

## O Associativismo faz bem à saúde? O caso das doenças raras

Is “associativism” good for one’s health? The case of rare diseases

Rogério Lima Barbosa <sup>1</sup>  
Sílvia Portugal <sup>1</sup>

**Abstract** *Based on the question of an inspiring work – “Is the Market good for one’s Health?”, this paper poses a similar question, centered on “associativism” (belonging to a labor group or association) and the field of rare diseases. Starting from the research carried out in the scope of the Master’s Degree in Sociology of the School of Economics of the University of Coimbra, this text puts into perspective the formulations created for the field of genetic conditions that, mainly, depart from a Eurocentric vision. The field of rare diseases is analyzed, identifying the roles, relationships and motivations of the different actors, namely, civil associations, pharmaceutical industry, academy, government, and families. The analysis highlights the preponderance of the market and the production of medicines, identifying a governance model – Utility Model of Care – in which the person who suffers and his/her family are left devoid of their subjectivity and transmuted into medication and market agents.*

**Key words** *Rare diseases, Care, “Associativism”, Governance*

**Resumo** *Baseado no questionamento “O Mercado faz bem à Saúde?” de um trabalho inspirador, este artigo realiza um questionamento semelhante, centrado no associativismo e no campo das doenças raras. Partindo da pesquisa realizada no âmbito do Mestrado em Sociologia da Faculdade de Economia da Universidade de Coimbra, este texto coloca em perspectiva as formulações criadas para o campo das condições genéticas que, majoritariamente, partem de uma visão eurocentrista. Analisa-se o campo das doenças raras, identificando os papéis, as relações e as motivações dos diferentes atores, nomeadamente, associações civis, indústria farmacêutica, academia, governo e famílias. Da análise sobressai a preponderância do mercado e da produção de medicamentos, identificando-se um modelo de governação – Modelo Utilitário de Cuidado –, no qual a pessoa que sofre e as suas famílias são esvaziadas da sua subjetividade e transmutedas em medicação e agentes de mercado.*

**Palavras-chave** *Doenças raras, Cuidado, Associativismo, Governação*

<sup>1</sup> Universidade de Coimbra.  
Av. Dias da Silva 165. 3004-  
531 Coimbra Portugal.  
rogerio.limab@gmail.com

## Introdução

Este artigo analisa os atores presentes no campo do cuidado das doenças raras – Estado, mercado, academia e famílias –, avaliando o papel de cada um e as relações entre eles. Centra-se, sobretudo, na análise das associações da sociedade civil. As abordagens disponíveis, no interior das ciências sociais, possuem a particularidade de generalizarem as conclusões sobre as associações civis de doenças raras a partir de uma visão europeia e olharem maioritariamente para as grandes associações, que trabalham numa óptica de *advocacy*. Este texto pretende ser um contributo para alargar esta visão.

O artigo toma como base uma pesquisa empírica desenvolvida no âmbito de uma dissertação de Mestrado em Sociologia, sob o título *Pele de Cordeiro? Associativismo e Mercado na produção de cuidado para as doenças raras*<sup>1</sup>. O trabalho empírico conjugou a análise documental, entrevistas em profundidade com dirigentes de Associações e observação direta. Os dados obtidos resultam da análise sistemática dos sites de associações prestadoras de apoio para os interessados na Neurofibromatose (NF); da realização de entrevistas em profundidade com dirigentes associativos; e da experiência pessoal do coautor deste artigo – Rogério Lima, como membro e dirigente da associação AMAVI ([www.amavi.org](http://www.amavi.org)). Três associações de Neurofibromatose atuantes no Brasil, Associação de NF de São Paulo, em São Paulo, <http://nfsp.org/>, Associação Mineira de Apoio aos Portadores de NF, em Belo Horizonte, <http://amanf.org.br/> e o Centro Nacional de NF, no Rio de Janeiro, <http://cnnf.org.br/>, em comparação com a Associação Portuguesa de NF, <http://www.apnf.eu/>, em Portugal, e a The Neuro Foundation - <http://www.nfauk.org/>, no Reino Unido. Percebe-se que o modelo entre elas e com as associações que lidam com outras doenças é muito parecido. Grande volume de esforço na divulgação de informações para pacientes ou profissionais de saúde; contatos telefônicos, e-mails, endereço comercial disponíveis e link para as mídias sociais ativos. A experiência de dirigente de associação de Rogério Barbosa permitiu numerosos contatos com as empresas farmacêuticas e a forma de relacionamento entre elas e as associações que lidam com o *advocacy* ou com a garantia de medicamento para os pacientes. A análise das associações de NF também possui a intenção de entender o porquê os pacientes com NF, sendo

