



Faculdade de Ciências da Saúde
Programa de Pós-Graduação em Saúde Coletiva

DHIOGO BAYMA NESPOLO PASCARELLI

DOENÇAS RARAS NO CONGRESSO NACIONAL: ANÁLISE DA ATUAÇÃO
PARLAMENTAR

Brasília, 2021

DHIOGO BAYMA NESPOLO PASCARELLI

**DOENÇAS RARAS NO CONGRESSO NACIONAL: ANÁLISE DA ATUAÇÃO
PARLAMENTAR**

Dissertação apresentada como requisito parcial para obtenção do título de Mestre pelo Programa de Pós-Graduação em Saúde Coletiva da Universidade de Brasília.

Orientador: Everton Luis Pereira

Brasília, 2021

DHIOGO BAYMA NESPOLO PASCARELLI

**DOENÇAS RARAS NO CONGRESSO NACIONAL: ANÁLISE DA ATUAÇÃO
PARLAMENTAR**

Dissertação apresentada como requisito parcial para obtenção do título de Mestre pelo Programa de Pós-Graduação em Saúde Coletiva da Universidade de Brasília.

Aprovado em / /

BANCA EXAMINADORA

Prof. Dr. Everton Luís Pereira
Universidade de Brasília – UnB
Orientador

Dra. Maria de Fátima de Sousa
Universidade de Brasília – UnB
Membro Interno / Titular

Dra. Martha Cristina Nunes Moreira
Fundação Oswaldo Cruz – FIOCRUZ
Membro Externo / Titular

Dr. Gilberto Alfredo Pucca Júnior
Universidade de Brasília – UnB
Membro Interno/ Suplente

RESUMO

Políticas públicas que atendam a população de doenças raras no Brasil são cada vez mais discutidas, seja para acesso a medicamentos, para atenção multidisciplinar, alternativas terapêuticas ou representatividade. Apesar de o Ministério da Saúde ter publicado em 2014 a Portaria nº 199, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), essa população segue desamparada frente às peculiaridades de seus tratamentos. Neste cenário, associações de pacientes passaram a buscar espaços de representação política, provocando cada vez mais iniciativas legislativas no Congresso Nacional com vistas a alternativas para os milhões de brasileiros que precisam lidar com doenças raras. Por meio de uma pesquisa documental qualitativa o artigo considera todos projetos apresentados até agosto de 2020 com foco neste tema, identificando os principais parlamentares que atuam nele, as características biográficas comuns entre eles, em qual etapa do ciclo de políticas públicas o tema está no Congresso Nacional e, com isso, identificar um possível caminho para a consolidação de uma política. Observou-se que a atuação em doenças raras independe de alinhamento político partidário, sendo uma pauta compartilhada por grupos antagônicos, mas que enfrenta o desafio de apenas 18 parlamentares terem sido os responsáveis por 50% de todas as matérias legislativas já apresentadas sobre isso. Além disso, observou-se também que os parlamentares preferem impulsionar o debate e dar visibilidade ao tema do que investir em novas tentativas de mudanças legais e regulatória.

Palavras-chave: Doenças Raras, Regulamentação, Poder Legislativo, Participação dos Interessados, Política Pública.

ABSTRACT

Public policies to the population with rare diseases in Brazil are increasingly discussed, whether for access to medicines, multidisciplinary care, therapeutic alternatives, or representation. Although the Ministry of Health published in 2014 Ordinance No. 199, which created the national policy for comprehensive care and established the guidelines for people with rare diseases within the national health system (SUS), this population remains helpless in the face of the peculiarities of their treatments. In this scenario, patient associations began to seek political representation, increasingly provoking legislative initiatives in the National Congress aimed at providing alternatives for the millions of Brazilians who need to deal with rare diseases. Through qualitative documentary research, the article considers all proposals presented in the National Congress until August 2020 with a focus on this theme, identifying the main parliamentarians who work on it, the common biographical characteristics between them, in which stage of the public policy cycle the theme is in Congress, and identify a possible path for the consolidation of a policy. It was observed that acting on rare diseases does not depend on party political alignment, being an agenda shared by antagonistic groups but centered in few parliamentarians once 18 of them were responsible for 50% of all proposals ever presented. In addition, it was also observed that parliamentarians prefer to drive the debate and give visibility to the issue than to invest in new attempts at legal and regulatory changes due to its political cost.

Key words: Rare Diseases, Orphan Drugs, Legislative Branch, Stakeholder Participation, Public Policy.

LISTA DE ILUSTRAÇÕES

Gráfico 1 – Proposições sobre doenças raras entre janeiro de 2010 e agosto de 2020.

LISTA DE QUADROS

QUADRO 1 – Reuniões entre o Ministro da Saúde e a Primeira-Dama entre 02 de fevereiro e 27 de dezembro de 2019.

QUADRO 2 - Matérias Legislativas identificadas por Grupo.

QUADRO 3 - Parlamentares responsáveis por 50% das matérias com foco em doenças raras.

QUADRO 4 - Parlamentares mais propositivos e suas características biográficas.

QUADRO 5 - Alinhamento político versus Grupo de proposta.

LISTA DE ABREVIATURAS E SIGLAS

Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA)

Associações de Pacientes (AP)

Conselho Nacional das Secretarias Municipais de Saúde (CONASEMS)

Conselho Nacional das Secretarias Estaduais de Saúde (CONASS)

Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Sistema Único de Saúde (CONITEC)

Descritores das Ciências da Saúde (DECS)

Departamento de Gestão de Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS)

Doenças raras (DR)

European Organization for Rare Disease (EURORDIS)

Food and Drug Administration (FDA)

Grupo de Trabalho (GT)

Indicações (INC)

Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos (MDH)

Ministério da Saúde (MS)

Mensagem (MSC)

Organização Nacional de Doenças Raras (NORD)

Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)

Projetos de Decreto Legislativo (PDC)

Emenda à Constituição (PEC),

Projetos de Lei (PL)

Projetos de Lei de Conversão (PLC)

Projetos de Lei Complementar (PLP)

Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR)

Rede de Atenção à Saúde (RAS)

Requerimentos (REQ)

Requerimentos de Informação (RIC)

Secretaria de Atenção Especializada à Saúde (SAES)

Secretaria de Atenção Primária à Saúde (SAPS)

Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE)

Secretaria-Executiva do Ministério da Saúde (SE)

Secretaria Especial de Saúde Indígena (SESAI)

Secretaria de Gestão do Trabalho e da Educação na Saúde (SGTES)

Sistema Único de Saúde (SUS)

Secretaria de Vigilância em Saúde (SVS)

União Europeia (UE)

SUMÁRIO

1. INTRODUÇÃO	12
2. REFERENCIAL TEÓRICO.....	14
2.1. A TRAJETÓRIA DO DEBATE DAS DOENÇAS RARAS	14
2.1.1. O Contexto Norte-Americano e Europeu	14
2.1.2. O Contexto Brasileiro	16
2.1.3. Representação Política e Minorias	21
2.1.4. Ciclo de Políticas Como Forma de Análise	23
3. OBJETIVOS.....	26
4. METODOLOGIA	27
4.1. LIMITES DA PESQUISA.....	27
4.2. O CAMINHO METODOLÓGICO DA PRESENTE PESQUISA	31
5. RESULTADOS E DISCUSSÃO	35
6. CONSIDERAÇÕES FINAIS	56
7. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS.....	60

1. INTRODUÇÃO

A Constituição Federal de 1988 estabeleceu a saúde como um direito de todos e um dever do Estado, destinando a este a responsabilidade de estabelecer políticas econômicas e sociais que visem, entre outras atribuições, o acesso universal a ações e serviços no âmbito da saúde pública (BRASIL, 1988). Foi neste cenário que dois anos mais tarde foi sancionada a Lei nº 8080, de 19 de setembro de 1990, que passou a ser conhecida como Lei Orgânica do Sistema Único de Saúde (SUS).

Considerando que a Constituição estabeleceu a fundação do SUS, a Lei Orgânica estabeleceu os pilares que hoje norteiam a gestão do sistema, definindo dentre diversas outras coisas as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde dos brasileiros, bem como a organização e o funcionamento dos serviços vinculados.

Essas normas estabeleceram o conjunto de princípios, diretrizes e objetivos do SUS que hoje norteiam os trabalhos dos profissionais vinculados ao sistema, as decisões dos governos federal, estadual e municipal quanto a políticas em saúde e o acesso à saúde. Nesse sentido, os princípios do SUS são definidos como universalidade, equidade e integralidade, e suas diretrizes como descentralização (da gestão dos recursos), regionalização (dos serviços), hierarquização (por nível de complexidade tecnológica) e integração (de ações e serviços) (TEIXEIRA, 2018).

A complexidade de se garantir tais princípios, diretrizes e objetivos em um cenário de recursos escassos e disputados por diversos setores constituintes das políticas públicas (transporte, educação, segurança pública, justiça etc.) torna a gestão do SUS algo altamente complexo e uma arena disputada por grupos que atuam para ver seus interesses priorizados e atendidos. Para isso há dois caminhos principais: criação de normas relativas à gestão do SUS (portarias, instruções normativas, notas técnicas, pactuações, decisões...) e criação de leis.

Assim, esta dissertação visa compreender principalmente o segundo caminho, da criação de leis pelo Congresso Nacional. Para tal, foi selecionado o caso do debate sobre a atenção aos pacientes com doenças raras, que apesar de contarem com a publicação da Portaria do Ministério da Saúde nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que instituiu a “Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras” (PNAIPDR) e aprovou “as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros

de custeio”, ainda enfrentam grandes desafios no Brasil. Para tanto, optei por compreender a trajetória histórica das apresentações de propostas legislativas sobre doenças raras, identificando suas principais características ao longo de toda a série histórica até agosto de 2020. Assim, observei qual tipo de proposição é mais utilizada, quais parlamentares mais buscam propô-las e por quê. Com base nas informações reunidas avaliei o contexto à luz do modelo de ciclo de políticas públicas, que estabelece etapas no processo de construção de uma política.

Também avaliei a origem da categorização “doença rara” e como o debate evoluiu ao longo dos anos. Para isso, foi realizada uma revisão do tema de doenças raras, onde ficou evidente que a discussão sobre isso foi iniciada nos Estados Unidos após o enrijecimento da regulação para uso de medicamentos e a consequente necessidade das farmacêuticas se adaptarem às novas regras. Um movimento que influenciou o avanço do tema na Europa alguns anos depois e posteriormente a experiência brasileira também bebeu da mesma fonte americana e europeia.

Para reunir as informações necessárias para esse processo avaliativo utilizamos a metodologia qualitativa focada no aspecto documental, cujo corpus, como já destacado, foram projetos de lei e informações sobre os parlamentares do Congresso Nacional.

Os resultados foram apresentados em formato de artigo, submetido à revista mensal “Cadernos de Saúde Pública”, da Escola Nacional de Saúde Pública Sérgio Arouca da Fundação Oswaldo Cruz, no dia 5 de julho de 2021. Tanto o artigo quanto esta dissertação se justificam pelo objetivo de buscar entender melhor como o cenário legislativo se relaciona com as doenças raras e quais os desafios e oportunidades para o fortalecimento da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras de modo a ajudar a superar algumas das necessidades da população acometida por tais doenças no Brasil.

2. REFERENCIAL TEÓRICO

Ao redor do mundo são considerados parâmetros diferentes para enquadrar uma doença como rara, mas há consenso de que o termo caracteriza enfermidades que afetam um número reduzido de pessoas.

O cenário e a definição da doença no Brasil foi, e continua sendo muito influenciada pela experiência norte-americana e europeia sobre o assunto. Em razão disso, nesta sessão explorarei melhor a trajetória das doenças raras nos EUA e na União Europeia (UE) para situar melhor o leitor sobre o processo internacional que antecedeu os avanços brasileiros.

A partir disso apresentamos a trajetória do tema no Brasil, considerando como início do debate o I Congresso Brasileiro de Doenças Raras até o alcançarmos o ponto onde esse debate começa a se aproximar com maior consistência do legislativo federal.

Seguimos então para uma reflexão entre minorias e representação política, momento em que discutimos também o comportamento legislativo de parlamentares (RICCI, 2003). Culminamos na teoria de análise de políticas públicas que nos auxiliou na avaliação quanto ao status atual do debate sobre o tema no Congresso Nacional.

2.1. A TRAJETÓRIA DO DEBATE DAS DOENÇAS RARAS

2.1.1. O Contexto Norte-Americano e Europeu

Nos EUA são consideradas raras as doenças que afetam menos de 200.000 pessoas no país. Na União Europeia recebem tal denominação aquelas que afetam menos de 1 pessoa a cada 2.000.

Apesar de individualmente afetarem poucas pessoas quando comparadas com outras doenças, estima-se que existam entre 6000 e 8000 doenças raras (DR) no mundo, afligindo cerca de 8% da população mundial (NOVAES, 2019).

O termo “doenças raras” surgiu nos EUA, como um desdobramento dos impactos regulatórios causados pela Emenda Kefauver-Harris, de 1962, ao Food, Drug and Cosmetic Act, de 1938 (HUYARD, 2009). Essa emenda, criada pelo senador Estes Kefauver, do Tennessee, e pelo deputado Oren Harris, do Arkansas, passou a exigir que produtores de medicamentos comprovassem a eficiência e a segurança de

seus produtos e foi uma resposta do Congresso norte-americano aos efeitos deletérios da talidomida, um medicamento para enjojo matinal de grávidas que causou má formação fetal em pacientes ao redor do mundo. Apesar dos impactos negativos da talidomida, o medicamento é apontado como um dos “mais importantes do século XX em termos de mobilização da legislação de saúde, constituindo o ponto de partida para a aplicação dos conceitos de segurança e farmacovigilância dos medicamentos” (MORO e NOELA, 2016, p. 604).

A partir da publicação da emenda alguns medicamentos tiveram seu uso restringido e passaram a ficar disponíveis apenas para uso hospitalar. No entanto, a carência de status regulatório para eles fez com que a *American Society of Hospital Pharmacists* solicitasse, em 1968, uma definição da Food and Drug Administration (FDA), a autoridade sanitária norte-americana. Alguns anos depois, em 1983, o uso dos termos “doenças raras” e “medicamentos órfãos” foram cunhados em documento oficial e relacionados entre si por meio do Orphan Drug Act e suas atualizações posteriores, que estabeleceram que medicamento órfão é aquele destinado a tratar uma doença ou condição rara, que por sua vez foi definida como aquela que afeta menos de 200 mil pessoas nos EUA (HUYARD, 2009).

