado com algum serviço de hemoterapia (BRASIL, 2017).

f) Proteção específica ao doador, receptor e profissionais envolvidos

Sobre os critérios de aceitação e diante da necessária proteção dos doadores, devem ser adotadas medidas e critérios que levem em conta, frequência de doações, idade para doação, massa corpórea, aferição de sinais vitais, níveis de exames de sangue, histórico e antecedentes do doador, uso de medicamentos, dentre outros (BRASIL, 2017).

Os órgãos e entidades que executem atividades hemoterápicas observarão ainda, os requisitos sanitários para funcionamento de serviços de hemoterapia definidos pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

Processo de qualidade na produção e circulação de hemoderivados

O padrão de qualidade dos produtos industrializados constitui preocupação no mundo moderno, sendo esta afirmação apropriada para os hemoderivados (PROIETTI, CIOFFI, 2009). A inovação com incorporação de técnicas para detecção de ameaças à segurança e qualidade dos produtos, desde a obtenção até a disposição destes, constitui prioridade.

No Brasil, há que aumentar a produção industrial e os esforços de inovação em saúde. Tomando como exemplo os medicamentos estratégicos e de alto custo, estratégias como as parcerias para o desenvolvimento produtivo (PDP) têm sido utilizadas no âmbito da produção aliada à política de acesso a medicamentos de qualidade. Ademais, a utilização do poder de compra do Estado, por meio de PDP, tem se constituído como iniciativa para internalização de etapas produtivas com esforços inovativos (GADELHA, MALDONADO, COSTA, 2014).

O número de doadores de sangue com resultado sobre a taxa de doação, sob o rigor da triagem clínica e sorológica, assim como, a melhoria do atendimento aos pacientes hemofílicos nos países em desenvolvimento, levam a maior demanda do produto, com consequente aumento do seu custo, o que tem dificultado as compras nacionais. Com tais dificuldades que interferem no acesso e continuidade dos tratamentos, os pacientes buscam o apoio dos canais legais pertinentes, que, muitas vezes, por ignorarem as instâncias de

responsabilidade na aquisição dos produtos, pressionam as instituições e os profissionais que estão na linha de frente (PROIETTI, CIOFFI, 2009).

Proietti e Cioffi (2009) destacam a dependência externa e a necessidade por investimentos, não só para a produção de produtos plasmáticos, através da indústria brasileira de hemoderivados - a Hemobrás[9], mas também buscando desenvolver a tecnologia recombinante, através de investimentos em centros avançados de pesquisa no país. Assim, recomenda-se estimular a inovação pela indústria brasileira a fim de incorporar novos produtos à lista de medicamentos ofertados aos pacientes que deles necessitem, destacando-se o fortalecimento do setor de pesquisa e desenvolvimento (P&D). Cumpre destacar que os hemoderivados que compõem o Programa Nacional de Coagulopatias Hereditárias são adquiridos de forma centralizada pelo Ministério da Saúde e distribuídos a todos os hemocentros do país para que sejam utilizados nos pacientes com as referidas coagulopatias.