os mais numerosos de entre aqueles que possuem alguma doença genética, não têm a mesma representatividade de outras doenças, cuja incidência e quantitativo de pessoas afetadas é muito menor. Das associações em atividade no Brasil, apenas não foi possível entrevistar somente uma. O seu percurso associativo foi fundamental para enquadrar e questionar o conhecimento bibliográfico, sublinhando a importância da reflexividade sociológica, mas, também, muitas vezes o descompasso da teoria face à realidade vivida. Considerando que a produção de conhecimento para o campo do desenvolvimento de pesquisas biomédicas para as doenças raras possui grande influência dos pais, mães, familiares e pacientes, o autor junta-se a essas pessoas que se tornam “especialistas pela experiência”<sup>2-4</sup> e são consideradas como partes fundamentais do processo coletivo de produção e circulação de conhecimento<sup>5</sup>.

Com base nesta pesquisa, este artigo apresenta algumas reflexões sobre o campo das doenças raras, chamando a atenção para a prevalência de uma intervenção centrada na procura do medicamento, na qual os interesses mercantis dominam e a Lógica do Cuidado, integral e centrado na pessoa, é substituído pela Lógica da Escolha, individualizada e centrada no mercado<sup>6</sup>. A análise das relações que existem entre os agentes do campo das doenças raras leva à identificação de um *Modelo Utilitário do Cuidado*, no qual os valores do capital fazem do paciente a matéria-prima para a medicação, e da família os agentes de produção para a comercialização. Neste caminho, as necessidades do paciente são invisibilizadas, a doença é vinculada diretamente ao medicamento e as abordagens multidisciplinares esquecidas. Ao pensar-se que a medicação é a forma de tratamento para quem sofre com alguma doença rara, tanto as associações de pacientes, quanto o Estado, desenvolvem as suas atividades para a produção de pesquisas e, posteriormente, venda de remédios<sup>7,8</sup>.

O presente artigo divide-se em três pontos: num primeiro ponto, analisa-se o associativismo ligado às doenças raras, as suas formas organizativas, eixos de atuação e relação com outros atores. Destaca-se a sua relação com o mercado, analisada em maior detalhe no segundo ponto, no qual se identifica o modo como a ação mercantil contamina a intervenção de todos os agentes do campo. Finalmente, na conclusão, discutem-se as consequências da prevalência de um Modelo Utilitário do Cuidado na definição do campo das doenças raras.