As decisões tomadas naquele contexto fizeram com que alguns pacientes que possuíam acesso a tratamentos medicamentosos vissem este caminho inviabilizado. Em meio à crescente escassez, grupos de pacientes começaram a se organizar para expor suas necessidades e demandas, entendendo que teriam mais força política juntos (BREWER *apud* HUYARD, 2009). Tal movimento foi o começo do associativismo em doenças raras nos EUA.

Na Europa, o associativismo em DR já pressionava governos desde que os avanços norte-americanos sobre o tema passaram a ser percebidos. Isso culminou, em 1993, no Comunicado da Comissão Europeia que reconheceu doenças raras como um problema prioritário na região (BARBOSA, 2018). Poucos anos depois, em 1997, quatro associações de pacientes (AP) se uniram e criaram a *European Organization for Rare Disease* (EURORDIS), que foi um dos principais atores para a aprovação, em dezembro de 1999, do Orphan Drug Act europeu (BARBOSA, 2015). Portanto, tanto na UE quanto nos EUA as regulações e avanços em doenças raras caminharam *pari passu* à regulação de medicamentos órfãos e tratamentos específicos (BARBOSA, 2015).

Cabe destacar que o associativismo na UE consistiu principalmente no esforço de associações nacionais galgarem maior espaço na União Europeia como um todo. Além de disputar espaço em seus países, as associações também precisaram pautar suas necessidades como algo que necessitasse de atenção de todo o bloco. Foi com esse objetivo que os representantes da EURORDIS tinham, e ainda têm, como pauta demonstrar que atenção a doenças raras é um problema de saúde muito mais importante de ser tratado a nível continental que nacional, se apoiando no conceito de bem-estar defendido na base da construção filosófica e normativa da União Europeia (RABEHARISOA e DONOVAN, 2014).

2.1.2. O Contexto Brasileiro

No Brasil, foi adotado o conceito defendido pela Organização Mundial de Saúde, onde se considera rara aquela doença que afeta até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas a cada 2.000 indivíduos. Quando aplicada à população brasileira a estimativa de 8% da população afetada por tais doenças indica que entre 16 e 17 milhões de pessoas sofrem de alguma dessas patologias (NOVAES, 2019).

Mesmo com essa grande quantidade de pessoas afetadas, o debate sobre essas doenças começou cerca de 30 anos depois do início da discussão nos EUA, e quase uma década depois de avanços na Europa, sendo de 2009 a primeira experiência nacional organizada: o I Congresso Brasileiro de Doenças Raras, organizado em ação conjunta da Fundacion Gêiser e o vereador de São Paulo/SP, Ushitaro Kamia (DEM). Em fevereiro de 2010, foi realizada a Primeira Caminhada de Apoio ao Portador de Doenças Raras. As duas ocasiões ocorreram às vésperas VI Conferência Internacional sobre Doenças Raras e Medicamentos Órfãos, realizada em Buenos Aires, em 2010, e em comemoração ao Dia Mundial das Doenças Raras, lançado pela Organização Nacional de Doenças Raras (NORD), uma associação norte-americana, mais uma vez destacando a influência dos acontecimentos norte-americanos não só nos avanços europeus, mas também no Brasil (OLIVEIRA *et al.*, 2012; SOUZA, 2019; LIMA *et al.*, 2018; IRIART *et al.*, 2019). Ademais, destaca-se que até aquele momento não se vislumbrava atuação de entidades como a Organização

Mundial de Saúde em apoio a essas iniciativas, demonstrando um cenário liderado por associações para associações.

Estes movimentos provocaram maior exposição do tema, levando a cobertura pela imprensa e de canais de televisão (OLIVEIRA *et al*, 2012), o que permitiu a manifestação e repercussão ampla de demandas de diversas associações (SOUZA, 2019). Essa situação estabeleceu a base do suporte político e social para a criação do grupo de trabalho (GT) para a elaboração da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (LIMA *et al*, 2018). Tal grupo de trabalho foi criado em abril de 2012 no âmbito da Coordenação de Média e Alta Complexidade do Departamento de Atenção Especializada e Temática, vinculada à então Secretaria de Atenção à Saúde, e foi formado por 24 representantes, “com três categorias de representação: (a) gestores e equipe técnica ministerial; (b) especialistas; c) associações/entidades de usuários” (FONSECA, 2014, p. 9). O objetivo principal do GT foi coordenar as discussões dos grupos, o que ocorreu ao longo de 8 reuniões realizadas até novembro de 2013. Ao longo deste período a proeminência da participação de profissionais médicos levantou críticas de associações de pacientes, que buscavam um debate multiprofissional (FONSECA, 2014; LIMA, 2018), evidenciando que ao longo do processo de formulação da política já era observado por alguns dos pleiteantes que aspectos relevantes não estavam sendo considerados. Ainda assim, os avanços em construção eram destacados positivamente pelas associações envolvidas (LIMA, 2018) e o diálogo se aprofundava, chegando a serem realizadas reuniões em 2013 com a presença de cerca de 80 representantes de setores diversos, dispostos em subgrupos que discutiram o texto que posteriormente seria publicado pelo Ministério da Saúde (MS) (FONSECA, 2014), demonstrando um ambiente bastante favorável ao diálogo entre uma multiplicidade de atores interessados.

O trabalho implementado ao longo de 2012 e 2013 resultou, em janeiro de 2014, na publicação da Portaria do Ministério da Saúde nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que instituiu a “Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras” (PNAIPDR) e aprovou “as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio”, se tornando, portanto, o marco regulatório sobre o tema. Três anos mais tarde, esta e diversas outras portarias foram consolidadas na Portaria de Consolidação nº 2, de 28 de setembro de 2017, do Ministério da Saúde.

A PNAIPDR estrutura dois eixos macros, subdivididos em quatro eixos sistematizados por Fonseca (2014), conforme abaixo:

- Doenças raras de origem genética
 - Eixo I: Anomalias Congênitas
 - Eixo II: Deficiência Intelectual
 - Eixo III: Erros Inatos de Metabolismo
- Doenças raras de origem não-genética
 - Eixo IV: Doenças Raras de origem não-genética
 - Doenças Raras Infecciosas
 - Doenças Raras Inflamatórias
 - Doenças Raras Autoimunes
 - Outras Doenças Raras

Tais eixos visam superar a escassez de tecnologia para tratamento, falta de conhecimento específico dos profissionais de saúde e a dificuldade de acesso aos serviços de saúde especializados (LIMA, 2018). Neste sentido, o caminho deliberativo construído para se elaborar a PNAIPDR e as mudanças trazidas por ela, em um cenário em que nada havia antes, fez com que ela se tornasse um exemplo da articulação entre associações de pacientes (LIMA, 2018). Mais uma vez, é importante fazer um paralelo do movimento nacional com o que aconteceu na Europa e nos Estados Unidos, onde associações sobre doenças distintas também se uniram em torno da bandeira única de “doenças raras” para ganhar mais força.

Cabe destacar que a PNAIPDR, ao contrário do que aconteceu nos EUA e Europa, não trouxe definições sobre medicamentos órfãos. Em realidade, o termo não é cunhado em nenhuma regulamentação no Brasil até hoje, sendo o termo “medicamentos novos para doenças raras” (ANVISA, 2017) o que cumpre com tal categorização e o que é atualmente utilizado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Chama a atenção também o fato de que a política é de 2014 e que a regulação que reconhece a existência de medicamentos para doenças raras é de três anos depois. Uma explicação possível para isso pode estar relacionada com os limites de competência do Ministério da Saúde, que apesar de poder estabelecer políticas públicas precisa deixar a caracterização de medicamentos sob responsabilidade da Anvisa. Portanto, ao contrário da experiência internacional, no Brasil avanços nas pautas de doenças raras e medicamentos órfãos não ocorreram em paralelo.

Apesar da PNAIPDR prever a realização de tratamento medicamentoso quando disponível, já destacamos que até meados de 2017 sequer havia no país uma categoria para o registro de medicamentos para doenças raras no Brasil, os colocando num limbo regulatório semelhante ao enfrentado nos EUA em 1968. Sem definições regulatórias, o acesso ao tratamento é dificultado, o que incentiva a busca de soluções via poder judiciário. A judicialização causa grande pressão no cenário econômico e orçamentário nacional, mas é um recurso utilizado por pacientes para terem acesso não só aos tratamentos, mas também exames, leitos, etc (D'IPPOLITO e GADELHA, 2019).

D'Ippolito e Galdelha (2019) destacam que os gastos do Ministério da Saúde com demandas judiciais saltaram de R\$ 139,6 milhões, em 2010, para R\$ 1,2 bilhão, em 2015, e que muitas dessas ações tratavam sobre doenças raras. Essa informação também nos leva a compreender que no momento da edição da Portaria 199 havia uma preocupação maior em mitigar os efeitos negativos da judicialização no SUS do que em regular o acesso a medicamentos órfãos, levando a primeira regulação brasileira sobre o tema a se concentrar em organização institucional, com um esforço maior em viabilizar acesso racional e sistêmico da população alvo aos serviços de saúde, conforme destacados no inciso IV do artigo 5º, da referida norma, que descreve um dos seis objetivos da PNAIPDR como “ampliar o acesso universal e regulado das pessoas com doenças raras na Rede de Atenção à Saúde (RAS)” (BRASIL, 2014). Tal acesso deve ser propiciado por meio de Protocolos Clínicos de Diretrizes Terapêuticas (PCDT), conforme preconizado na Lei Orgânica do SUS (BRASIL, 1990). Contudo, desde a criação da Política apenas 36 PCDT com este fim foram criados, atendendo apenas uma fração milhões de brasileiros acometidos por tais doenças.

As inovações constitucionais relativas à previsão da saúde como direito fundamental social e a ausência de uma política pública de saúde capaz de concretizar os princípios da universalidade e da integralidade contribuíram para o desenvolvimento do chamado fenômeno da judicialização da saúde, onde demandas ao Judiciário passaram a buscar a satisfação de necessidades não atendidas pelo Estado, em que pese a sua atribuição para tanto. Trata-se em verdade de consequência do fenômeno mais amplo da judicialização da política, cujo acesso à justiça para a garantia de direitos de cidadania converteu-se em verdadeira política pública. (SARTORI JÚNIOR, 2012, p. 2722)

Com inúmeros desafios ainda a serem superados e uma grande população sem tratamento adequado, com a criação da PNAIPDR outra reivindicação ganhou força na agenda das AP, a reivindicação política. Esse tipo de demanda já foi descrita por Rabeharisoa (2005) como uma das três principais reivindicações de associações de pacientes no contexto de doenças raras, ao lado da reivindicação de identidade e a da reivindicação epistemológica. A autora destaca que o refinamento da percepção sobre sua própria situação faz com que os pacientes passem a considerar legítimo ter espaço de fala na construção e nas decisões sobre políticas que lhes afetem.

Assim, aqueles que compõem o grupo da AP passam a buscar ocupar espaços sociais distintos, reunindo apoio do coletivo que começa a vislumbrar aquele mesmo problema como uma preocupação geral. Para fazer isso, são mobilizados pesquisadores, profissionais da saúde, mídias, especialistas etc. (RABEHARISOA, 2005). Cabe destacar que a comunidade de especialistas envolve também as famílias, e as pessoas que somam esforços e recursos em prol das demandas (MOREIRA *et al.*, 2017).

A percepção geral, no caso de doenças raras, cresce em razão de uma interação mista, entre iguais e informados onde o primeiro grupo é formado pelas pessoas que vivenciam a doença (paciente, familiares, conhecidos etc.) e o segundo é formado por pessoas que se unem à causa por interesses diversos e/ou solidariedade (Goffman *apud* Moreira *et al.*). Por meio de tal interação, à medida que a percepção geral aumenta o debate se aproxima mais do Poder Legislativo, uma vez que a função básica deste é representar os interesses da população (AMARAL JUNIOR, 2005).

Moreira et al. (2017) destaca que:

Os formuladores de políticas e os tomadores de decisão são influenciados a ignorar ou se interessar pelo problema, numa relação dinâmica com a comunidade de especialistas. Dessa comunidade fazem parte não somente os profissionais e pesquisadores, mas também aqueles que têm a autoridade do conhecimento adquirido pela experiência pessoal, como as famílias. (Moreira et al., 2017, p. 1)

À medida que se organizam os grupos interessados na institucionalização e na defesa do interesse, cresce o compartilhamento de uma matriz cognitiva e normativa que funciona como impulsionador de uma atuação em grupos de interesse (BAMPI *et al.*, 2010) , aumentando a exposição local e as chances de os grupos, que reconhecem

a deficiência como algo que ao afetá-los os faz serem considerados em um coletivo (CORTES e LIMA, 2012), serem notados por parlamentares.

Ricci (2017) destaca que a lógica eleitoral brasileira e suas dinâmicas específicas “parecem empurrar os deputados para uma ação legislativa voltada para satisfazer grupos mais amplos”, portanto, fica mais uma vez elevada a importância de expansão da percepção geral sobre o tema. Além disso, parlamentares podem tender a atuar em favor de grupos que consideram mais próximos de si, num modelo de atuação focado em “práticas paroquiais” (Ricci, 2017), ou seja, concentradas em ações com impacto local. Neste sentido, ao expandir a mobilização, as associações podem ser duplamente beneficiadas, seja pelo aspecto paroquial da atuação parlamentar, seja pelo interesse destes de agradar grupos mais amplos.

2.1.3. REPRESENTAÇÃO POLÍTICA E MINORIAS

Há diversos estudos que reafirmam e corroboram com a visão de um legislativo reativo às demandas do executivo no caso da produção de leis, sendo possível verificar que cerca de 80% das leis federais são de propostas oriundas do Presidente da República (BEM e DELDUQUE, 2018; COSTA *et al*, 2016; MIRANDA, 2010; SILVA e ARAÚJO, 2013). Apesar disso se apresentar como uma dificuldade para a manutenção de demandas legais oriundas da sociedade, ao longo dos anos cada vez mais grupos passaram a “investir sistematicamente nos espaços de representação política para viabilizar suas demandas particulares” (SCHEFFER e BAHIA, 2011, p. 948), tal qual as AP.