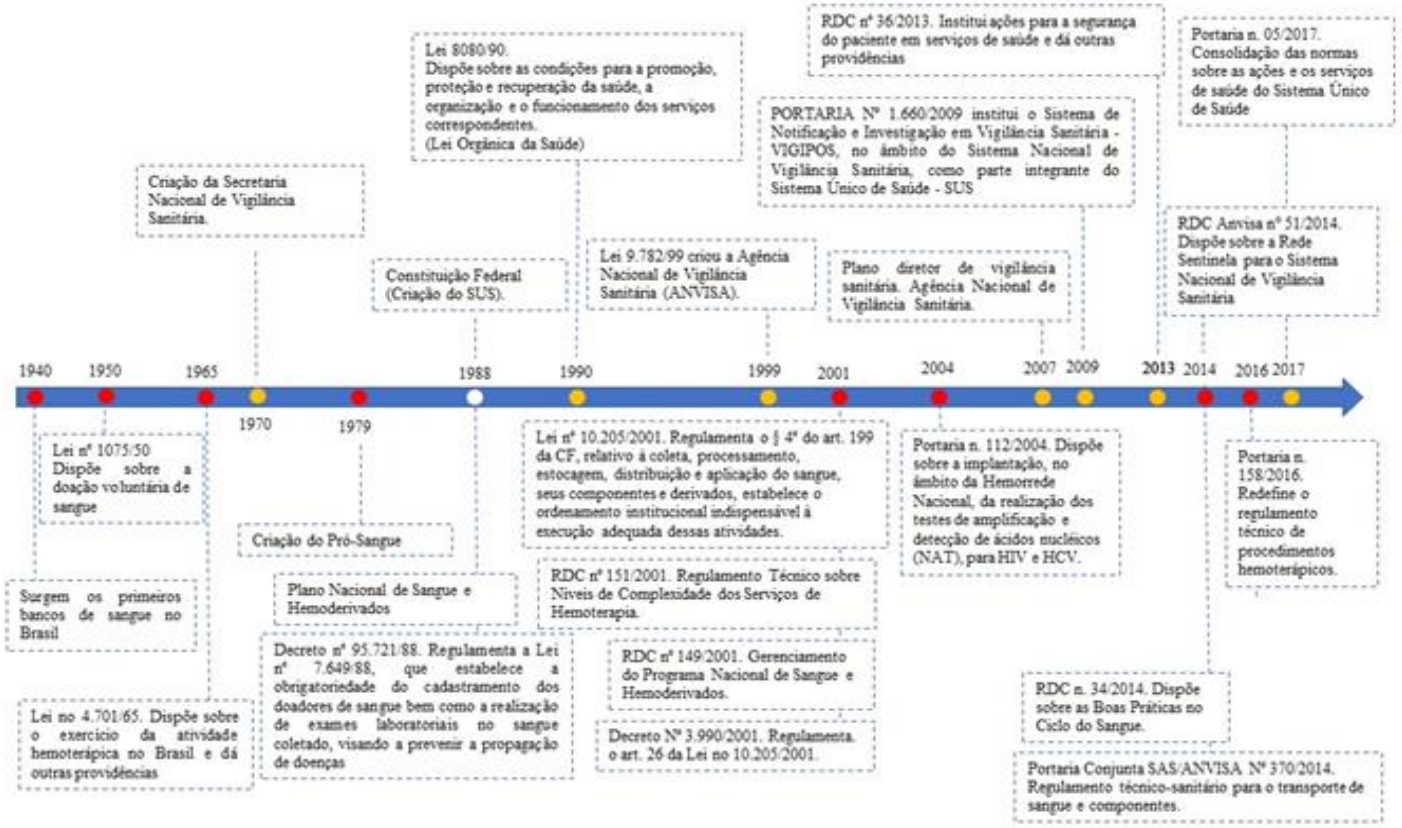
Recentemente, a Anvisa autorizou produtos como globulina, imunoglobulina e fatores VIII e IX, no que se espera aumento progressivo na disponibilidade dos produtos, em especial do Fator VIII. Cumpre destacar a função do Instituto Nacional de Controle de Qualidade em Saúde (INCQS) e da Anvisa no controle de qualidade e na autorização da produção, circulação e uso de hemoderivados, com monitoramento dos processos.

Retrospecto breve de atos normativos relacionados ao sangue, hemocomponentes e hemoderivados no Brasil

Antes de concluir o capítulo, há que resgatar a produção normativa e diretiva que orientou e segue como referência às práticas hemoterápicas, tendo em vista a segurança do sangue e o desafio para a autossuficiência de tais recursos no país.

[9]A Lei nº 10.972/2004 autoriza o Poder Executivo a criar a empresa pública denominada Empresa Brasileira de Hemoderivados e Biotecnologia - Hemobrás, a qual tem por função social "garantir aos pacientes do Sistema Único de Saúde - SUS o fornecimento de medicamentos hemoderivados ou produzidos por biotecnologia" (BRASIL, 2004).