### Doenças raras e associativismo

A análise realizada revela que a concepção de doenças raras se confunde com a própria história e forma de atuação das associações. De acordo com a definição da EURORDIS (A voz dos pacientes de doenças raras na Europa. <http://www.eurordis.org/>), doença rara é aquela que afeta 1 em cada 2000 indivíduos, contudo, essa definição não é unânime e possui diferentes concepções, desde a cronicidade da doença até à necessidade de um atendimento multidisciplinar. Essa definição de doença rara fornece uma importante fonte de mobilização para as associações. Ao definir a incidência é possível chegar à população e às autoridades através de uma “política por números”<sup>9</sup>. O uso do critério estatístico divulgado pela EURORDIS é uma ferramenta para conseguir, principalmente, sensibilizar o Estado para a necessidade de intervenção. Somente pela definição “objetiva” da prevalência é possível criar critérios sobre a população, que podem ser usados em dois sentidos. O da singularidade, para demonstrar que a doença não é comum e faz com que a realidade vivida pelo doente e seus familiares seja de difícil conhecimento, uma vez que impacta 1 em cada 2000 nascidos, e o da generalidade, quando há a partilha da doença com outros indivíduos – no mesmo dado estatístico, 2000 pessoas vivem a mesma situação de exclusão, discriminação e falta de tratamento. Conhecendo, portanto, o tamanho da população é fácil chegarmos ao total de pessoas afetadas. No caso brasileiro, de acordo com o informativo MDR n.º 9 (Disponível em [http://www.amavi.org/site/arquivos/Ed09\\_MOVIMENTO\\_DR\\_JanFev.pdf](http://www.amavi.org/site/arquivos/Ed09_MOVIMENTO_DR_JanFev.pdf)), “[são] mais de 15 milhões de famílias brasileiras que convivem com alguma doença rara”. Ao centrarem-se neste critério, as associações acabam por direcionar a quase totalidade de seus esforços para o *advocacy* na esfera política. E, apesar da esperança ser apenas um dos sentimentos que passam a fazer parte da realidade das pessoas que convivem com o diagnóstico<sup>10,11</sup>, também estão presentes o medo, a frustração, a resignação e tantos outros que impulsionam a transformação do indivíduo. Essa transformação faz mais sentido ao enxergarmos pela lente de Caprara<sup>12</sup> e localizarmos na ansiedade produzida pelas mudanças ou novidades a volta das pessoas, como um fator de autoreflexão e reconstrução da própria identidade. Como afirma um entrevistado:

*Quando minha filha nasceu, o que se tinha nos livros, pois não existia internet naquela época, era um prognóstico horrível de múltiplos neurofibro-*

*mas, dessas pessoas que apareceram recentemente no papa, lembra? Pessoas que nunca se trataram, que nunca tiveram chances de fazer o tratamento, e que os tumores cresceram enormemente. E essas pessoas ficam, então, com aqueles quadros que os livros fazem questão de mostrar como os piores casos. Não mostravam os casos benignos, nem os casos simples, mostravam o pior caso possível. Então, evidentemente, isso causou um grande impacto em mim. (Entrevistado 2)*

A quantidade de informações novas que essas pessoas começam a acessar além de produzirem a ansiedade como o sentimento que ultrapassa o caráter passivo do medo e da esperança e avança para uma necessidade do próprio corpo, fazem com que elas encontrem um processo reflexivo onde pela análise dos “vários começos” tentam entender o presente<sup>13</sup>. O motivo desse retrocesso é motivado pela busca das respostas para os porquês – Porque aconteceu comigo? Com a minha criança? É, portanto, em um impulso de buscar as respostas, que geralmente acham que vão encontrar nos genes, que as pessoas começam a se organizar e por fazer da vida política<sup>14</sup>.

*A associação foi tão importante na minha vida que me fez melhorar minha qualidade de vida em todos os níveis. Eu não faço uso do tabaco, não faço uso de bebidas alcoólicas, qualidade de vida em todos os níveis. **Eu deixei de ser um glutão para ser um gourmet.** (Entrevistado 3; realçado nosso)*

A pesquisa em torno dos genes inaugura uma nova forma de associativismo que se distingue dos modelos de ativismo terapêutico que se iniciaram com os grupos de autoajuda<sup>15</sup>. Em um apanhado histórico do ativismo terapêutico, vemos que as organizações de pacientes partiram de um modelo de autoajuda (O modelo mais conhecido deste tipo de ativismo é o dos Alcoólicos Anônimos) que, por serem demasiado centradas no indivíduo, avançam para um segundo modelo com ênfase na defesa de direitos e ligados às pessoas com deficiência, como as comunidades dos surdos que assumiam a surdez como uma identidade, e, em seguida, por volta dos anos 80, surgiu o modelo de coletivos organizados em torno de determinadas doenças e na busca da medicalização, como os movimentos da AIDS. Por fim, surge um novo modelo ao redor das doenças raras, que emerge no início dos anos 2000 e faz da figura do especialista pela experiência como o ponto central para a produção de “conhecimento (bio) médico onde são eles mesmos os objetos, sujeitos e produtores/detentores de conhecimento”<sup>13</sup>. Na mesma serra que Filipe, apesar da construção de alguns entendimentos como o “paciente especia-