Cabe destacar que a Constituição Federal, como apontado em Costa *et al* (2016), “estabeleceu um Sistema de Seguridade Social baseado na Saúde, Previdência e Assistência Social”. Ao reconhecer a Saúde como um direito fundamental do cidadão e um dever do Estado, foi criado o ambiente ideal para que o Legislativo busque atuar como um garantidor de direitos, assumindo então um papel central na formulação de legislações que visam nortear a política nacional de saúde, a saber, o SUS. Este cenário é identificado também por Baptista (2010) em estudo sobre a abordagem legislativa de produção das leis, onde aponta a conformação de uma linha de atuação do Congresso que busca reafirmar o direito à saúde, muitas vezes atendendo a demandas de movimentos sociais.

No contexto brasileiro, regido por uma democracia representativa onde cidadãos escolhem partidos e candidatos para defender seus interesses na consolidação das leis, o papel da representação fica elevado principalmente na área da saúde, onde a inação leva a pioras na qualidade de vida dos pacientes.

O cerne das discussões sobre representação envolve questões como a formação do vínculo do representante e do representado; a identificação do representado com o representante; a vontade do representante e do representado; a correspondência ou não dos interesses de ambos; a responsabilidade e a independência do representante perante o representado. (SANTOS, 2018, p. 223)

Especificamente sobre minorias, é importante destacar que não se trata, necessariamente, de uma situação relativa a número, mas a “grupos subordinados politicamente a uma ordem hegemônica e totalizante” (GIDDENS *apud* Santos, 2018). Assim, considerando que o Brasil mantém modelo legislativo-parlamentar que tem dentre suas características fundamentais o da representação dos “comuns” (AMARAL JUNIOR, 2005), fica a democracia representativa especialmente relevante para minorias como as associações de pacientes de doenças raras, uma vez que um povo suficientemente informado impulsiona a manutenção do diálogo entre representante e representado, potencializando o ganho da representação parlamentar, qual seja, o da “redução da invisibilidade eleitoral de grupos minoritários” (SANTOS, 2018, p. 230). Neste sentido, as AP cumprem um papel crucial ao propiciar o acesso à informação a seus associados.

Diante a escassez de materiais sobre a representação política de pessoas com doenças raras, foi observado estudos sobre a representação política das pessoas com deficiência, onde se destacou a observação de Santos (2018):

Por fim, a participação em debates ou em associações e organizações da sociedade civil mostrou potencial de modificar as avaliações [...] sobre representação política, revelando que, nesse caso, os cidadãos tratam a política não apenas como algo que acontece no parlamento, mas que se inter-relaciona com a atuação das entidades de defesas de seus direitos e com uma rede maior de atores. (SANTOS, 2018, p. 264).

Mais uma vez, a atuação de associações é apontada como algo que eventualmente se aproxima da esfera política. Cabe ressaltar também que ao longo dos últimos anos a percepção biomédica da deficiência perdeu espaço para a percepção social, implicando no entendimento de que é legítimo e necessária a busca por melhoria na qualidade de vida, seja com relação ao ambiente social ou na busca pela representação política (MONTEIRO *apud* SANTOS, 2018).

Como destacado, é natural e positiva a aproximação das AP com o poder legislativo, especialmente diante o potencial deste de criar leis para mudar as condições impostas àquelas. Foi na esteira deste pensamento que avançamos na busca para entender melhor qual o momento das discussões dentro do legislativo federal sobre doenças raras. Para isso, utilizamos o modelo de ciclo de políticas públicas, o qual trataremos adiante.

2.1.4. Ciclo De Políticas Como Forma De Análise

A análise de políticas públicas é uma subárea da ciência política, que tem ganhado relevância na literatura e a atenção de diversas áreas (HAM E HILL, 1993; SHORE e WRIGHT, 2011). Em sua reflexão sobre este tipo de análise, Souza (2006) destaca a contribuição dos quatro autores: H.Laswel, H.Simon, C.Lindblom e D.Easton. Laswel apresenta o conceito de análise de políticas públicas (policy analysis), considerando que a política tem vários atores e que as perguntas norteadoras para identificação da ação pública devem ser: “quem ganha o quê”, “por quê” e “que mudanças isso acarreta”. Por sua vez, Simon apresenta o conceito da racionalidade limitada dos decisores públicos entendendo que suas decisões sofrem de problemas como informação incompleta, tempo reduzido e interesses pessoais, dentre outros. Lindblom apresenta uma crítica aos dois modelos anteriores, entendendo que elas não necessariamente apresentam um começo e um fim e, por isso, se faz necessário considerar mais do que “racionalidade” defendida por Laswel e Simon, tais como as eleições e influência de grupos de interesses. Por fim, Easton entende e apresenta políticas públicas como uma relação constante entre formulação, resultados e ambiente, com frequente recebimento de inputs de atores externos.

Todas as avaliações observam que o processo de consolidação de políticas públicas é algo que considera interações constantes entre atores interessados em determinado tema ou tomada de decisão. É neste contexto que se encontra a

conveniência do modelo de ciclo de políticas públicas para este trabalho, uma vez que ele busca caracterizar estágios deste processo dinâmico.

Teorias de ciclos de políticas públicas visam avaliar as etapas do processo deliberativo que antecedem a criação de uma política pública (SHORE e WRIGHT, 2011). Sabe-se, contudo, que o processo de criação de uma política é menos ordenado e não respeita minuciosamente etapas pré-estabelecidas. Ainda assim, a divisão por etapas é interessante à medida que ajuda a concentrar a análise em circunstâncias e conjunturas deliberativas específicas (SOUZA, 2006).

Esta tipologia vê a política pública como um ciclo deliberativo, formado por vários estágios e constituindo um processo dinâmico e de aprendizado. O ciclo da política pública é constituído dos seguintes estágios: definição de agenda, identificação de alternativas, avaliação das opções, seleção das opções, implementação e avaliação. (SOUZA, 2006, p. 29)

Simon apresentou um dos primeiros modelos de avaliação de ciclos por etapas, consistindo em 3 fases: reconhecimento da existência de um problema; busca das alternativas para solucionar o problema e escolha da solução dentre as alternativas encontradas (SIMON *apud* KLIJN e KOPPENJAN, 2016).

Ao longo dos anos, os modelos passaram a considerar outras etapas do ciclo de políticas públicas. Em 1984, Clay e Schaffer definiram um modelo com 8 fases, sendo elas: existência do problema, reconhecimento do problema por tomadores de decisão, levantamento de alternativas para solução do problema, comparação entre as alternativas, escolha de uma das alternativas, implementação da alternativa escolhida, avaliação do impacto da decisão tomada e eventuais ajustes à decisão (SHORE e WRIGHT, 2011).

Já em 1997, Colebatch definiu um modelo ainda mais complexo, dividido em 2 fases: a de decisão e a de implementação. Para ele a fase de decisão é dividida em 4 etapas, iniciando a partir da escolha de se avaliar a criação de uma nova política, passando por análises técnicas e econômicas de viabilidade, levantamento de alternativas e culminando na escolha da melhor alternativa considerando um cenário de eficiência técnico-econômica-resolutividade. A fase seguinte, de implementação, inicia com a implementação da política, passando pela avaliação dos resultados de sua aplicação (outcomes), avaliação da política como um todo e, por fim, na

construção de um relatório de avaliação para subsidiar a construção de uma nova política (COLEBATCH, 2009).

Como é possível notar, autores diferentes consideram fases diferentes, podendo contar mais ou com menos delas a depender de sua escolha metodológica, mas todos buscam algo em comum, assim como este estudo, que é compreender melhor a interação e o papel dos atores e instituições na definição de uma solução governamental para um problema (OLIVEIRA, 2016; TEIXEIRA e ORNELAS, 2018).

Neste ponto cabe destacar que a avaliação de um debate em andamento à luz do modelo teórico de “ciclo de políticas públicas” visa aproximar a saúde coletiva da ciência política. A utilização de tal modelo já foi apontado por Oliveira (2016) como uma alternativa pouco explorada no campo de estudos da saúde pública, mas que pode ser um apoio para “reconhecer os diferentes caminhos e processos por meio dos quais atores, instituições e arenas interagem” (OLIVEIRA, 2016, p. 891). No contexto do SUS, que está em contínuo processo de revisão e continuamente tensionado por interesses distintos, este modelo auxilia no entendimento do Legislativo como instituição e arena deliberativa ao passo que os parlamentares assumem o papel de atores influenciadores e tomadores de decisões.

3. OBJETIVOS

Compreender a tendência histórica das apresentações de propostas legislativas sobre o tema, identificando como se dá a discussão no Congresso Nacional sobre doenças raras.

Os objetivos específicos são:

- descrever a trajetória histórica das apresentações de propostas legislativas sobre o tema,
- demonstrar qual tipo de proposição é o mais utilizado,
- Diferenciar os parlamentares mais propositivos, a que partidos pertencem e qual seu alinhamento político ao governo à época, para identificar os motivos que o tornam mais sensíveis ao tema.

4. METODOLOGIA

Nesta seção exploramos os caminhos percorridos para testar algumas hipóteses que, ou não foram confirmadas ou que não conseguimos explorar consistentemente diante da escassez de informações disponíveis. Com isso, vamos demonstrar como chegamos ao formato atual da pesquisa e aos seus resultados.

4.1. LIMITES DO ESTUDO

Em um primeiro momento, buscou-se estudar como se dava o tensionamento dos atores que atuam no executivo federal em torno da pauta rara, com especial enfoque no Ministério da Saúde e na CONITEC. Isso se deu diante da observação de que há na composição da CONITEC uma baixa representatividade histórica de pacientes e movimentos sociais, o que foi observado também em D'IPPOLITO (2019), que faz um contraste desde cenário com uma das diretrizes do SUS, a saber, a que prevê a participação da comunidade na organização da rede.

A partir disso, naquele momento da pesquisa buscávamos observar como a CONITEC considerava os interesses das associações de pacientes e da comunidade de especialistas e como estes interagiam ou influenciavam o processo decisório da Comissão. Considerando que este fórum exerce um papel primordial de orientar a tomada de decisão sobre a avaliação de incorporação, exclusão ou alteração de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem com a constituição ou alteração de PCDT, observamos sua composição, competências e funcionamento, conforme estabelecido pelo Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Foi observada a proeminência do Departamento de Gestão de Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS) da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) do Ministério da Saúde. Tal departamento além de compor uma das secretarias com representação na Comissão, também é o responsável pela função de secretaria executiva da CONITEC que tem, dentre outras responsabilidades, o suporte administrativo e de sistematização das informações que são utilizadas pelos membros do Plenário ao longo do processo deliberativo (BRASIL, 2011).

Além disso, o Plenário da CONITEC, responsável pela tomada de decisão sobre as recomendações técnicas, é formado por treze membros, sendo sete deles

representantes de secretarias do Ministério. Portanto, o Ministério da Saúde não só controla a maioria simples da composição, suficiente para a tomada de decisão, como também por sistematizar as informações que serão utilizadas pelos demais membros e representações. Neste sentido, tentamos avaliar a seguinte hipótese:

1. Caso a aprovação de determinada tecnologia tenha sido alinhada entre as áreas do Ministério da Saúde ela ocorrerá independentemente do que os demais seis membros decidirem, ainda que haja consenso entre eles. Portanto, da mesma forma, se todos os seis representantes externos ao Ministério entenderem que determinada tecnologia deve ser incorporada, sem o aval de áreas específicas do Ministério, a tecnologia não prosperará.

É importante destacar que as recomendações feitas pela CONITEC são apresentadas ao Secretário da SCTIE, responsável pela assinatura da decisão final sobre a incorporação ou não de uma tecnologia. Sendo as secretarias e todas as demais instâncias do MS hierarquicamente estabelecidas abaixo do Ministro de Estado da Saúde, responsável pela indicação de secretários e demais membros do auto escalão da pasta, também buscávamos avaliar se haveria a possibilidade de o ministério aprovar uma tecnologia por pressão política ou à revelia da maioria de suas áreas técnicas. Ao longo desse processo se tornou cada vez mais evidente que qualquer ator, seja ele sociedade médica, indústria farmacêutica, academia, associação de paciente ou político, que tenha interesse em incorporar determinada tecnologia no SUS precisará, necessariamente, interagir com os membros da CONITEC, mas sobretudo com aqueles do MS.

Com esta percepção, buscamos observar se houve relação entre interações de potenciais demandantes e áreas técnicas do Ministério e a definição de recomendações no âmbito da CONITEC. Para testar essa hipótese usando com base o ano de 2019, selecionamos três atores: o Ministro da Saúde (Henrique Mandetta), o Secretário da SCTIE (Denizar Vianna) e a Diretora do DGITIS (Vânia Canuto). Naquele momento da pesquisa, a estratégia era avaliar a agenda pública de reuniões destes atores, disponível no portal do Ministério da Saúde, e buscar intersecções com os temas tratados no Plenário da Comissão, observando com quem eles mais se reuniam e o eventual desfecho da reunião. Tais informações foram buscadas por meio da página <https://www.gov.br/saude/pt-br/acesso-a-informacao/agenda-de->

[autoridades](#), gerida pelo Ministério, onde estão concentradas as agendas de seus diretores, secretários e do ministro.

Após o levantamento de todas as reuniões realizadas por eles naquele ano, por meio da captura de 2032 entradas de dados entre 2 de janeiro de 2019 e 27 de dezembro de 2019, constatou-se a impossibilidade de seguir com uma análise sobre aqueles dados diante a baixa confiabilidade deles: foram observadas reuniões não computadas; reuniões publicadas com menos participantes do que o real; dias não preenchidos, a grande ocorrência da informação “despacho interno” e “reunião”, sendo o primeiro referente a qualquer interação interna e o segundo não apresentava mais informações sobre a pauta tratada na ocasião. Nestes dois últimos casos, as interações internas seriam de suma importância para a avaliação pretendida.

Também nos deparamos com o processo de atualização do portal antigo para um novo formato, o que causou grandes períodos de impossibilidade de acesso a informações. Ademais, até o fechamento deste trabalho as informações de agenda de reuniões neste período estão dissolvidas entre o portal antigo e o novo, criando discrepâncias de informações.