Figura 1: Linha do tempo sobre o desenvolvimento de diretrizes e normativas voltadas para a implantação e desenvolvimento da Política do Sangue no Brasil.



Fonte: Cavalcante, 2021, p. 16.

A figura 1 evidencia sobre o desenvolvimento da hemoterapia no Brasil, desde o surgimento dos primeiros bancos de coleta de sangue no país, na década de 40, a publicação da lei sobre doação voluntária, entretanto, há um silenciamento de regulamentações técnicas até o ano de 64. Em 1965, uma lei dispõe sobre o exercício da atividade hemoterápica e institui as bases legais da Política Nacional do Sangue (organização do sistema e serviços, proteção ao doador e receptor e atividades concernentes à produção de hemoderivados). Em 1979, é criado o Programa Nacional do Sangue e Hemoderivados (Pró-Sangue). Até aqui ainda não era possível a identificação de uma estrutura no sistema de serviços de hemoterapia (MELO, 2015; MELO, EVANGELISTA, 2018).

De fato, o ano de 1988, após um início de década marcado por questões relacionadas fortemente às questões de segurança, pelo medo e risco de contaminação pelo Vírus da Imunodeficiência Adquirida (HIV - sigla em inglês), trouxe desdobramentos ao campo. A Lei nº 7.649/88 regulamentada por Decreto nº. 95.721/1988 que estabeleceu obrigatoriedade do cadastramento dos doadores e realização de exames para prevenir a propagação de doenças; e, a Constituição Federal Cidadã, promulgada no mesmo ano, em que consta sobre o sangue, componentes e hemoderivados e estabelece a proibição da remuneração por doações de sangue que passa a ser exclusivamente voluntária.

Com a regulamentação do posto na Constituição, a partir de 2001, a legislação dispõe sobre ordenamento institucional para a execução adequada das atividades de coleta à distribuição e aplicação de sangue e seus componentes e derivados. Portanto, definidas as diretrizes da Política Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados e o Sistema Nacional de Sangue, Componentes e Derivados como o responsável pela implementação da política no SUS, observa-se uma publicação contínua de resoluções e portarias que atualizam sobre procedimentos e práticas observadas às necessidades de segurança e qualidade pertinentes ao campo, além das tecnologias desenvolvidas e que devem ser avaliadas para sua incorporação. Em 2017, uma portaria de consolidação reúne em único documento a regulamentação técnica para procedimentos hemoterápicos no país, que cabe ser observada e tomada como objeto para análise e direcionamento de ações por diversos atores - gestores, profissionais, operadores do Direito.

Referências

ANVISA. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Resolução RDC nº 151 de 21 de agosto de 2001**. Aprova o Regulamento Técnico sobre Níveis de Complexidade dos Serviços de Hemoterapia. Ministério da Saúde. Brasília, DF, 2001. Disponível em: http://www.saude.mt.gov.br/hemocentro/arquivo/1345/ legislacao. Acesso em: 20 jun. 2022.

BRASIL. Lei n. 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 19 set. 1990a. Seção 5. p. 1-5. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm. Acesso em: 15 jun. 2022.

BRASIL. Lei n. 10.205, de 21 de março de 2001. Regulamenta o § 4° do art. 199 da Constituição Federal, relativo à coleta, processamento, estocagem, distribuição e aplicação do sangue, seus componentes e derivados, estabelece o ordenamento institucional indispensável à execução adequada dessas atividades, e dá outras providências. **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 22 mar. 2001a. Seção 1. p. 1. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/leis_2001/l10205.htm. Acesso em: 20 jul. 2022.

BRASIL. **Decreto nº 3.990 de 30 de outubro de 2001.** Regulamenta o art. 26 da lei nº 10.205 de 21 de março de 2001, que dispõe sobre a coleta, processamento, estocagem, distribuição e aplicação do sangue, seus componentes e derivados, e estabelece o ordenamento institucional indispensável à execução adequada dessas atividades. Disponível em: https://legislacao.presidencia.gov.br/atos/?tipo=DEC&numero=3990&ano=2001&ato=d84QTSE1ENNpWT666. Acesso em: 17 jul. 2022.