lista<sup>3,9</sup>, ainda há muito o que se investigar sobre essas associações, principalmente a partir das pessoas de “dentro”<sup>16-18</sup>. Neste sentido, tomamos como destaque o Modelo que foi proposto para o campo das doenças raras. Tal modelo surge de um trabalho comparativo entre as associações de Portugal e França<sup>9</sup>.

Ao analisarem as Organizações de Pacientes de doenças raras daqueles países, os autores encontram uma forma de ativismo colaborativo, entre pacientes e especialistas, que denominam como “Modelo Híbrido Coletivo (MHC)” (Tradução livre de *Hybrid Collective Model*). Esse modelo tem duas características principais: a constituição de comunidades que alinham pacientes e especialistas na “guerra contra a doença”<sup>3</sup>, e a combinação de interesses entre os especialistas e as Organizações de Pacientes na produção de conhecimento sobre as doenças. O conceito de MHC, portanto, é a configuração de uma relação entre pesquisadores e pacientes, na qual estes se confirmam como “experts pela experiência” ou “pacientes especialistas” com o poder de influenciar os mecanismos para o melhor tratamento e melhoria da qualidade de vida. Faz-se necessário esclarecer que “pacientes”, para estes autores, não se restringem às pessoas que possuem o diagnóstico, uma vez que as organizações de pacientes possuem a característica de ter o grande envolvimento de pais e mães<sup>7</sup>.

Na França, por exemplo, a AFM, criada em 1958, participou ativamente na investigação para pôr fim ao que chamou de “o círculo vicioso da ignorância e indiferença”. Ele foi fundamental para a invenção do MHC, que se consolidou ao longo dos anos 1980 e 1990, e na criação da Aliança Francesa *Maladies Rares* e de *EURORDIS*. Ele contribuiu para o desenvolvimento de laços fortes, tanto em França como noutros países europeus, entre a causa de doenças raras e a criação do MHC<sup>9</sup>.

Como as organizações de pacientes, principalmente a *EURORDIS*, foram a base para a identificação do MHC, é prudente trazer para o debate não só a influência das associações nas políticas desenvolvidas para doenças raras, como também as motivações que podem ir para além do MHC.

Muito há ainda a estudar sobre as Organizações de Pacientes<sup>16</sup> mas, por agora, destacamos duas invisibilidades que é necessário combater: a da pessoa que tem o diagnóstico e a da intervenção do mercado.

Apesar dos pais/mães e a família sofrerem com o diagnóstico da doença devido à falta de

informação, a proposta do paciente alargado (pais, mães e demais interessados) pode encobrir aquele que sofre os sintomas da doença, o próprio paciente. Mesmo que a família sinta o efeito da doença, ela não sente a complexidade de seus sintomas e, enquanto a preocupação estiver exclusivamente na ação das associações e seus resultados na sociedade, a pessoa que sofre os sintomas da doença continuará sendo invisível, assim como os sentimentos e as apreensões de seus familiares e grupos de apoio mais próximos continuarão relegados.