Quadro 1 – Reuniões entre o Ministro da Saúde e a Primeira-Dama entre 02 de fevereiro e 27 de dezembro de 2019.

Data	Cargo no MS	Nome	Tema da reunião	Presentes	Cargos
20/fev	Ministro da Saúde	Luiz Henrique Mandetta	Reunião	Michelle Bolsonaro	Primeira-dama do Brasil
07/ago	Ministro da Saúde	Luiz Henrique Mandetta	Reunião	Michelle Bolsonaro	Primeira Dama
03/dez	Ministro da Saúde	Luiz Henrique Mandetta	Participa da cerimônia de assinatura de portarias para habilitações de novos serviços para pessoas com deficiência, ao lado da Primeira Dama, Michelle Bolsonaro	Michelle Bolsonaro	Primeira-dama

Exemplo de reuniões ou interações não computadas podem ser observadas ao se consolidar as interações do ministro com a primeira-dama Michelle Bolsonaro, conforme o Quadro 1. Além do tema da reunião ter sido apresentado apenas como “Reunião” em duas ocasiões, em diversas aparições públicas ambos disseram manter contato constante, mas na agenda oficial do ministro durante o período elencado há o registro de apenas 3 interações.

Todos estes fatores nos levaram a concluir que não havia robustez de informações públicas o suficiente para testar hipóteses sobre a relação entre as reuniões realizadas, participantes ou pauta de discussão e os resultados na CONITEC.

O próximo passo foi avaliar outras esferas que afetam o cenário de doenças raras. Assim, passou-se à consolidação de produção normativa ampla sobre o tema. Além do já destacado ministério, passamos a observar mais atentamente a Anvisa, o Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos (MDH) e a Presidência da República. A intenção, neste ponto, era identificar todas as produções normativas desses órgãos sobre doenças raras.

No caso da Anvisa, nos utilizamos da página de pesquisa sobre legislação disponível no portal da Agência¹, utilizando os indexadores “doença rara”, “doenças raras”, “doença órfã”, “doenças órfãs”, “medicamento órfão” e “medicamentos órfãos”. Tais palavras foram utilizadas sem combinação nem operadores booleanos, para permitir o maior número de achados possível”.

No caso do Palácio do Planalto, foi feito levantamento em toda a legislação sancionada pelo Presidente da República, que é mantida catalogada no portal digital intitulado “Portal da Legislação”², onde é possível fazer busca por tipo de legislação (Leis Ordinárias, Leis Ordinárias, Leis Complementares etc).

No caso do MDH, não foi identificada uma consolidação das normativas já produzidas e havia também um portal pouco eficiente à época, com diversas páginas indisponíveis, o que em contatos telefônicos com o órgão nos foi informado que se devia à recente unificação de diversas pastas sob a mesma estrutura, o que culminou na reestruturação do MD em 2019.

Apesar de termos identificado as normativas vigentes sobre o tema na Anvisa, no MS e no MDH, mais uma vez se enfrentou a dificuldade de obter relatórios de reuniões ou registros da evolução do processo deliberativo. Além das dificuldades identificadas no MS, outro exemplo do desafio foi a tentativa de contato com a Coordenação-Geral das Pessoas com Doenças Raras, vinculada ao MDH, que nunca respondeu nossa comunicação.

¹ Portal de Legislação da Anvisa, disponível em: <http://antigo.anvisa.gov.br/legislacao>

² Portal da Legislação do Palácio do Planalto, disponível em: <http://www4.planalto.gov.br/legislacao/>

Por último, chegamos à Presidência da República, onde logo se observou a existência de apenas duas leis sobre o tema³. Entendendo que todas as leis passam pelo Congresso Nacional, foi vislumbrado um cenário muito melhor, onde há registros públicos, vídeos, áudios e documentos sobre todas as iniciativas e deliberações parlamentares, o que proveria as informações necessárias para estudar a construção deliberativa em torno de políticas públicas para doenças raras. Neste sentido, a falta de transparência no debate em âmbito do poder executivo conduziu a pesquisa ao poder legislativo, onde as interações, ações e decisões são mais bem catalogadas e disponibilizadas.

4.2. O CAMINHO METODOLÓGICO DA PRESENTE PESQUISA

Ao passar pelos desafios impostos pela baixa disponibilidade de recursos de transparência governamental, identificamos no Congresso Nacional um ambiente mais favorável à análise do processo deliberativo, identificação de atores e status do processo de construção de eventuais políticas públicas destinadas à população acometida de doenças raras.

Nesse sentido, foi desenhada esta pesquisa documental qualitativa, que mapeou todas as propostas legislativas já apresentadas no Congresso Nacional desde o início da série histórica até 31 de agosto de 2020 com o foco em pacientes de doenças raras.

A pesquisa documental é um tipo de investigação que permite ao autor explorar novos enfoques, portanto, é um dos modelos utilizados para buscar interpretações novas, ou complementares, ao se atentar às fontes primárias e assim diferenciando-se da pesquisa bibliográfica (GODOY, 1995). Por conseguinte, o enfoque qualitativo está muito ligado à pesquisa documental, uma vez que os documentos (fontes primárias) são de suma importância para as análises dos pesquisadores. Na pesquisa qualitativa a análise documental constitui um método importante para extração de elementos informativos (KRIPKA, 2015).

³ Lei nº 13.693, de 10 de julho de 2018, que cria o Dia Nacional de Doenças Raras, comemorado no último dia do mês de fevereiro e a Lei nº 13.930, de 10 de dezembro de 2019, que determinou que no mínimo 30% dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde devem ser aplicadas em atividades que foquem em desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e outras modalidades terapêuticas que objetivem o tratamento de doenças raras e negligenciadas

Para identificar tais propostas foram utilizados os bancos de dados do Portal da Câmara dos Deputados e do Portal do Senado Federal. No caso do Portal da Câmara dos Deputados, foi utilizada a ferramenta “Pesquisa Avançada” disponível para acompanhamento das atividades legislativas da Casa. Da mesma forma, no Portal do Senado Federal foi utilizada a ferramenta de mesmo nome, “Pesquisa Avançada”, que cumpre o mesmo objetivo.

Os dois Portais são a fonte primária de informações sobre a propostas legislativas e por comportarem o mesmo Poder acabam compartilhando entre si algumas características comuns no formato de pesquisas avançadas. Por meio delas é possível, dentre outros aspectos, filtrar propostas legislativas por autores, ano de apresentação, status (arquivado ou ativo), por tipo de matéria, por relator, dentre outros aspectos.

Por meio delas, tanto na Câmara dos Deputados quanto no Senado Federal foram mapeados os seguintes tipos de proposições: Propostas de Emenda à Constituição (PEC), Projetos de Lei Complementar (PLP), Projetos de Lei (PL), Projetos de Lei de Conversão (PLC), Projetos de Decreto Legislativo (PDC), Requerimentos (REQ), Requerimentos de Informação (RIC), Mensagem (MSC) e Indicações (INC). Para todas as matérias foram aplicados filtros de palavras chaves definidas a partir dos Descritores das Ciências da Saúde (DECS), quais sejam: “doença rara”, “doenças raras”, “doença órfã”, “doenças órfãs”, “medicamento órfão” e “medicamentos órfãos”. Tais palavras chaves foram utilizadas sem combinação nem operadores booleanos, para permitir o maior número de achados possível e foram escolhidas após a revisão sobre o tema indicar que estes são os principais termos utilizados pelos atores envolvidos neste debate.

A pesquisa retornou 855 resultados de matérias que se encaixaram nos parâmetros estabelecidos. Foi aplicado um critério de exclusão, que consistiu em desconsiderar propostas sem relação direta com doenças raras, repetições de matérias e falsos positivos. Tais critérios foram aplicados por meio da análise caso a caso das ementas de cada matéria e pela pesquisa por palavras chaves no inteiro delas, caso em que foi utilizada a ferramenta de pesquisa por palavras ou expressões do Google Chrome, do Microsoft Office ou do Adobe Acrobat Reader.

Especificamente sobre os autores, foram considerados apenas os primeiros signatários de cada projeto. Isso ocorre pela dinâmica própria do Congresso Nacional,

onde parlamentares usualmente subscrevem a autoria de matérias legislativas para evitar que sejam arquivadas caso o autor principal não seja reeleito.

Buscando identificar quais características biográficas e trajetórias os parlamentares autores possuem em comum para serem os autores proeminentes deste tema, verificamos:

1. Se o parlamentar possui algum parente com doença rara;
2. Se possui algum amigo ou conhecido com doença rara;
3. Se o parlamentar é um profissional de saúde;
4. Se o parlamentar possui relação com organização beneficente social; e
5. Se o parlamentar possui atuação anterior em gestão pública de saúde ou em áreas de atenção à pessoa com deficiência;
6. Se o parlamentar possui vínculo a grupo religioso;
7. Se o parlamentar possui alguma deficiência.

Tais características biográficas foram reunidas de sites oficiais de divulgação do mandato (ex: <https://maragabrilli.com.br/>), redes sociais do parlamentar, biografia disponível nos portais do Congresso Nacional e autodeclaração em discursos ou entrevistas.

À medida que as informações foram checadas, foi dada graduação 1 (um) para características positivas e 0 (zero) para negativas. Tal modelo permitiu que cada parlamentar pudesse atingir uma nota pessoal, variando entre 0 e 7. Também permitiu observar qual variável é mais comum entre eles.

As características biográficas avaliadas sobre os parlamentares foram limitadas a um conjunto específico, que busca observar se a experiência prévia no setor de saúde, com pessoas com deficiência ou mesmo participação em agrupamento social ou religioso, foram fatores determinantes para a atuação dos parlamentares mais propositivos, seguindo a reflexão posta por Cortes e Lima (2012) de que o compartilhamento de uma matriz cognitiva e normativa funciona como impulsionador de uma atuação em grupos de interesse.

Também se buscou entender como o alinhamento político do partido do parlamentar em relação ao Governo Federal influenciou as matérias apresentadas. Para isso foi identificada a autodeclaração do respectivo partido no momento da apresentação da matéria. Tal informação foi coletada por meio de informações publicadas nos portais oficiais dos partidos e de manifestações públicas feitas pelo Líderes partidários, considerando que a liderança partidária cumpre a função de

intermediar a relação entre o Poder Executivo e os parlamentares individualmente (MIRANDA, 2010).

5. RESULTADOS E DISCUSSÃO

Artigo submetido à revista mensal “Cadernos de Saúde Pública”, da Escola Nacional de Saúde Pública Sérgio Arouca da Fundação Oswaldo Cruz no dia 5 de julho de 2021:

Doenças Raras no Congresso Nacional: Análise da atuação parlamentar

Resumo: Políticas públicas que atendam a população de doenças raras no Brasil são cada vez mais discutidas, seja para acesso a medicamentos, para atenção multidisciplinar, alternativas terapêuticas ou representatividade. Apesar de o Ministério da Saúde ter publicado em 2014 a Portaria nº 199, que instituiu a “Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), essa população segue desamparada frente às peculiaridades de seus tratamentos. Neste cenário, associações de pacientes passaram a buscar espaços de representação política, provocando cada vez mais iniciativas legislativas no Congresso Nacional com vistas a alternativas para os milhões de brasileiros que precisam lidar com doenças raras. Por meio de uma pesquisa documental qualitativa o artigo considera todos projetos apresentados até agosto de 2020 com foco neste tema, identificando os principais parlamentares que atuam nele, as características biográficas comuns entre eles, em qual etapa do ciclo de políticas públicas o tema está no Congresso Nacional e, com isso, identificar um possível caminho para a consolidação de uma política. Observou-se que a atuação em doenças raras independe de alinhamento político partidário, sendo uma pauta compartilhada por grupos antagônicos, mas que enfrenta o desafio de apenas 18 parlamentares terem sido os responsáveis por 50% de todas as matérias legislativas já apresentadas sobre isso. Além disso, observou-se também que os parlamentares preferem impulsionar o debate e dar visibilidade ao tema do que investir em novas tentativas de mudanças legais e regulatória.

Palavras-chave: Doenças Raras, Medicamentos Órfãos, Poder Legislativo, Participação dos Interessados, Política Pública.

Introdução

Ao redor do mundo são considerados parâmetros diferentes para enquadrar uma doença como rara, mas há consenso de que o termo caracteriza enfermidades que afetam um número reduzido de pessoas.

Nos EUA são consideradas raras as doenças que afetam menos de 200.000 pessoas no país. Na União Europeia recebem tal denominação aquelas que afetam menos de 1 pessoa a cada 2.000. Já no Brasil, foi adotado o conceito defendido pela Organização Mundial de Saúde, onde se considera aquela que afeta até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas a cada 2.000 indivíduos¹.

Apesar de individualmente afetarem poucas pessoas quando comparadas com outras doenças, estima-se que existam entre 6000 e 8000 doenças raras (DR) no mundo, afligindo cerca de 8% da população mundial¹. Quando aplicada à população brasileira, essa estimativa indica que entre 16 e 17 milhões de pessoas sofrem de alguma dessas patologias.

O termo “doenças raras” surgiu nos EUA, como um desdobramento dos impactos regulatórios causados pela Emenda Kefauver-Harris, de 1962, ao Food, Drug and Cosmetic Act, de 1938². Pouco depois surgiu o termo “medicamento órfão”, em 1970, sendo inicialmente utilizado para nomear produtos que não atraíam o interesse da indústria farmacêutica principalmente por não terem bom retorno econômico para seus produtores³. Alguns anos depois, em 1983, o uso dos termos doenças raras e medicamentos órfãos foram relacionados e cunhados oficialmente por meio do Orphan Drug Act. Daquele momento em diante, medicamentos órfãos passaram a ser considerados em dois grandes grupos: o já estabelecido grupo de medicamentos com baixo retorno econômico; e um outro grupo específico para medicamentos de doenças raras. Posteriormente, foi inserida na atualização do Orphan Drug Act, ocorrida em 1984, a definição de que para ser considerado medicamento órfão a doença a que ele se destina tratar deve afetar menos de 200 mil pessoas nos EUA².