BRASIL. **Decreto nº 7.508 de 28 de junho de 2011**. Regulamenta a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a organização do Sistema Único de Saúde - SUS, o planejamento da saúde, a assistência à saúde e a articulação interfederativa, e dá outras providências. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/decreto/d7508.htm. Acesso em: 18 jul. 2022.

BRASIL. **Lei Nº 10.972, de 2 de dezembro de 2004**. Autoriza o Poder Executivo a criar a empresa pública denominada Empresa Brasileira de Hemoderivados e Biotecnologia - HEMOBRÁS e dá outras providências. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2004-2006/2004/lei/l10.972.htm#:~:text=LEI%20N%C2%BA%2010.972%2C%20DE%202%20DE%20DEZEMBRO%20DE%202004.&text=Autoriza%20o%20Poder%20Executivo%20a,HEMOBR%C3%81S%20e%20d%C3%A1%20outras%20provid%C3%AAncias. Acesso em: 20 jul. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Biblioteca Virtual em Saúde**. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/25-11-dia-nacional-do-doador-voluntario-de-sangue-2/. Acesso em: 20 jul. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Departamento de Atenção Especializada e Temática. **Guia para o uso de hemocomponentes**. 2ª. ed., 1ª. reimpr. Brasília: Ministério da Saúde, 2015.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. **Relação Nacional de Medicamentos Essenciais**: Rename 2020 [recurso eletrônico]. Brasília: Ministério da Saúde, 2020. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_medicamentos_rename_2020.pdf. Acesso em: 15 jul. 2022.

BRASIL. **Portaria de Consolidação nº. 05, de 28 de setembro de 2017, anexo IV**. Do sangue, componentes e derivados (origem: PRT MS/GM 158/2016). Disponível em: http://www.hemosul.ms.gov.br/wp-content/uploads/2019/03/PORTARIA-DE-CONSOLIDA%C3%87%C3%83O-N%C2%BA-5-DE-28-DE-SETEMBRO-DE-2017-Procedimentos-hemoter%C3%A1picos-COMPILADA.pdf. Acesso em: 10 jul. 2022.

CAVALCANTE, L. L. R. **Controle Sanitário em Serviços Hemoterápicos**: limites e potencialidades. Trabalho de Conclusão de Curso (Curso de Especialização em Saúde Coletiva sob forma de Residência na área de Planejamento e Gestão em Saúde). Orientadora: Profa. Dra. Mariluce Karla Bomfim de Souza. Instituto de Saúde Coletiva. Universidade Federal da Bahia, Salvador, 2021, 47 p. No prelo.

DUPILAR, T. C.; FONSECA, S. L.; COSTA, D. C.; et al. Captação de doadores de sangue: da era científica mundial à era da informação digital. **Serv. Soc. e Saúde** [Internet].2018[citado 2022 jun. 12];17(1):95-126. Disponível em: https://periodicos.sbu.unicamp.br/ojs/index.php/sss/article/view/8655204

FERNANDES, M. F. A. **Avaliação da implantação do sistema de hemovigilância no Estado de São Paulo**. Tese (Doutorado) Instituto de Medicina Tropical de São Paulo, Universidade de São Paulo, São Paulo, 2017. Disponível em: http://www.teses.usp.br/teses/disponiveis/99/99131/tde-06092017-095855/pt-br.php. Acesso em: 01 jun. 2022.

GADELHA, C.; MALDONADO, J.M.S.V.; COSTA, L.S. Complexo produtivo da saúde: inovação, desenvolvimento e Estado. In.: PAIM, J.S.; ALMEIDA-FILHO, N. (orgs.). **Saúde Coletiva**: Teoria e Prática, 2014. Cap 12, p. 173-183.