As abordagens referenciadas sobre as Organizações de Pacientes também não facilitam o entendimento acerca da influência que a indústria de biotecnologia exerce sobre essas associações. Assim, é necessária uma nova abordagem a essas associações, porque: a) A alardeada relação entre doença e medicamento esconde as necessidades dos próprios pacientes. Tendo em vista que a doença rara tem uma necessidade de acompanhamento multidisciplinar e que impacta em outros campos, como a construção da identidade, luta contra o preconceito e a construção da cidadania, o tratamento medicamentoso é apenas uma parte de todo o tratamento e está disponível para menos de 3% das doenças raras<sup>19</sup>; b) O foco que as Organizações de Pacientes possuem no desenvolvimento dos chamados medicamentos órfãos<sup>18</sup> pode fazer do paciente a resposta para o lucro. Desde 2010, as projeções para o mercado das drogas órfãs somente ficam atrás dos medicamentos genéricos e, portanto, o discurso que a Indústria Farmacêutica não tem interesse neste campo é antigo e falso; c) A utilização do termo organização refere-se a instituições privadas ou públicas, mais às privadas que às públicas, que possuem os seus próprios ditames e filosofias de trabalho. Sendo a associação civil uma reunião de indivíduos, ao chamá-las de organizações de pacientes<sup>20</sup>, os laços que são (re)construídos entre as pessoas quase que diariamente são substituídos pela lógica da hierarquização e produção; d) Percebe-se que, no Brasil, em discursos e eventos para a comunidade, começa o crescente uso do termo Raro/a(s), para identificar o paciente, a família e toda a comunidade. O caminho de aceitação do raro como identidade é arriscado, dado que pode tirar a pessoa da construção de um cidadão ativo para inseri-lo numa condição de diferença, exclusão e, ainda, centrado na doença; e) a identificação da influência da Biotecnologia como um assunto transversal. A evidênciação de uma influência comum e que não seja focada no conceito de rara é relevante para a conscienciali-

zação além dos números, e apoia a convergência das ações para um campo de atuação comum entre todos, uma vez que “A forma das questões comuns não é autoevidente. A partilha de questões transversais não existe naturalmente: Elas devem ser definidas, trabalhadas e negociadas”<sup>17</sup>.

Em 2010, a revista Forbes divulga o grande mercado para doenças raras e o crescente interesse das indústrias farmacêuticas sob o título de reportagem: Drogas para Doenças Raras: Um mercado de US\$ 1 trilhão? No site da Febrifar (Federação Brasileira das Redes Associativas e Independentes de Farmácias) também encontramos uma notícia sobre o mercado aquecido das doenças raras sob o título *Indústrias farmacêuticas buscam o lucro em drogas para doenças raras* (<http://febrifar.com.br/industrias-farmacêuticas-buscam-lucro-em-drogas-para-doencas-raras/>). Notícias mais recentes sobre o mercado e a projeção de faturamento podem ser encontrados tanto no Financial Times *Sanofi eyes acquisition in market for rare disease drugs*. Quanto no site da organização *Global Genes “Future of Global Rare Disease – Treatment Market by 2016-2024”*.

O consenso que o termo Organização é da área empresarial pode ser colocado a prova num teste simples. Ao inserir “define organization” em um site de busca como o Google, por exemplo, o primeiro dicionário a aparecer é ligado aos negócios (Business Dictionary). Ao fazer o mesmo processo com “define association” o primeiro link refere-se a um dicionário livre (The Free Dictionary) e o Business Dictionary da pesquisa anterior aparece em nono dos dez links da página.

Cabe ressaltar a dificuldade em aceitar o uso de Organizações de Pacientes como sinônimos de Associações Cíveis para Doenças Raras. Não se propõe o abandono do termo, pelo contrário, a sua identificação direta facilita o entendimento das ações que desenvolvem. Contudo, a ideia em incluir todas as associações de doenças raras no mesmo “balaio”, e sob as mesmas perspectivas, deve evoluir para a identificação de cada tipo de associação uma vez que a sua forma de atuação e de constituição são diferentes e influenciam, inclusive, a sua relação com a indústria. Neste sentido, é possível identificar a atuação das associações em eixos de atuação, como destacado abaixo: *advocacy*, garantia de vida e qualidade de vida (Quadro 1).

Os eixos apresentados tencionam apenas explicitar a diferenciação entre as associações e não criar rigidificações. Apesar de apresentar os objetivos que podem estar mais presentes no desenvolvimento das atividades das associações,

elas não somente alcançam outros eixos como, também, podem atuar em mais de um daqueles eixos propostos. Nosso enquadramento das atuações associativas, baseia-se na necessidade de criar uma análise na perspectiva do ativista, em uma visão de dentro do grupo de pacientes, sobre a negociação vis-à-vis, com a área biomédica, Estado e mercado, concentrando-se no entendimento das diferentes fases de atividades entre movimentos da saúde e sucessivos regimes de doença<sup>20</sup>. Também, chama a atenção para a necessidade de aprofundar os debates para além do resultado final que, por enquanto, centram-se no desenvolvimento de medicações ou terapias para a “cura”.