Em meio à crescente escassez de tratamentos, alguns existentes, mas não disponíveis, grupos de pacientes começaram a se organizar para expor suas necessidades e demandas, entendendo que teriam mais força política juntos². Tal

movimento foi o começo do associativismo em doenças raras nos EUA, um modelo que posteriormente foi replicado na Europa e mais recentemente no Brasil.

Na atuação em prol de melhores condições para pacientes, as associações de pacientes (APs) estão ao lado do Estado, da Indústria Farmacêutica, e da Academia, no rol dos principais atores que influenciam o processo de tomada de decisão. Cabe destacar ainda que quando falamos de pacientes no contexto das associações, nos referimos a um grupo formado não só pelas pessoas afetadas pela doença, como também todas aquelas afetadas pelo contexto dela, como família, amigos, etc. e também àquelas pessoas que tenham interesse em atuar em favor da causa⁴.

Na Europa, o associativismo em DR já pressionava governos desde que os avanços norte-americanos sobre o tema passaram a ser percebidos. Isso culminou, em 1993, no Comunicado da Comissão Europeia que reconheceu doenças raras como um problema prioritário na região⁵. Poucos anos depois, em 1997, quatro associações de pacientes se uniram e criaram a *European Organization for Rare Disease* (EURORDIS), que foi um dos principais atores para a aprovação, em dezembro de 1999, do *Orphan Drug Act* europeu⁷, e até hoje é uma das representações de pacientes mais influentes do mundo. Portanto, tanto na Europa quanto nos EUA as regulações e avanços em doenças raras caminharam *pari passu* à regulação de medicamentos órfãos e tratamentos específicos⁴.

No Brasil, o debate sobre doenças raras começou cerca de 30 anos depois do início da discussão nos EUA, sendo de 2009 a primeira experiência nacional organizada: o I Congresso Brasileiro de Doenças Raras. Assim como ocorreu na experiência norte-americana e europeia, tanto este evento quanto o incremento da discussão no Brasil ganharam força quando as associações de pacientes e outros grupos sociais se uniram em torno de uma agenda comum: o acesso ao tratamento e melhorias na atenção ao paciente de doenças raras⁶.

As discussões que começaram naquela ocasião culminaram, anos mais tarde, na publicação da Portaria do Ministério da Saúde nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que instituiu a “Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras” (PNAIPDR) e aprovou “as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio”, se tornando, portanto, o marco regulatório sobre o tema no Brasil⁶.

Diferentemente da experiência internacional, em razão dos limites de competência regulatória do Ministério da Saúde, a PNAIPDR não caracteriza o termo medicamento órfão, uma vez que a competência para isso é da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Contudo, a Anvisa não estabeleceu o uso desse termo, preferindo utilizar a denominação “medicamentos novos para doenças raras”⁷.

A pressão que a judicialização causa no cenário econômico e orçamentário nacional⁸ também foi um fator importante para que “doença rara” e “medicamento órfão” não fossem regulados em paralelo. No momento da edição da Portaria 199 havia uma preocupação maior em mitigar os efeitos negativos da judicialização para o tratamento de doenças raras no SUS do que em regular o acesso a medicamentos órfãos, o que fez com que o foco da primeira regulação brasileira sobre o tema focasse em organização institucional com foco em acesso racional e sistêmico da população alvo aos serviços de saúde, conforme destacados no inciso IV do artigo 5º, da referida norma, que descreve um dos seis objetivos da PNAIPDR como “ampliar o acesso universal e regulado das pessoas com doenças raras na Rede de Atenção à Saúde (RAS)”⁹.

Tal acesso deve ser propiciado por meio de Protocolos Clínicos de Diretrizes Terapêuticas (PCDT), conforme preconizado na Lei Orgânica do SUS¹⁰. Contudo, desde a criação da Política apenas 36 PCDT com este fim foram criados, atendendo apenas uma fração dos mais de 16 milhões de brasileiros acometidos pelas mais de 6 mil diferentes doenças.

Com inúmeros desafios, a reivindicação política ganhou força na agenda das AP. Esse tipo de demanda já foi descrito por Rabeharisoa¹¹ como uma das três principais reivindicações de associações de pacientes no contexto de DR, ao lado da reivindicação de identidade e a da reivindicação epistemológica. A autora destaca que o refinamento da percepção sobre sua própria situação faz com que os pacientes passem a considerar legítimo ter espaço de fala na construção e nas decisões sobre políticas que lhes afetem.

Assim, aqueles que compõem o grupo da AP passam a buscar ocupar espaços sociais distintos, dentre eles os de representação política, reunindo apoio do coletivo que começa a vislumbrar aquele mesmo problema como uma preocupação geral. Para fazer isso, são mobilizados pesquisadores, profissionais da saúde, mídias etc. e

à medida que a percepção aumenta mais grupos investem nos espaços de representação política com vista a fazer valer seus interesses particulares^{11,12}. No contexto brasileiro, regido por uma democracia representativa onde cidadãos escolhem partidos e candidatos para defender seus interesses na consolidação das leis, fica elevado o papel do Congresso Nacional, uma vez que o arcabouço legal é responsabilidade do Poder Legislativo¹³.

A Constituição Federal, como apontado em Costa¹⁴, “estabeleceu um Sistema de Seguridade Social baseado na Saúde, Previdência e Assistência Social”. Ao reconhecer a Saúde como um direito fundamental do cidadão e um dever do Estado, foi criado o ambiente ideal para que o Legislativo busque atuar como um garantidor de direitos, assumindo então um papel central na formulação de legislações que visam nortear a política nacional de saúde, a saber, o SUS. Este cenário é identificado também por Baptista¹⁵ em estudo sobre a abordagem legislativa de produção das leis, onde aponta a conformação de uma linha de atuação do Congresso que busca reafirmar o direito à saúde, muitas vezes atendendo a demandas de movimentos sociais. Além disso, há historicamente no Poder Legislativo brasileiro a função de controle político, que contrabalanceia com a postura proativa do Poder Executivo, passo que lhes confere a legitimidade, mas também o fiscaliza¹⁶.

Ainda assim, um grande desafio enfrentado pelos grupos de interesse é ter que lidar com um legislativo muito reativo às demandas do executivo no que diz respeito à produção de leis, uma vez que se verifica que cerca de 80% das leis federais foram propostas pelos Presidentes da República, reforçando a percepção de que a vontade do Poder Executivo ainda exerce um papel primordial na edição de leis^{13,14, 17, 18}.

Diante das dificuldades e oportunidades impostas pelo modelo político brasileiro, este estudo busca observar a evolução do tema no Poder Legislativo ao longo do tempo, identificando os parlamentares mais propositivos e quais trajetórias possuem em comum. Para isso, foram mapeadas todas as propostas legislativas com foco nesta população, para identificar qual modelo é o mais buscado. Com isso pretendemos contribuir ao indicar as principais características sobre os atores envolvidos no debate sobre doenças raras no Congresso Nacional.

A observação da trajetória dos parlamentares considera o destacado em Ricci, que parlamentares tendem a atuar em favor de grupos que consideram mais próximos

de si, o que pode levar a um modelo de atuação focado em “práticas paroquiais”¹⁹, ou seja, concentradas em ações com impacto local. Neste sentido, à medida que se organizam os grupos interessados na institucionalização e na defesa do interesse, cresce o compartilhamento de uma matriz cognitiva e normativa que funciona como impulsionador de uma atuação em grupos de interesse²⁰, aumentando a exposição local e as chances de os grupos, que reconhecem a deficiência como algo que ao afetá-los os faz serem considerados em um coletivo²¹, serem notados por parlamentares em atuações paroquiais.

Ao observar que apesar do esforço de alguns parlamentares a produção legislativa sobre o tema ainda é baixa, buscamos entender, à luz do modelo de identificação da ação política de tomadores de decisão proposto discutido por Shore e Wright²², em qual etapa do processo de formulação de políticas públicas está o tema. O estágio de formulação, em regimes democráticos, é onde governos “traduzem seus propósitos e plataformas eleitorais em programas e ações, que produzirão resultados ou mudanças no mundo real”²³.

Metodologia

Trata-se de uma pesquisa documental qualitativa que mapeou todas as propostas legislativas apresentadas no Congresso Nacional até 31 de agosto de 2020 com o foco em favorecer pacientes de doenças raras.

A pesquisa documental é um tipo de investigação que permite ao autor explorar novos enfoques, portanto, é um dos modelos utilizados para buscar interpretações novas, ou complementares, ao se atentar às fontes primárias e assim diferenciando-se da pesquisa bibliográfica²⁴. Por conseguinte, o enfoque qualitativo está muito ligado à pesquisa documental, uma vez que os documentos (fontes primárias) são de suma importância para as avaliações dos pesquisadores. Na pesquisa qualitativa a análise documental constitui um método importante para extração de elementos informativos²⁵.

Para identificar tais propostas foram utilizados os bancos de dados do Portal da Câmara dos Deputados e do Portal do Senado Federal. No caso do Portal da Câmara dos Deputados, foi utilizada a ferramenta “Pesquisa Avançada” disponível para acompanhamento das atividades legislativas da Casa. Da mesma forma, no

Portal do Senado Federal foi utilizada a ferramenta de mesmo nome, “Pesquisa Avançada”, que cumpre o mesmo objetivo.

Nos dois casos foram mapeados os seguintes tipos de proposições: Propostas de Emenda à Constituição (PEC), Projetos de Lei Complementar (PLP), Projetos de Lei (PL), Projetos de Lei de Conversão (PLC), Projetos de Decreto Legislativo (PDC), Requerimentos (REQ), Requerimentos de Informação (RIC), Mensagem (MSC) e Indicações (INC). Para todas as matérias foram aplicados filtros de palavras chaves definidas a partir dos Descritores das Ciências da Saúde (DECS), quais sejam: “doença rara”, “doenças raras”, “doença órfã”, “doenças órfãs”, “medicamento órfão” e “medicamentos órfãos”. Tais palavras chaves foram utilizadas sem combinação nem operadores booleanos, para permitir o maior número de achados possível e foram escolhidas após a revisão narrativa indicar que estes são os principais termos utilizados pelos atores envolvidos neste debate.

A pesquisa retornou 855 resultados de matérias que se encaixaram nos parâmetros estabelecidos. Foi aplicado um critério de exclusão, que consistiu em desconsiderar propostas sem relação direta com doenças raras, repetições de matérias e falsos positivos. Tais critérios foram aplicados por meio de avaliação caso a caso das ementas de cada matéria e pela pesquisa por palavras chaves no inteiro delas, caso em que foi utilizada a ferramenta de pesquisa por palavras ou expressões do Google Chrome, do Microsoft Office ou do Adobe Acrobat Reader.

Especificamente sobre os autores, foram considerados apenas os primeiros signatários de cada projeto. Isso ocorre pela dinâmica própria do Congresso Nacional, onde parlamentares usualmente subscrevem a autoria de matérias legislativas para evitar que sejam arquivadas caso o autor principal não seja reeleito.

Buscando identificar quais características e trajetórias os parlamentares autores possuem em comum para serem os autores proeminentes deste tema, verificamos:

8. Se o parlamentar possui algum parente com doença rara;
9. Se possui algum amigo ou conhecido com doença rara;
10. Se o parlamentar é um profissional de saúde;
11. Se o parlamentar possui relação com organização beneficente social; e

12. Se o parlamentar possui atuação anterior em gestão pública de saúde ou em áreas de atenção à pessoa com deficiência;
13. Se o parlamentar possui vínculo a grupo religioso;
14. Se o parlamentar possui alguma deficiência.

Tais características foram reunidas de sites oficiais de divulgação do mandato (ex: <https://maragabrilli.com.br/>), redes sociais do parlamentar, biografia disponível nos portais do Congresso Nacional e autodeclaração em discursos ou entrevistas.

À medida que as informações foram checadas, foi dada graduação 1 (um) para características positivas e 0 (zero) para negativas. Tal modelo permitiu que cada parlamentar pudesse atingir uma nota pessoal, variando entre 0 e 7. Também permitiu observar qual variável é mais comum entre eles.

As características avaliadas sobre os parlamentares foram limitadas a um conjunto específico, que busca observar se a experiência prévia no setor de saúde, com pessoas com deficiência ou mesmo participação em agrupamento social ou religioso, foram fatores determinantes para a atuação dos parlamentares mais propositivos, seguindo a reflexão posta por Cortes e Lima²¹ de que o compartilhamento de uma matriz cognitiva e normativa funciona como impulsionador de uma atuação em grupos de interesse.

Também se buscou entender como o alinhamento político do partido do parlamentar em relação ao Governo Federal influenciou as matérias apresentadas. Para isso foi identificada a autodeclaração do respectivo partido no momento da apresentação da matéria. Tal informação foi coletada por meio de informações publicadas nos portais oficiais dos partidos e de manifestações públicas feitas pelo Líderes partidários, considerando que a liderança partidária cumpre a função de intermediar a relação entre o Poder Executivo e os parlamentares individualmente¹⁷.

Resultados e Discussão

Como destacado, a pesquisa retornou 855 matérias, mas, uma vez aplicados o critério de exclusão, restaram 282 matérias legislativas de 125 autores diferentes na Câmara dos Deputados e 38 matérias legislativas de 15 autores diferentes no Senado

Federal, totalizando 320 matérias que atenderam os parâmetros estabelecidos (Quadro 1).

Podemos dividir as matérias legislativas identificadas em dois grupos, o Grupo A composto por aquelas que visam alterar o ordenamento jurídico regulatório brasileiro, seja por buscar criar nova regra ou por mudar o status de uma, e o Grupo B composto pelas que visam fomentar a discussão ou atuar em torno de determinado tema. Compõem o Grupo A as matérias abaixo:

- Projetos de Lei (PL/PLS/PLC): proposição que objetiva regular matéria de competência da União¹³.
- Propostas de Emenda à Constituição (PEC): proposição destinada a alterações na Constituição Federal.¹³.
- Projeto de Decreto Legislativo (PDC): com efeito de lei ordinária, formalizam atos de competência exclusiva do poder executivo, como a possibilidade de sustar atos do Poder Executivo que extrapolem seu poder regulamentar.