JUNQUEIRA, P. C.; ROSENBLIT, J.; HAMERSCHLAK, N. História da Hemoterapia no Brasil. **Revista Brasileira de Hematologia e Hemoterapia**, v. 27, n. 3, p. 201-207, São José do Rio Preto, 2005. Disponível em: https://www.scielo.br/j/rbhh/a/KPf53b35B5jDZqSkmtJKkZj/?lang=pt. Acesso em: 03 jul. 2022.

MATTIA, D.; ANDRADE, S. R. Cuidados de enfermagem na transfusão de sangue: um instrumento para monitorização do paciente. **Texto Contexto Enferm**, 2016; 25(2):e2600015. Disponível em: https://www.scielo.br/j/tce/a/pDt9MgrD4SczNMRGNmzVyBt/?lang=pt&format=pdf. Acesso em: 20 jun. 2022.

ORGANIZAÇÃO MUNDIAL DE SAÚDE. **Lista de Medicamentos Essenciais da Organização Mundial de Saúde**. Disponível em: https://pt.wikipedia.org/wiki/Lista_de_Medicamentos_Essenciais_da_Organiza%C3%A7%C3%A3o_Mundial_de_Sa%C3%BAde, acesso em: 15 jul. 2022.

PROIETTI, A. B. F. C.; CIOFFI, J. G. M. Controle e produção de hemoderivados indústria nacional e inovação**. Rev. Bras. Hematol. Hemoter.** 31 (4), Ago 2009. Disponível em: https://doi.org/10.1590/S1516-84842009000400005

SANDRIN, R.; RODRIGUES, R.; GOMES, J.; MEIRELLES, M. C. L. S. Estratégias educativas para a promoção da doação voluntária de sangue In: BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Departamento de Atenção Especializada e Temática. **Manual de orientações para promoção da doação voluntária de sangue**. 1. ed., 1. reimpr. Brasília: Ministério da Saúde, 2015. Cap. 4, p. 49-68. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/manual_orientacoes_promocao_doacao_voluntaria_sangue.pdf. Acesso em: 01 ago. 2022.

SOUZA, M. K. B. de. Sangue como recurso terapêutico essencial aos sistemas de saúde e a pandemia pela COVID-19. In: BARRETO, M. L.; PINTO JUNIOR, E. P.; ARAGÃO, E.; BARRAL-NETTO, M. (org.). **Construção de conhecimento no curso da pandemia de COVID-19**: aspectos biomédicos, clínico-assistenciais, epidemiológicos e sociais. Salvador: Edufba, 2020. v. 2. DOI: https://doi.org/10.9771/9786556300757.015

SOUZA, M. K. B.; SANTORO DOMINGO, P. Donación de sangre y medicina transfusional en la prensa española Blood Donation and Transfusion Medicine in the Spanish Press. **Revista Española de Comunicación en Salud**, Madrid, v. 11, n. 1, p. 9-19, 2020. Disponível em: https://doi.org/10.20318/recs.2020.4717. Acesso em: 21 jul. 2022.

TEIXEIRA, R. A. O. Contextualização da captação de doadores na hemoterapia brasileira. In: BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Departamento de Atenção Especializada e Temática. **Manual de orientações para promoção da doação voluntária de sangue**. 1. ed., 1. reimpr. Brasília: Ministério da Saúde, 2015. Cap. 1, p. 7-19. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/manual_orientacoes_promocao_doacao_voluntaria_sangue.pdf. Acesso em: 01 ago. 2022.

5. CONSIDERAÇÕES FINAIS

Este trabalho é fruto do amadurecimento profissional e dos caminhos escolhidos ao longo da minha trajetória como farmacêutica. Sempre envolvida com a área de medicamentos, especialmente os medicamentos excepcionais, o campo do direito à saúde e das políticas públicas que envolvem o acesso a medicamentos, guiou a construção deste estudo. Com propósito de analisar os trâmites da incorporação de medicamentos realizada pela CONITEC desde a sua criação em 2012, buscou-se realizar um recorte voltado para doenças raras, onde selecionou-se o caso da incorporação de Nusinersena ao SUS.