O desenvolvimento das associações para a definição das doenças raras caminha a par dos interesses do mercado em criar as condições para regulamentar as pesquisas das drogas órfãs. Drogas órfãs foi o termo criado pela indústria para tipificar a medicação direcionada para uma pequena população, precisando de incentivos para sua produção e comercialização. Frequentemente são relacionadas com as doenças raras que também passam a ser chamadas de doenças órfãs.

#### **As necessidades de cuidado e os interesses do mercado: a construção de um Modelo Utilitário**

A influência do mercado no campo das doenças raras atinge o Estado e a sociedade civil organizada, através das intensas negociações com os administradores da saúde, cooptação de agentes das agências reguladoras, financiamento de campanhas para parlamentares ou incentivos para criação de sociedades civis organizadas, que pode chegar até a disposição de advogados para formalização dos estatutos. O *lobby* é em diversas áreas e de formatos difusos.

A atuação do mercado e o seu reconhecimento, não deve ser considerado como inimigo, mas sim como um adversário cuja existência é legítima<sup>21</sup>. O reconhecimento do interesse mercantil facilita a elucidação dos interesses para a venda de medicamentos. A ação do mercado sobre o indivíduo, que pode ser o potencial agente de criação de uma associação, deve-se ao atraso ou até à impossibilidade do Estado dar uma resposta imediata ao paciente num momento em que ele se encontra fragilizado e perdido na sensação de solidão.

Quando a capacidade de governação dos Estados é limitada ou reduzida, as respostas de organismos não-estatais tomam o seu espaço,



**Quadro 1.** Eixo de atuação das Associações de doenças raras.

Eixos de atuação das Associações		Representação	Objetivo principal	Modelo de governação	Relação com a Indústria Farmacêutica
<i>Advocacy</i>		Em nome das doenças raras em geral, em um modelo “guarda-chuvas”	Criação de políticas	Empresarial	Forte, com tendência ao controle dos projetos das associações
Garantia da vida	Pela pesquisa	Doenças específicas, potencialmente fatais ou com forte impacto na qualidade de vida do paciente	Realização de pesquisas para conhecer a doença	Variável	Nula a potencialmente existente
	Pelo remédio		Realização de pesquisas para conhecer a doença	Empresarial	Forte, com possibilidade de influenciar na origem e gestão das associações. Há possibilidades das associações atuarem como agentes de comercialização de remédios
Qualidade de vida		Doenças específicas, com forte fator de cronicidade, manifestações clínicas evidentes e sem tratamento medicamentoso	Desenvolvimento de atividades para acolhimento das pessoas e ações afirmativas.	Autoajuda; Ajuda-mútua	Quase nula ou de aversão

incluindo as respostas de mercado e da privatização de serviços e seguros em saúde, que podem incluir processos de descentralização e realocação de recursos, em função de critérios que não são os de política pública em saúde. Um desses atores é a indústria farmacêutica, que passou nas décadas recentes a determinar e (re)definir um conjunto de bens médicos e orientações de saúde, que incluem a lista de medicamentos básicos, a sua aprovação, regulação, distribuição, os custos, as indicações de prescrições aos médicos, entre outros<sup>15</sup>.

Os agentes do governo e, principalmente, dos órgãos de fiscalização da saúde, também possuem relações amistosas com a indústria. Esses agentes conhecem toda a estrutura governamental e a cadeia de aprovação dos medicamentos. Por isso, em busca de melhor retorno financeiro, é comum a troca entre ocupações no espaço público e no privado. Somadas a essa atividade, existem as campanhas eleitorais, que são patrocinadas pelas indústrias com o objetivo de criar uma relação de troca entre o financiamento e o reforço da agilidade dos trâmites de projetos de

interesse do mercado. E, por fim, a cooptação das associações civis, pelo mercado, pode ser percebida por ações diretas como no eixo da Garantia de vida pela medicação, ou de formas mais sutis como o que acontece no eixo de *Advocacy*.