Compõem o Grupo B segundo grupo de matérias:

- Indicações (INC): proposição que permite ao deputado federal sugerir a outro Poder a adoção de alguma medida.
- Mensagem (MSC): Recurso utilizado por outro Poder para sugerir ou solicitar ao Poder Legislativo a adoção de alguma medida.
- Requerimentos (REQ, RIC, RQS): é um recurso interno, utilizado para solicitar adoção de medidas internas como: realização de eventos, discussões, seminários, sessões deliberativas, votações, registros, criação de comissões ou subcomissões etc.

Quadro 2 – Matérias Legislativas identificadas por Grupo

Grupo A		Grupo B	
Tipo de matéria	“n”	Tipo de matéria	“n”
Projetos de Lei	92	Indicações	45
Propostas de Emenda à Constituição	0	Requerimentos	181

Projeto de Decreto Legislativo	1	Mensagem	1
-----------------------------------	---	----------	---

Fonte: Elaborada pelo autor com base no Banco de Dados da Câmara dos Deputados e do Senado Federal

Do ponto de vista prático, a aprovação de matérias do Grupo A é que podem trazer mudanças que impactarão no dia a dia de pacientes e da população em geral. Portanto, é um grupo com maior peso legal. Não obstante, dentro deste grupo podemos sugerir uma hierarquização de relevância ao considerar a lei que a proposta busca alterar ou criar. Neste sentido, propostas que buscam mudar a Constituição Federal ocupam o primeiro lugar na lista, seguidas de proposições que mudam ou propõem novas leis ordinárias. Estressando a mesma lógica, sugerimos que as matérias do segundo bloco possuam a mesma relevância entre si, porém não necessariamente são menos relevante que aquelas que compõem o Grupo A, isso ocorre principalmente pelo fato de que o fomento à discussão ocupa um papel crucial nos ciclos de políticas públicas e é uma condição *sine qua non* para qualquer tomada de decisão em uma democracia.

Num Congresso Nacional composto por 584 cadeiras e que no ano de 2020 apresentou mais de 13 mil matérias legislativas dentre os tipos considerados neste trabalho, chama atenção o fato de que apenas 18 parlamentares foram responsáveis por 50% (160 matérias) de todo o quantitativo apresentado para DR. Os outros 50% foram apresentados por um conjunto formado por 9 senadores e 86 deputados federais.

O grupo de 18 parlamentares mais propositivos é descrito no Quadro 2, que consolida quantas matérias cada um apresentou, qual a Casa Legislativa mais recente na atuação do parlamentar e quantos mandatos ele teve. Vale destacar que um mandato na Câmara dos Deputados corresponde a 4 anos de atividade parlamentar e no Senado Federal a 8 anos de atividade parlamentar.

Quadro 3 - Parlamentares responsáveis por 50% das matérias com foco em doenças raras

Parlamentares	Partido atual	Casa	Quantidade de Matérias	Mandatos no Congresso Nacional*
Mara Gabrilli	PSDB	SF	30	CD: 2

				SF: 1
Diego Garcia	Podemos	CD	21	CD: 2 SF: 0
Romário	Podemos	SF	12	CD: 1 SF: 1
Carmen Zanotto	Cidadania	CD	12	CD: 2 SF: 0
Sergio Vidigal	PDT	CD	12	CD: 2 SF: 0
Leandre	PV	CD	11	CD: 2 SF: 0
Eduardo da Fonte	PP	CD	9	CD: 4 SF: 0
Mariana Carvalho	PSDB	CD	8	CD: 2 SF: 0
Alan Rick	DEM	CD	8	CD: 2 SF: 0
Marcelo Aro	PP	CD	6	CD: 2 SF: 0
Flávio Arns	Podemos	SF	5	CD: 3 SF: 2
Júlio Delgado	PSB	CD	5	CD: 6 SF: 0
Assis Carvalho	PT	CD	5	CD: 3 SF: 0
Erika Kokay	PT	CD	5	CD: 3 SF: 0
Eduardo Barbosa	PSDB	CD	4	CD: 3 SF: 0
Eduardo Suplicy	PT	SF	3	CD: 7 SF: 0
Acir Gurgacz	PDT	SF	2	CD: 0 SF: 2

Rose de Freitas	MDB	SF	2	CD: 6 SF: 1
-----------------	-----	----	---	----------------

Fonte: Elaborada pelo autor com base no Banco de Dados da Câmara dos Deputados e do Senado

Federal

Já o Quadro 3 consolida as características biográficas dos autores. Por meio dele é possível observar que 3 características se destacam entre estes parlamentares: “Profissional de Saúde” e “Relação com Organização Beneficente Social”, com 8 ocorrências cada, e a Atuação Anterior na Gestão Pública de Saúde ou de Pessoa com Deficiência, com 7 ocorrências. Também é possível notar que a parlamentar mais propositiva, a senadora Mara Gabrilli, é a que mais reúne características dentre as consideradas, com 5 positivos, seguida dos deputados Carmen Zanotto, Sergio Vidigal, Leandre e Eduardo Barbosa, cada um com 3 positivos.

Quadro 4 - Parlamentares mais propositivos e suas características biográficas

Parlamentar	Par ent e co m doe nça rar a ou defi ciê nci a	Amigo/Con hecido com doença rara ou deficiência	Sofre de algu ma doen ça ou defici ência	Profissi onal de Saúde	Relaçã o com organi zação benefi cente social	Relação com grupo religioso	Atuaçã o anterio r na gestão públic a de saúde/ pesso a com deficiê ncia	n
Mara Gabrilli	Não	Sim	Sim	Sim	Sim	Não	Sim	5
Diego Garcia	Não	Não	Não	Não	Não	Sim	Não	1
Romário	Sim	Não	Não	Sim	Não	Não	Não	2
Carmen Zanotto	Não	Não	Não	Sim	Sim	Não	Sim	3
Sergio Vidigal	Não	Não	Não	Sim	Sim	Não	Sim	3
Leandre	Não	Não	Não	Sim	Sim	Não	Sim	3

Eduardo da Fonte	Não	Não	Não	Não	Sim	Não	Não	1
Mariana Carvalho	Não	Não	Não	Sim	Sim	Não	Não	2
Alan Rick	Não	Sim	Não	Não	Não	Sim	Não	2
Marcelo Aro	Sim	Não	Não	Não	Não	Não	Não	1
Flávio Arns	Não	Não	Não	Não	Sim	Não	Sim	2
Julio Delgado	Não	Não	Não	Não	Não	Não	Não	0
Assis Carvalho	Não	Não	Não	Não	Não	Não	Sim	1
Erika Kokay	Não	Não	Não	Sim	Não	Não	Não	1
Eduardo Barbosa	Não	Não	Não	Sim	Sim	Não	Sim	3
Eduardo Suplicy	Não	Não	Não	Não	Não	Não	Não	0
Acir Gurgacz	Não	Não	Não	Não	Não	Não	Não	0
Rose de Freitas	Não	Não	Não	Não	Não	Não	Não	0
n	2	2	1	8	8	2	7	

Ao analisar os dados, observou-se que não há uma relação direta entre a quantidade de características positivas e a quantidade de propostas apresentadas pelo parlamentar, a exemplo do deputado Diego Garcia, segundo mais propositivo, mas que possui apenas uma característica das observadas. Há também uma dispersão grande entre o número de projetos *versus* a quantidade de características, não sendo possível estabelecer uma relação direta entre a biografia e a quantidade de projetos que determinado parlamentar estará disposto a apresentar.

Ainda assim, 14 dos 18 parlamentares apresentam pelo menos uma das 7 características pesquisadas. E, com exceção do deputado Garcia, todos os demais que apresentaram mais de 10 matérias sobre o tema congregam pelo menos 3

características, mais uma vez sendo as mais recorrentes a de “Profissional de Saúde” (5), “Relação com Organização Beneficente Social” (4), e “Atuação Anterior na Gestão Pública de Saúde ou de Pessoa com Deficiência” (4).

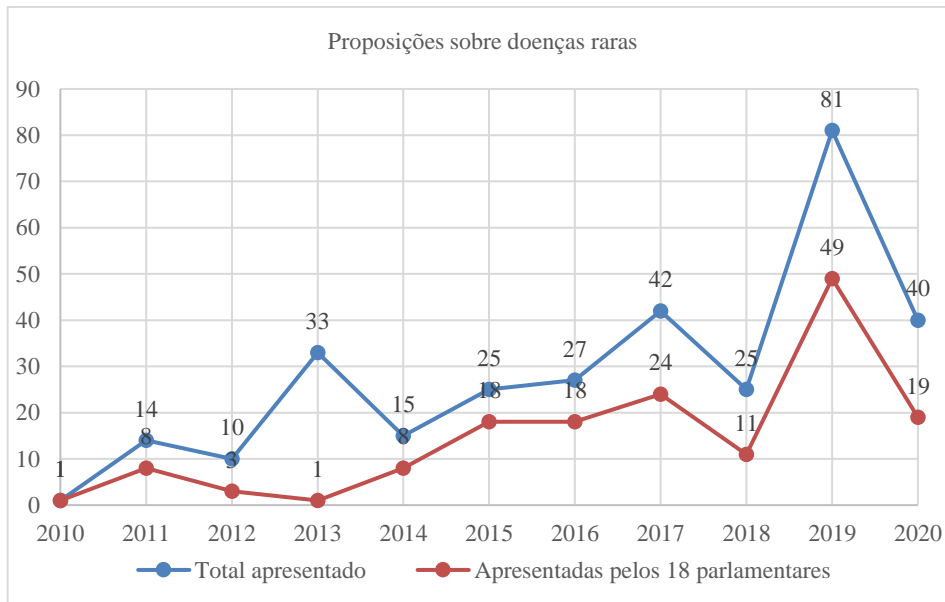
Tendo essas avaliações em mente, buscou-se entender melhor a posição do deputado Garcia como o segundo mais propositivo, uma vez que ele possui apenas uma das características (Relação com grupo religioso), não sendo esta uma das que se demonstraram mais relevantes. Compreendeu-se, ao avaliar sua trajetória parlamentar que o motivo de se destacar se deve ao fato de ter assumido o cargo de Presidente da Frente Parlamentar de Doenças Raras desde o seu primeiro ano de mandato, em 2015. As frentes parlamentares são espaços de mobilização, articulação e/ou opinião mobilizada de deputados e senadores²⁶. Ao assumir o cargo de liderança em um fórum como este, Garcia passou a endereçar o tema de forma recorrente, justificando sua posição dentre os mais propositivos.

Caso semelhante ocorreu com a senadora Mara Gabrilli, que durante anos foi a presidente da Frente Parlamentar Mista de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Sendo que a senadora Gabrilli e o deputado Garcia apresentaram 30 e 21 matérias, respectivamente, suas atividades como presidentes de frentes parlamentares sobre o tema se apresentam como fator determinante para o destaque de ambos. Ainda assim, entende-se que o fato de comporem o grupo de parlamentares já engajados com o tema os levou a assumirem a presidência da frente parlamentar e potencializar suas ações, e não o contrário.

Isso ocorre diante a observação de que a liderança de uma frente parlamentar pode ser interpretada como um catalisador, mas não fator determinante para a atuação parlamentar, caso confirmado ao analisarmos que o deputado federal Marcelo Aro (PP), presidente da Frente Parlamentar Mista em Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, apresentou uma quantidade de propostas significativamente menor que Gabrilli e Garcia e que o ex-deputado federal Maurício Quintella Lessa (PR), que foi presidente da Frente Parlamentar de Combate às Doenças Raras apresentou apenas duas matérias sobre o tema ao longo de seus quatro mandatos na Câmara dos Deputados.

Avançando na avaliação deste grupo de parlamentares foi possível observar que a primeira matéria apresentada dentre eles foi em 2010, pelo deputado federal

Júlio Delgado (PSB/MG). Tratou-se da INC 6337/2010, que sugeriu ao Ministério da Saúde a incorporação do medicamento modafinil para o tratamento de narcolepsia. Tal matéria foi apresentada um ano após a realização do I Congresso Brasileiro de Doenças Raras, sendo a única naquele ano. Nos anos seguintes mais matérias foram apresentadas conforme disposto no quadro abaixo, que considera os dados a partir de 2010:



É possível observar que este grupo de parlamentares apresentou uma grande produção legislativa em 2019, o primeiro ano da 56^o Legislatura, impulsionando o indicador daquele ano. Essa é uma tendência observada tanto para este tema quanto para todos os demais em anos iniciais de cada legislatura, pois é um momento em que os parlamentares buscam honrar promessas de campanhas¹³. Tal movimento também pode ser observado em 2015, primeiro ano da 55^a Legislatura, e em 2011, início da 54^a Legislatura.

Chama atenção a discrepância no ano de 2013, onde, diferentemente dos demais anos, não há uma tendência comum entre as matérias apresentadas no Congresso Nacional e a atuação desse grupo. Isso ocorreu principalmente pela apresentação de 24 requerimentos, por parlamentares diversos, solicitando a inclusão na Ordem do Dia do Plenário da Câmara dos Deputados do Projeto de Lei nº 4562/2012, que visa isentar de imposto de renda os recebidos pelos portadores de linfangioleiomiomatose (LAM). Tal situação sugere que naquele ano houve uma intensa movimentação em torno desta doença no Congresso Nacional.

Explorados os fatores biográficos que podem levar um deputado ou um senador a atuar em torno do tema, passamos à observação do fator “alinhamento político”. Foi identificado que 61 das matérias foram apresentadas por parlamentares em partidos que se identificavam como aliados do governo, enquanto 60 foram apresentadas por parlamentares em partidos que se identificavam como oposição e 39 por parlamentares em partidos independentes. É interessante avaliar considerando os grupos de iniciativas apresentados anteriormente:

Quadro 4 - Alinhamento político *versus* Grupo de proposta

Alinhamento Político	Tipo de proposta	N	%
Aliado	Propostas que visam alterar o ordenamento jurídico regulatório	12	19,7
	Propostas que visam fomentar o debate	49	80,3
Independente	Propostas que visam alterar o ordenamento jurídico regulatório	7	18
	Propostas que visam fomentar o debate	32	82
Oposição	Propostas que visam alterar o ordenamento jurídico regulatório	15	25
	Propostas que visam fomentar o debate	45	75

Fonte: Elaborada pelo autor com dados da Câmara dos Deputados e do Senado Federal

O Quadro 4 apresenta informações que indicam que o parlamentar compor a oposição ou a base do Governo não é um fator determinante para sua conduta propositiva, o que por conseguinte demonstra a possibilidade de atuação conjunta de grupos políticos antagônicos, restando como desafio ações de mobilização para engajá-los simultaneamente. Também confirma que todos os grupos apresentaram muito mais matérias que visam fomentar o debate (Grupo A). Isso pode ser um resultado do custo político de aprovação de projetos de leis, como já discutido por Ricci, que destaca que um projeto de lei é uma atividade simples, mas os custos aumentam quando se passa a buscar a sua aprovação¹⁹. Ainda segundo o autor, os custos aumentam à medida que se estende o tempo para a tomada de decisão, uma vez que também aumentam as chances de rejeição ou futuro veto.