O artigo 1 debruçou-se sobre a participação social no SUS, representada no estudo pela análise das consultas públicas realizadas em 2018 e 2019 relativas a proposta de incorporação de Nusinersena ao SUS. Utilizando-se uma triangulação de métodos e técnicas de análise textual, os *corpora* textuais relativos aos relatórios das consultas foram submetidos à análise textual lexicográfica com o auxílio do software IRaMuTeQ (*Interface de R pour Analyses Multidimensionnelles de Textes et de Questionneires*).

A análise das consultas públicas como uma forma de avaliar a participação social no SUS e como um instrumento de modificar a efetivação de uma política pública no caso concreto analisado a disponibilização de tratamento para uma doença rara que é a AME, identificando os atores sociais envolvidos, suas contribuições, disputas, interesses identificados e posicionamentos nas consultas.

Além disso, ao utilizarmos um software para realizar uma análise qualitativa buscamos reforçar que o uso dessas ferramentas pode fornecer apoio para qualificar as representações sociais que realizam contribuições para a ATS. O uso do IRaMuTeQ permitiu a realização de análises mais ágeis e profundamente argumentativas em cada categoria analisada.

A partir dos achados encontrados, observou-se que há um crescimento da mobilização da sociedade no que tange a participação em consultas públicas. Pode-se sugerir que há um movimento da indústria que atua nesta mobilização, sendo esta utilizada como estratégia para pressionar o sistema de saúde a incorporar novas tecnologias.

No caso do Nusinersena, além da grande repercussão social demonstrada pela expressiva participação nas consultas, observou-se um intenso movimento político que foi abordado neste trabalho no artigo 2, onde as tramas do movimento político para a incorporação do medicamento foram desenhadas a partir do modelo de coalizões de defesa.

No artigo 2 desenhou-se a arquitetura do medicamento, analisado como objeto simbólico, mas também como mercadoria. A CONITEC foi analisada enquanto subsistema de

acordo com os critérios de Sabatier (1988), e pode-se verificar a movimentação dos atores que atuaram na formação das coalizões nos dois momentos em que o Nusinersena esteve sob a avaliação na CONITEC.

Observou-se uma disputa entre o movimento técnico-científico que estava respaldado nas evidências disponíveis e uma contraposição de forças políticas que tratavam o medicamento como única esperança de melhoria na qualidade de vida dos pacientes com AME.

Apesar dos achados relevantes encontrados nesta análise, deve considerar que há espaço para um maior aprofundamento dos movimentos que envolvem a avaliação de tecnologias em saúde, especialmente àquelas voltadas para doenças raras, uma vez que estes tratamentos tendem a gerar impactos socioeconômicos de grande importância.

A aplicação de questionários e a realização de entrevistas com os atores envolvidos poderia contribuir para realização deste aprofundamento, entretanto não foi possível realizá-las nesta análise.

Finalmente, considerou-se que há um amplo campo de pesquisa para a realização de estudos de natureza qualitativa com o propósito de realizar a análise política em saúde, voltada para as políticas de acesso a medicamentos no SUS.

6. REFERÊNCIAS

ALENCAR, Tatiane de Oliveira Silva; NASCIMENTO, Maria Angela Alves do; ALENCAR, Bruno Rodrigues. **Assistência Farmacêutica no SUS: articulando sujeitos, saberes e práticas.** UEFS Editora. Feira de Santana, 2011.

ALENCAR, TOS. Notas sobre definições de fato social, histórico e político: subsídios para análise política em saúde. Observatório de Análise Política em Saúde. 2016 set 17. [acesso em 2021 out 25]. Disponível em: http://www.analisepoliticaemsaude.org/oaps/documentos/pensamentos/147428574757dfd0b3e7102/

ALVARES, J. et al. Acesso aos medicamentos pelos usuários da atenção primária no Sistema Único de Saúde. Rev. Saúde Pública, São Paulo , v. 51, supl. 2, 20s, 2017 .Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S003489102017000300318&lng=en&nrm=iso>. Acesso em 14 Mai. 2021. http://dx.doi.org/10.11606/s1518-8787.2017051007139.

