

## Doenças raras: quem paga qual conta?

Anete Trajman <sup>1,2</sup>

doi: 10.1590/0102-311X00145719

O debate entre sanitaristas, governantes e economistas sobre as doenças raras frequentemente é orientado para o impacto orçamentário da incorporação, pelos sistemas de saúde de caráter público e suplementar, dos chamados medicamentos órfãos. Trata-se de medicamentos que, por se restringirem a um público-alvo reduzido e necessitarem elevado investimento na pesquisa tecnológica para o seu desenvolvimento, são pouco lucrativos e de insuficiente ou nenhum interesse para as indústrias farmacêuticas. Essa é uma questão sem dúvida importante, mas há outras dimensões do impacto econômico e social das doenças raras que requerem estudo.

O artigo de Pinto et al. <sup>1</sup>, publicado neste fascículo de CSP, avança nesse debate, delineando o perfil das crianças e adolescentes com três dessas condições raras e de seus cuidadores, e mais importante, evidenciando o impacto financeiro e social dessas doenças na família. O que vemos são famílias que, além de enfrentarem o sofrimento de lidar com uma criança doente, se endividam como consequência da perda de renda e aumento de gastos. Perda de renda por indisponibilidade para trabalhar, e aumento dos gastos pelos custos elevados do transporte (muitos moram longe) e necessidade de contratação de cuidadores para a criança doente ou para as demais crianças da família, entre outros. Não surpreende o achado de que a principal carga recaia sobre as mães. Essas perdas e suas consequências não são resolvidas com os incentivos financeiros governamentais.

No que pese o contexto particular em que os dados foram coletados, um hospital pediátrico de referência no Município do Rio de Janeiro, e a seleção de uma clientela majoritariamente pertencente a uma associação representativa, os autores trazem para a discussão exemplos do mesmo fenômeno relacionado a outras doenças raras, em diferentes cenários e populações.

A iniciativa de estimar os custos da doença sob a perspectiva do paciente e da família é louvável. Por serem trabalhosos, custosos e necessitarem de consentimento informado por parte dos entrevistados, os estudos de avaliação econômica em saúde frequentemente deixam de lado esse aspecto, para focar exclusivamente na perspectiva do financiador. Não fazia parte do escopo do estudo avaliar a qualidade de vida das crianças ou dos cuidadores. Entretanto, não é difícil imaginar, com os dados apresentados, o impacto da doença nesse quesito não avaliado.

<sup>1</sup> Universidade Federal do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, Brasil.

<sup>2</sup> McGill University, Montreal, Canada.



A cada ano, cerca de 250 novas doenças raras são descritas, com o refinamento do conhecimento da fisiopatologia e a abordagem genômica das doenças. Dessa forma, doenças raras não são tão raras assim, principalmente quando se considera o total de pessoas acometidas por estas diferentes doenças. Nas últimas décadas, o desenvolvimento tecnológico tem trazido a possibilidade de tratamento de muitas doenças raras. As associações representantes dos pacientes vivendo com essas doenças e os ativistas na área da saúde têm impulsionado as pesquisas para o desenvolvimento de novos medicamentos. Entretanto, não basta ter acesso ao medicamento, como claramente nos mostram Pinto et al. É preciso garantir que os melhores cuidados sejam oferecidos e, para isto, mais do que incentivos monetários, é preciso viabilizar a intensa jornada de dedicação dos cuidadores.

A Agenda 2030 para o desenvolvimento sustentável da Organização das Nações Unidas<sup>2</sup> pretende não deixar ninguém para trás (*"leaving no one behind"*). Inequidades de gênero, sociais, raciais e religiosas precisam ser superadas. O artigo de Pinto et al. nos faz refletir sobre muitas dessas inequidades. Apenas um debate envolvendo as instituições acadêmicas, os tomadores de decisão, as agências regulatórias, a indústria farmacêutica e, sobretudo, a sociedade civil por meio do empoderamento individual e das associações de *advocacy*<sup>3,4,5</sup> pode responder às perguntas que ficam ao final: Quem é, de fato, órfão: a droga, a doença ou a família acometida? Quem deve pagar a conta? Quais custos – além dos financeiros – devem ser apresentados?

### Informação adicional

ORCID: Anete Trajman (0000-0002-4000-4984).

1. Pinto M, Madureira A, Barros LBP, Nascimento M, Costa ACC, Oliveira NV, et al. Cuidado complexo, custo elevado e perda de renda: o que não é raro para as famílias de crianças e adolescentes com condições de saúde raras. *Cad Saúde Pública* 2019; 35:e00180218.
2. United Nations. Sustainable Development Knowledge Platform. <https://sustainabledevelopment.un.org/> (acessado em 12/Mai/2018).
3. Aymé S, Kole A, Groft S. Empowerment of patients: lessons from the rare diseases community. *Lancet* 2008; 371:2048-51.
4. Black AP, Baker M. The impact of parent advocacy groups, the Internet, and social networking on rare diseases: the IDEA League and IDEA League United Kingdom example. *Epilepsia* 2011; 52 Suppl 2:102-4.
5. Moreira MCN, Nascimento MAF, Horovitz DDG, Martins AJ, Pinto M. Quando ser raro se torna um valor: o ativismo político por direitos das pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde. *Cad Saúde Pública* 2018; 34:e00058017.