Ao citado custo se somam as dificuldades impostas pelo desenho institucional do sistema político brasileiro, que permite ao Poder Executivo grande controle da produção de leis. Como já destacado, em média 80% das leis federais foram propostas do Presidente da República¹⁸. Portanto, se não houver interesse direto do Poder Executivo, uma proposta legislativa inicia seu trâmite com apenas 20% de chance de sucesso. Diante deste cenário, é possível compreender o motivo pelo qual todos os grupos parlamentares apresentaram menos propostas visando mudanças legais e regulatórias.

Para além dessa dinâmica que leva o Executivo a liderar a aprovação de matérias importantes no setor da saúde¹³, a preferência por matérias de mais fácil aprovação, como requerimentos e indicações, pode ser entendida dentro da ótica de Ciclos de Políticas Públicas de Clay e Schaffer, discutido por Shore e Wright. Este modelo propõe uma interpretação linear do processo de construção de políticas públicas, formado por 8 etapas consecutivas: existência do problema; reconhecimento do problema pelos tomadores de decisão; identificação de soluções para o problema; soluções comparadas; tomada de decisão (construção da política pública); implementação da política pública; avaliação dos impactos da política pública; e ajustes na política pública²².

Se considerarmos que a aprovação de uma lei corresponde à tomada de decisão/construção da política pública, estabelecemos que isto é a etapa cinco das oito mapeadas. Sob o mesmo raciocínio, as etapas dois a quatro estão no escopo de atuação do Congresso Nacional e a etapa um comporta as dinâmicas anteriores. Isso nos permite uma outra avaliação sobre o momento das discussões sobre doenças raras no legislativo brasileiro: a de que a quantidade de matérias do Grupo B demonstra que o problema já foi reconhecido pelos tomadores de decisões (etapa 2) e que a apresentação de matérias do Grupo A, ainda que menor, demonstra que já há iniciativas em busca de soluções (etapa 3), mas que a não aprovação até este momento de leis estabelecendo políticas públicas coloca o debate do legislativo brasileiro na quarta etapa do processo de formulação.

Por fim, ao observar do ponto de vista partidário, dentre os 18 parlamentares mais propositivos 38 matérias foram apresentadas por representantes do PSDB, 23 por representantes do Podemos, 14 por representantes do PDT, 13 por

representantes do PT e 11 por representantes do PP. No cenário geral, quando consideradas todas as matérias apresentadas na série histórica, o PSDB segue sendo o partido que mais apresentou matérias, sendo responsável por 55 delas, seguido pelo PT com 30, PP com 25, Podemos com 24 e PSB com 23.

De todas as matérias já apresentadas no Congresso Nacional sobre este tema, apenas duas se consolidaram em leis, ambas de autoria do ex-senador Eduardo Suplicy (PT/SP): o Projeto de Lei do Senado nº 159/2011, que criou o Dia Nacional de Doenças Raras e o Projeto de Lei do Senado nº 231/2012, que determinou o mínimo dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde que devem ser aplicadas em atividades que visam melhorias para o tratamento de doenças raras e negligenciadas.

Conclusões

Os resultados deste estudo indicam que a produção legislativa sobre doenças raras ainda é escassa e ainda precisa amadurecer para atingir os resultados esperados pelos pacientes e defensores da população rara brasileira. Ainda assim, há um expressivo crescimento desta pauta no Congresso Nacional, que já conta com parlamentares dispostos a propor mudanças ao cenário de dificuldades observados atualmente.

Apesar de não existir uma relação direta entre a biografia do parlamentar e a quantidade de propostas que ele está disposto a apresentar, há relação entre a atuação neste tema e a biografia. Parlamentares com formação em saúde, com relacionamento com organizações beneficentes sociais, e/ou com atuação na gestão pública de área correlata tendem a ser os mais ativos na busca por alternativas.

Além disso, as Frentes Parlamentares se mostraram um canal importante para aumentar o perfil propositivo, destacando a importância deste tipo de organização para a sociedade ou para grupos de interesse.

A necessidade social de pacientes de doenças raras demonstra ter sido percebida pelo legislativo brasileiro, mas enfrenta dificuldades para uma tomada de decisão sobre o tema, o que com base no modelo de Ciclo de Políticas Públicas indica que o desafio atual está na fase 4 (comparação de soluções) para só então seguir para a etapa 5, que corresponde a tomada de decisão sobre o tema. Se o acesso a

informações e soluções é escasso no mundo científico, pela própria natureza rara do tema, pode-se imaginar que a falta de orientação ou identificação de alternativas consensuais entre os parlamentares persista, destacando a importância de apresentação de matérias do Grupo B, que buscam fomentar o debate e por conseguinte educar parlamentares e demais agentes públicos. Se cumprido este desafio, há um ambiente positivo a ser explorado, uma vez que esta pauta demonstra unir grupos políticos antagônicos e independe de alinhamento ao Palácio do Planalto, o que pode facilitar sua aprovação e transformação em Lei.

Depreende-se, portanto, que a continuidade do debate é indispensável para a consolidação e eventual revisão de uma política pública holística para pacientes de doenças raras, mas é necessário que os atores interessados, como as associações de pacientes, busquem o consenso político sobre uma solução, para que assim sejam somadas forças em torno do avanço de uma proposta (PL, PLS, PLC, PEC, PDC) e os custos de compromisso e energia necessários para aprovação de uma Lei sejam divididos entre os parlamentares.

Bibliografia

1. Novaes HMD, Soárez PC. Doenças raras, drogas órfãs e as políticas para avaliação e incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde. *Sociologias*. [Internet] v *Sociologias* 21 (51) • May-Aug 2019, pp. 332-364, 2019.
2. Huyard C. How did uncommon disorders become 'rare diseases'? History of a boundary object. *Sociology of Health & Illness*. 2009, v. 31, n. 4, pp. 463-477.
3. Provost G. Homeless or orphan drugs. *American Journal of Hospital Pharmacy*. 1968, v. 25, pp. 609.
4. Barbosa R. Para uma nova perspectiva sobre o campo das doenças raras: a motivação das associações civis em debate. *Tempo, Actas de Saúde Coletiva*. Brasília, v. 9, n. 2, p. 57-74, 2015.
5. Barbosa R, Portugal S. O Associativismo faz bem à saúde? O caso das doenças raras. *Ciência & Saúde Coletiva*, Rio de Janeiro, v. 23, n. 2, p. 417-430. 2018

6. Lima MAFD; Gilbert ACB; Horovitz, DDG. Redes de tratamento e as associações de pacientes com doenças raras. *Ciênc. saúde coletiva*, Rio de Janeiro, v. 23, n. 10, p. 3247-3256, Oct. 2018.
7. Brasil. Agência Nacional De Vigilância Sanitária, Resolução Da Diretoria Colegiada – Rdc Nº 205, de 28 de Dezembro de 2017.
8. D'Ippolito P, Gadelha C. O tratamento de doenças raras no Brasil: a judicialização e o Complexo Econômico Industrial da Saúde. Dez.2019
9. Brasil. Ministério da Saúde. Portaria 199, de 30 de janeiro de 2014
10. Brasil. Lei nº 8.080, de 9 de Setembro de 1990
11. Rabeharisoa V. From representation to mediation: the shaping of collective mobilization on muscular dystrophy in France. *Soc Sci Med.* 2006 Feb [cited 2014 Oct 8];62(3):564-576.
12. Scheffer M, Bahia, L. Representação política e interesses particulares na saúde: o caso do financiamento de campanhas eleitorais pelas empresas de planos de saúde privados no Brasil. *Interface*, Botucatu, v. 15, n. 38, p. 947-956, 2011.
13. Bem I. Delduque M. Análise da Produção Legislativa em Saúde na 54ª e 55ª Legislatura do Congresso Nacional do Brasil: o que os parlamentares produzem em Saúde? *Physis: Revista de Saúde Coletiva*, v. 28, n. 04, 2018.
14. Costa AM, Pêgo RA, Saddi FC, Assis DAD et al. Saúde no poder legislativo: objeto, investigação e tendências. In: Teixeira CF, comp. *Observatório de análise política em saúde: abordagens, objetos e investigações*. Salvador: EDUFBA, pp. 113- 157, 2016.
15. Baptista TWF. Análise da produção legislativa em saúde no Congresso Nacional brasileiro (1990-2006). *Caderno de Saúde Pública*, Rio de Janeiro, v. 26, n. 1, p. 97-109, 2010.
16. Amaral Jr JLM. O Poder Legislativo na democracia contemporânea: a função de controle político dos parlamentos na democracia contemporânea. *Revista de Informação Legislativa*, v. 42, n. 168, p. 7-17, 2005.

17. Miranda GL. A Delegação aos Líderes Partidários na Câmara dos Deputados e o Senado Federal. *Revista de Sociologia e Política*, v. 18, n. 37, 2010.
18. Silva R, Araujo S. Ainda vale a pena legislar: A Atuação dos Agenda Holders no Congresso Brasileiro. *Rev. Sociol. Polít.*, Curitiba, v. 21, n. 48, p. 19-50, 2013.
19. Ricci P. O Conteúdo da Produção Legislativa Brasileira: Leis Nacionais ou Políticas Paroquiais. *Revista de Ciências Sociais*, Rio de Janeiro, Vol. 46, n. 4, p. 699 a 734, 2003.
20. Bampi L, Guilhem D, Alves E. Modelo Social. Uma nova abordagem para o tema da deficiência. *Revista Latino Americana de Enfermagem*. v. 1, n. 4, 2010.
21. Cortes SVL, Lima L. A contribuição da sociologia para a análise de políticas públicas. *Lua Nova: Revista de Cultura e Política*, n. 87, pp. 32-62, 2012.
22. Shore C, Wright S. Introduction. *Conceptualizing Policy: Technologies of Governance and the Politics of Visibility*. Capítulo 1 in *Policy Worlds*, volume 14. 2011
23. Souza C. Estado da arte da pesquisa em políticas públicas. In: Hochman G, Arretche M, Marques E. *Políticas públicas no Brasil* Rio de Janeiro: Fiocruz, p. 65-86. 2007.
24. Godoy AS. Introdução à pesquisa qualitativa e suas possibilidades. *Revista de Administração de Empresas*, São Paulo, v. 35, n. 2, p. 57-63, 1995.
25. Kripka, RML, Scheller M, Bonotto DL. Pesquisa documental na pesquisa qualitativa: conceitos e caracterização. *Revista de Investigaciones UNAD*, Bogotá, Colombia, v. 14, n. 2, p. 55-73, 2015.
26. Coradini O. Frentes Parlamentares, Representação de Interesses e Alinhamentos Políticos. *Revista de Sociologia e Política*, Curitiba, v. 18, n. 36, p. 241-256, 2010.

6. CONSIDERAÇÕES FINAIS

O estudo buscou reunir e avaliar as características sobre a criação de leis do Congresso Nacional sobre doenças raras sob a ótica da avaliação do processo de formulação de políticas públicas. Ao longo deste processo buscou-se entender a trajetória histórica das apresentações de propostas sobre o tema, quais são mais utilizadas por parlamentares e o motivo disso, e quais os parlamentares que mais se destacam na atuação em torno do tema.

É verdade, contudo, que em um primeiro momento esta pesquisa buscava percorrer um outro caminho, que foi inviabilizado pela dificuldade de acesso as informações e transparência. Em razão disso, segue sendo imprescindível para a evolução e bom desenvolvimento de diversas áreas do conhecimento, mas mais ainda para a saúde coletiva, que tal acesso seja facilitado pelo poder público.

Não obstante, ao longo do estudo observamos e discutimos, e em alguma medida vivenciamos, alguns aspectos que levam as associações de pacientes a buscarem a esfera legislativa e como ela de fato chega nesse ambiente. Além disso, também observamos as motivações dos parlamentares para atuar em torno do tema e como eles atuam.

Foi observado que o caminho percorrido por pacientes foi bastante semelhante nos EUA, na Europa e no Brasil: o reconhecimento de sua situação com distinta e rara, a alternativa do associativismo como forma de ampliar e coordenar sua atuação, conquista de avanços regulatórios e contínua disputa por melhoria na qualidade de vida e melhores tecnologias para o tratamento. O cenário brasileiro, contudo, começa a se destacar à medida que “doenças raras” e “medicamentos órfãos” não são regulados em paralelo, diferentemente dos outros exemplos, o que antecipa a percepção de que diante o tamanho, complexidade e peculiaridade do SUS, alguns aspectos do caminho percorrido em prol de uma política pública ampla para os pacientes serão peculiares do Brasil.

Com demandas constantes, a organização das associações de pacientes, ao trabalharem em favor do aumento da conscientização, atraem mais pessoas para somarem esforços em torno da pauta. Com mais apoiadores e incremento da demanda, foi demonstrado que as temáticas têm mais chances de serem notadas por

parlamentares. Uma vez que o tema ganha espaço, observou-se que parlamentar pode ao mesmo tempo atender a grupos específicos numa lógica paroquial, ao direcionar ações legislativas para pacientes de DR e atender também a grupos com interesses mais gerais, como os que defendem a racionalização da gestão do SUS e dos gastos na saúde pública, já que a judicialização ainda é uma realidade para os pacientes que enfrentam dificuldades no acesso a tratamento.

Assim, as associações de pacientes não só possuem um papel ímpar na conexão do paciente à uma rede de informação, apoio e, em alguns casos, de atendimento multidisciplinar, como passa a ter papel relevante também na formação da agenda política, já que a representação de minorias é um desafio em qualquer regime político, mas tem no modelo legislativo parlamentar um espectro que abre espaço para que tais grupos sejam representados na busca de melhorias.