ANVISA. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Registro sanitário MS nº 1.6993.0008 para o medicamento Spinraza ™. Diário Oficial de União n° 165 em 28/08/2017, Resolução-RE n° 2300 de 25/08/2017.

BRASIL. Lei nº 5.991, de 17 de janeiro de 1973. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l5991.html. Acesso em: 15/06/2021.

BRASIL. Constituição da República do Brasil. Brasília, DF: Senado, 1988.

BRASIL. Ministério da Saúde. Saúde de A a Z. Doenças raras. Disponível em: https://antigo.saude.gov.br/saude-de-a-z/doencas-raras Acesso: 23/06/2021.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM nº 3.916, de 30 de outubro de 1998. Política Nacional de Medicamentos. Brasília, DF. 1998.

BRASIL. Resolução CNS nº 338, de 06 de maio de 2004. Política Nacional de Assistência Farmacêutica. Brasília, DF. 2004.

BRASIL. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm Acesso em: 21 de junho 2021.

BRASIL. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/lei/l12401.htm Acesso em: 20/11/2020.

BRASIL. Lei nº 10.742, de 06 de outubro de 2003. Define normas de regulação para o setor farmacêutico, cria a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED e altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e dá outras providências. Diário Oficial [da] República Federativa do Brasil, Poder Executivo, Brasília, DF, 07 out 2003a.

BRASIL. PRESIDÊNCIA DA REPÚBLICA. Decreto nº 4766, de 26 de junho de 2003. Regulamenta a criação, as competências e o funcionamento da Câmara de Regulação do

Mercado de Medicamentos - CMED. Diário Oficial da União, Poder Executivo, Brasília, 27 jun 2003b.

BRASIL. Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Brasília, DF. 2011.

BRASIL. RDC nº 16, de 02 de março de 2007. Aprova Regulamento Técnico para Medicamentos Genéricos. p.3 Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2007/rdc0016_02_03_2007.html

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM nº199 de 30 de janeiro de 2014. Institui a política nacional de atenção integral às pessoas com doenças raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. Brasília, 2014.

BRASIL. Portaria conjunta nº03, de 18 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201_PORTAL_Portaria_Conjunta_3_PCDT_AME_5q_Tipos_IeII.pdf Acesso em: 30/07/2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais Rename 2022 [recurso eletrônico] / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. – Brasília : Ministério da Saúde, 2022. 181 p. : il. Modo de acesso: World Wide Web: http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2022.pdf

CERQUEIRA, K. C.: Coalizões de defesa para uma nova política de desenvolvimento / Kleber Chagas Cerqueira. -- Brasília: Enap, 2020. 55 p. : il. -- (Cadernos Enap, 67)

COSTA, E.A., SOUZA, G.S., ARAÚJO, P.S., ALENCAR, T.O.S., BARROS, R.D., SOUZA, M.K.B., and LIMA, Y.O.R. Medicamento, assistência farmacêutica e vigilância sanitária na atenção integral à saúde. In: TEIXEIRA, C.F., comp. Observatório de análise política em saúde: abordagens, objetos e investigações [online]. Salvador: EDUFBA, 2016, pp. 369-396. ISBN 978-85-232-2021-1

DEUBEL, ANR. Políticas Públicas: formulación, implementación y evaluación. Bogotá: Ediciones Aurora; 2002.

DYE, T. R. (2010). Mapeamento dos modelos de análise de políticas públicas. In: HEIDMANN, Francisco G.; SALM, José Francisco (Orgs). *Políticas Públicas e desenvolvimento: bases epistemológicas e modelos de análise*. Brasília: Editora Universidade de Brasília, 2010, 340p.

GIOVANELLA, L. Planejamento estratégico em saúde: uma discussão da abordagem de Mário Testa. Cadernos de Saúde Pública [online]. 1990, v. 6, n. 2 [Acessado 7 Dezembro 2021] , pp. 129-153. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0102-311X1990000200003>. Epub 13 Jul 2005. ISSN 1678-4464. https://doi.org/10.1590/S0102-311X1990000200003.