Ao conseguir cooptar a atenção parlamentar e entrar na pauta de discussão do Congresso Nacional, observamos que a produção legislativa sobre doenças raras, apesar de crescente, ainda é escassa e precisa amadurecer mais para atingir os resultados esperados pelos pacientes e defensores da população rara brasileira.

Entendendo que o amadurecimento do debate está vinculado, neste caso, à participação de mais parlamentares nele, avaliamos as características comuns entre os mais propositivos. Apesar de não existir uma relação direta entre a biografia do parlamentar e a quantidade de propostas que ele está disposto a apresentar, restou comprovada a atuação nesse tema e a biografia. Parlamentares com formação em saúde, com relacionamento com organizações beneficentes sociais, e/ou com atuação na gestão pública de área correlata tendem a ser os mais ativos na busca por alternativas. Isso pode ser um resultado destas três características serem construídas em cenários postos em ambientes onde as demandas dos pacientes são mais vivenciadas e pautadas, o que auxilia no reforço da matriz cognitiva e normativa que reforça a construção de grupos de interesse.

Além disso, as Frentes Parlamentares se mostraram um canal importante para aumentar o perfil propositivo, destacando a importância deste tipo de organização para a sociedade ou para grupos de interesse. Mais uma vez, o fator de ação coletiva em torno das doenças raras fica destacado, reforçando que a coletividade é relevante para ganhos dentro e fora do Congresso Nacional.

Apesar do aparente avanço, grande parte da atuação segue concentrada em parlamentares específicos, o que prejudica uma tomada de decisão sobre o tema, especialmente num contexto onde os custos para aprovação de uma lei são tão altos. Ainda assim, com base no modelo de “ciclo de políticas públicas” explorado, ficou evidenciado que o desafio atual está na fase 4 (comparação de soluções) para só então seguir para a fase 5, que corresponde à tomada de decisão sobre o tema. Entendemos que o desafio para comparação de soluções se dá, em grande medida, pela dificuldade de acesso a informações e soluções sobre a questão mesmo no mundo científico.

Pela própria natureza rara do tema, pode-se imaginar que a falta de orientação ou identificação de alternativas consensuais entre os parlamentares persista, destacando a importância de apresentação de matérias do Grupo B, que buscam fomentar o debate e por conseguinte educar parlamentares e demais agentes públicos. Se superada esta fase, há um ambiente positivo a ser explorado, uma vez que esta pauta demonstra unir grupos políticos antagônicos e independe de alinhamento ao Palácio do Planalto, o que pode facilitar sua aprovação e transformação em Lei. Tal constatação atrelada à consideração sobre a hibridez da pauta rara quanto a políticas gerais e paroquiais pode ser um importante argumento para cooptar mais parlamentares a agenda das associações de pacientes no Congresso Nacional.

Depreende-se, portanto, que a continuidade do debate é indispensável para a consolidação de um consenso sobre os caminhos de uma política pública holística para pacientes de doenças raras. Uma vez que haja mais parlamentares informados, e em acordo quanto a uma solução, a soma de forças em torno do avanço de uma proposta (PL, PLS, PLC, PEC, PDC) e os custos de compromisso e energia necessários para aprovação de uma Lei podem ser divididos e criando um espaço mais fácil para atuação deles.

O incremento da atuação coletiva na esfera social ajuda a aproximar o tema do Legislativo e a pautá-lo no Congresso. A atuação das AP dentro do Legislativo é igualmente relevante diante seu papel de especialistas em sua relação de com deputados e senadores, impulsionando-os ao debate ao mesmo tempo que os nutre

com informações técnicas e de cenário, necessárias para o avanço das discussões à luz do ciclo de políticas públicas.

Ao passo que mais atores são necessários para reforçar a agenda, engajar parlamentares que tenham pelo menos uma das características biográficas destacadas ajudará na identificação de novos aliados, ajudando na divisão dos custos para aprovação de uma lei.

É importante destacar que o caminho da arena legislativa é buscado como alternativa à não solução de problemas pelo executivo. Nesse sentido, cabe ao Ministério da Saúde, como gestor principal do SUS a avaliação quanto aos ganhos em deixar o debate ocorrer no Congresso Nacional, onde os resultados podem ser imprevisíveis, ou criar canais de diálogo e tomada de decisão mais eficientes, aumentando previsibilidade e adequabilidade da PNAIPDR para a população acometida por doenças raras no Brasil.

7. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

AMARAL JÚNIOR, José Levi Mello do. O Poder Legislativo na democracia contemporânea: a função de controle político dos parlamentos na democracia contemporânea. Revista de Informação Legislativa [online], v. 42, n. 168, p. 7-17, 2005. Disponível em: <http://www2.senado.leg.br/bdsf/handle/id/905>

BAMPI, Luciana Neves da Silva; GUILHEM, Dirce; ALVES, Elioenai Dornelles. Social Model: A New Approach of the Disability Theme. Revista Latino-Americana de Enfermagem [online]. 2010, v. 18, n. 4 pp. 816-823. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0104-11692010000400022>

BAPTISTA, Tatiana Wargas de Faria. Análise da produção legislativa em saúde no Congresso Nacional brasileiro (1990-2006). Cadernos de Saúde Pública [online]. 2010, v. 26, n. 1, pp. 97-109. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0102-311X2010000100011>

BARBOSA, Rogério. Para uma nova perspectiva sobre o campo das doenças raras: a motivação das associações civis em debate. Tempus, Actas de Saúde Coletiva. Brasília, v. 9, n. 2, p. 57-74, 2010.

BARBOSA, Rogério. Sílvia, Portugal. O Associativismo faz bem à saúde? O caso das doenças raras. Ciência & Saúde Coletiva, Rio de Janeiro, v. 23, n. 2, p. 417-430. 2018

BEM, Ivan. DELDUQUE, Maria. Análise da Produção Legislativa em Saúde na 54^a e 55^a Legislatura do Congresso Nacional do Brasil: o que os parlamentares produzem em Saúde. Fundação Oswaldo Cruz. Brasília. 2018

BRASIL. Agência Nacional De Vigilância Sanitária, Resolução Da Diretoria Colegiada – RDC Nº 205, De 28 De Dezembro De 2017

BRASIL. Constituição (1988). Constituição da República Federativa do Brasil. Brasília, DF: Senado Federal: Centro Gráfico, 1988. Seção 2. Art. 196

BRASIL. Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de tecnologias no Sistema Único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde, e dá outras providências. Diário Oficial da União 2011; 22 dez.

BRASIL. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Altera a Lei no 8.080, de 19.09.1990, para dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de

tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde. Diário Oficial da União 2011; 24 abr.

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.

BRASIL. Lei nº 8.080, de 9 de Setembro de 1990

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria 199, de 30 de janeiro de 2014

COLEBATCH, Hal. Policy. Third Edition. Buckingham: Open University Press. 2009.

CORADINI, Odaci. Frentes Parlamentares, Representação de Interesses e Alinhamentos Políticos. Revista de Sociologia e Política, Curitiba, v. 18, n. 36, p. 241-256, jun. 2010

CORTES, Soraya Vargas; LIMA, Luciana Leite. A contribuição da sociologia para a análise de políticas públicas. Lua Nova: Revista de Cultura e Política, n. 87, pp. 32-62, 2012.

COSTA, Ana Maria *et al.* Saúde no poder legislativo: objeto, investigação e tendências. In: Teixeira CF, comp. Observatório de análise política em saúde: abordagens, objetos e investigações. Salvador: EDUFBA, pp. 113- 157, 2016.

D'IPPOLITO, Pedro. GADELHA, Carlos. O tratamento de doenças raras no Brasil: a judicialização e o Complexo Econômico Industrial da Saúde. Dez.2019

FONSECA Rebecca Vilela Gonçalves da. A construção de uma Política Pública para doenças raras no Brasil [trabalho de conclusão de curso]. Brasília: Universidade de Brasília; 2014.

GODOY, Arilda Schmidt. Pesquisa qualitativa: tipos fundamentais. Revista de Administração de Empresas [online]. 1995, v. 35, n. 3, pp. 20-29. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0034-75901995000300004>

HUYARD, Caroline. How did uncommon disorders become 'rare diseases'? History of boundary object. Sociology of Health & Illness Journal. Blackwell Publishing. Massachusetts, EUA vol. 31 n. 4.

IRIART, Jorge et al. Da busca pelo diagnóstico às incertezas do tratamento: desafios do cuidado para as doenças genéticas raras no Brasil. Ciênc. saúde coletiva, Rio de Janeiro, v. 24, n. 10, p. 3637-3650

KLIJN, Erik e KOPPENJAN, Joop. *Governance Networks in Public Sector*. Routledge. 2016

KRIPKA, Rosana; SCHELLER, Morgana; BONOTTO, Danusa. Pesquisa documental na pesquisa qualitativa: conceitos e caracterização. *Revista de Investigaciones UNAD*, Bogotá, Colombia, v. 14, n. 2, p. 55-73, 2015.

LIMA, Maria Angelica de Faria Domingues de; GILBERT, Ana Cristina Bohrer; HOROVITZ, Dafne Dain Gandelman. Redes de tratamento e as associações de pacientes com doenças raras. *Ciênc. saúde coletiva*, Rio de Janeiro, v. 23, n. 10, p. 3247-3256, Oct. 2018.

MIRANDA, Geralda Luiza de. A delegação aos líderes partidários na Câmara dos Deputados e no Senado Federal. *Revista de Sociologia e Política* [online]. 2010, v. 18, n. 37, pp. 201-225. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0104-44782010000300013>

MOREIRA Martha et al. Quando ser raro se torna um valor. O ativismo político por direitos das pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde. *Caderno de Saúde Pública* [online]. 2018, v. 34, n. 1. Disponível: <https://doi.org/10.1590/0102-311X00058017>

MORO, Adriana. NOELA, Invernizzi. A tragédia da talidomida: a luta pelos direitos das vítimas e por melhor regulação de medicamentos. *História, Ciências, Saúde – Manguinhos*, Rio de Janeiro, v. 24, n.3, p. 603-622, 2017

Novaes, Hillegonda Maria Dutilh e Soárez, Patrícia Coelho de Doenças raras, drogas órfãs e as políticas para avaliação e incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde. *Sociologias* [online]. 2019, v. 21, n. 51, pp. 332-364. Disponível em: <<https://doi.org/10.1590/15174522-0215121>>.

OLIVEIRA Cláudio, GUIMARÃES Maria, MACHADO Rejane. Doenças raras como categoria de classificação emergente: o caso brasileiro. *Data Grama Zero* 2012; 13(1):1-10.

OLIVEIRA, Vanessa Elias de. Saúde Pública e Políticas Públicas: campos próximos, porém distantes. *Saúde e Sociedade* [online]. 2016, v. 25, n. 4, pp. 880-894. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0104-12902016172321>.

PROVOST, George. Homeless or orphan drugs, *American Journal of Hospital Pharmacy*, 25, p. 609.

RABEHARISOA Vodolona et al. From “politics of numbers” to “politics of singularisation”: Patients’ activism and engagement in research on rare diseases in France and Portugal. *Biosocieties* [Internet]. v.9, p. 194-217. 2014. Disponível em: <https://doi.org/10.1057/biosoc.2014.4>

RABEHARISOA Vodolona, DONOVAN Orla O’. From Europeanization to European Construction. *European Societies*. França. v.16, n. 5, p.717-741. 2014.

RABEHARISOA, Vodolona. From representation to mediation: The shaping of collective mobilization on muscular dystrophy in France. *Social Science & Medicine*. França. v. 62, n. 3, p. 564-576. 2006. Disponível em: <https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2005.06.036>

RICCI, Paolo. O Conteúdo da Produção Legislativa Brasileira: Leis Nacionais ou Políticas Paroquiais. *Revista de Ciências Sociais*, Rio de Janeiro, Vol. 46, n. 4, p. 699 a 734, 2003

SANTOS, Thais Teixeira; BARROS, Antonio Teixeira de. Representação política das pessoas com deficiência na Câmara dos Deputados: a percepção dos representados. *Revista Brasileira de Ciência Política* [online]. 2018, n. 26, pp. 223-271. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/0103-335220182606>.

SARTORI JUNIOR, Dailor Sartori et al. Judicialização do acesso ao tratamento de doenças genéticas raras: a doença de Fabry no Rio Grande do Sul. *Ciência & Saúde Coletiva* v. 17, n. 10, pp. 2717-2728. 2012. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S1413-81232012001000020>

SCHEFFER, M.; BAHIA, L. Representação política e interesses particulares na saúde: o caso do financiamento de campanhas eleitorais pelas empresas de planos de saúde privados no Brasil. *Interface*, Botucatu, v. 15, n. 38, p. 947-956, 2011.

SHORE Cris, WRIGHT Susan. Introduction. *Conceptualizing Policy: Technologies of Governance and the Politics of Visibility*. Chapter 1 in *Policy Worlds*, volume 14. 2011

SILVA, Rafael. ARAÚJO, Suely. Ainda vale a pena legislar: A Atuação dos Agenda Holders no Congresso Brasileiro. *Rev. Sociol. Polít.*, Curitiba, v. 21, n. 48, p. 19-50, dez. 2013

SOUZA, Celina. Políticas públicas: uma revisão da literatura. Sociologias [online]. 2006, n. 16, pp. 20-45. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S1517-45222006000200003>

SOUZA, Ítala et al. Doenças genéticas raras com abordagem qualitativa: revisão integrativa da literatura nacional e internacional. Ciênc. saúde coletiva, Rio de Janeiro, v. 24, n. 10, p. 3683-3700. 2019

TEIXEIRA, Maria Gracinda Carvalho; ORNELAS, Antonio Lima. formulação de política pública de saúde: Análise do projeto teias à luz do modelo dos múltiplos fluxos de kingdon. Revista Eletrônica de Administração [online]. 2018, v. 24, n. 1, pp. 179-207. Disponível em: <<https://doi.org/10.1590/1413-2311.201.66388>>.

YOUNG, Iris Marion. Representação política, identidade e minorias. Lua Nova: Revista de Cultura e Política [online]. 2006, n. 67, pp. 139-190. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0102-64452006000200006>.