GIOVANNI, G. A questão dos remédios no Brasil: produção e consumo. São Paulo.Polis. 1980.

GOLDENBERG, Mirian. A arte de pesquisar: Como fazer pesquisa qualitativa em Ciências Sociais. Rio de Janeiro / São Paulo: Record, 2004.

MARQUES E. As políticas públicas na Ciência Política. In: MARQUES E, FARIA CAP. A política pública como campo multidisciplinar. São Paulo: Editora Unesp; Rio de Janeiro: Editora Fiocruz; 2013. p. 23-47.

PAIM, J.S. Políticas de Saúde no Brasil. In: ROUQUAYROL, M.Z.; ALMEIDA-FILHO, N. **Epidemiologia e Saúde.** 6ª edição. Rio de Janeiro: Medsi, 2003, p. 587-603.

PAIM, J.S.; TEIXEIRA, C. T. Política, planejamento e gestão em saúde: balanço doestado da arte. Rev Saúde Pública, v.40, n. (Esp), 2006, p.73-78.

PINTO, I.C.M; TEIXEIRA, C.F. Estado e política de saúde. In: IVO, A.B.L (Coord.) Dicionário temático desenvolvimento e questão social: 81 problemáticas contemporânea. São Paulo: Annablume, 2013, p. 222-223.

PEPE, V. L. E. O Formulário Terapêutico Nacional, os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: extensões da seleção de medicamentos – nota técnica. ENSP/FRIOCRUZ, Rio de Janeiro, 2011. Disponível em: Microsoft Word - NT Rename 13 03 2011 (fiocruz.br).

PENAFORTE, T. R. O negacionismo enquanto política: o debate da cloroquina em uma comissão parlamentar. Cadernos de Saúde Pública [online]. 2021, v. 37, n. 7 [Acessado 14 dezembro 2021], e00023021. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/0102-311X00023021>. Epub 13 Ago 2021. ISSN 1678-4464. https://doi.org/10.1590/0102-311X00023021

PIGNARRE, P. O que é o medicamento? Um objeto estranho entre ciência, mercado e sociedade. Tradução de Paulo Neves. São Paulo. Ed.34, 1999.

SABATIER, P. A, WEIBLE, C.M. The advocacy coalition framework: innovations and clarifications. In: Sabatier PA, editor. Theories of the policy process. Boulder: Westview Press; 2007.

SOARES, A.G.; ALVES, R. P.: O Modelo de Coalizões de Defesa: uma análise de sua aplicação nos estudos brasileiros. In: I Encontro Nacional de Ensino e Pesquisa no campo de Políticas Públicas. Disponível em: https://conferencias.ufca.edu.br/index.php/enepcp/ENEPCP2015/paper/view/3871 Acesso: 16/12/2021.

TESTA, M. Decidir en Salud:¿Quién?, ¿Cómo? y ¿Por qué? Salud Colectiva, vol. 3, núm. 3, septiembre-diciembre, 2007, pp. 247-257 Universidad Nacional de Lanús Buenos Aires, Argentina.

TESTA, M. **Pensamento estratégico e lógica de programação.** O caso da saúde. Tradução de Ângela Maria Tijiwa. São Paulo: Hucitec; Rio de Janeiro. Abrasco, 1995.

TESTA, M. Pensar em Saúde. Intermédica: Porto Alegre, 1992.

VICENTE, V. M. B. A ANÁLISE DE POLÍTICAS PÚBLICAS NA PERSPECTIVA DO MODELO DE COALIZÕES DE DEFESA. Revista de Políticas Públicas, [S. l.], v. 19, n. 1, p. 77–90, 2016. DOI: 10.18764/2178-2865.v19n1p77-90. Disponível em: http://periodicoseletronicos.ufma.br/index.php/rppublica/article/view/3866. Acesso em: 10 jul. 2022.