Uma breve resenha sobre a história das associações é esclarecedora acerca das relações entre sociedade, Estado e mercado. A EURORDIS foi fundamental na construção do *Orphan Drug Act*<sup>22</sup>, contribuindo para a elaboração do critério de definição para doenças raras de 5 para cada 10000. Porém, não são claras as vantagens advindas do *Orphan Drug Act* às inovações farmacêuticas<sup>23</sup>, mesmo que o aumento de produtos para doenças raras tenham se intensificado após a aprovação do regulamento<sup>24</sup>.

Para conseguir entender a origem da associação EURORDIS, e considerando a influência da associação francesa AFM, na sua criação e da associação NORD (*National Organization for Rare Disorders*) na aprovação do *Orphan Drug Act*, é necessário analisar o histórico destas associações para perceber o entrelaçamento entre elas. Desta maneira, pelos sites das associações

(AFM: <http://www.afm-telethon.fr/association/notre-histoire632>; NORD: <http://rarediseases.org/30th-timeline#11>) é possível traçar o histórico até à aprovação da lei dos medicamentos órfãos em 1999, na Europa. Apesar da NORD ser constituída quatro meses após a aprovação do *Orphan Drug Act*, conforme a informação da linha do tempo em seu site, os seus fundadores estavam já envolvidos na aprovação do *Orphan Drug Act*, em dezembro de 1982, assinado pelo Presidente Ronald Reagan, em 4 de janeiro de 1983. Esses mesmos líderes de pacientes criaram a NORD, para continuar a sua colaboração, sob o lema “Sozinhos somos raros. Juntos somos fortes”.

Cabe ressaltar alguns marcos:

- 1951: Pela primeira vez, com o ator Jerry Lewis, surge numa rede televisiva nos EUA, a NBC, o apelo para o apoio às pesquisas sobre a Distrofia Muscular. Esse evento foi o resultado de um encontro de alguns indivíduos que tinham relações pessoais com a Distrofia Muscular. Em 1950, conseguem sensibilizar Paul Cohen, um importante empresário da cidade de Nova York, diagnosticado com a Facioscapulohumeral Muscular Dystroph e que se tornou o primeiro presidente da MDA. O empresário, que era paciente de distrofia muscular, foi a ponte para levar a MDA ao contato com o ator Jerry Lewis. É o precursor do MDA Jerry Lewis Labor Day Telethon. <http://mda.org/about/telethon-history>;

- 1958: Fundação da Associação de Distrofia Muscular em França, por pais de crianças com diagnóstico de distrofia muscular, contra a impotência da Medicina e da ciência de lidarem com a Distrofia Muscular;

- 1975: a indústria farmacêutica criou o termo *Orphan Drug* para os produtos que não tinham viabilidade econômica<sup>9</sup>;

- 1983:

- Pela influência das associações civis e sob o slogan “Sozinhos somos raros. Juntos somos fortes”, o presidente americano Ronald Reagan aprova o *Orphan Drug Act*. Fica definido que doenças raras são aquelas que afetam menos que 200.000 americanos. A página 5 de Vololona Ra-beharisoa et al.<sup>9</sup> informa que a regulamentação aprovada em 1983 define como doença rara “a doença que afeta menos de uma pessoa em 2000, em uma particular área ou país”, portanto, conforme a definição da EURORDIS. Contudo, de acordo com a informação do site da Foi and Drug Administration Americano – FDA – na seção 526<sup>21</sup>. Para os objetivos do parágrafo<sup>25</sup>, o termo “doença rara ou condição” refere-se a qualquer doença ou condição a qual: (A) Afeta menos que

200.000 pessoas nos Estados Unidos; ou (B) Afetam mais de 200.000 nos EUA e para as quais não há expectativas razoáveis de que os custos para desenvolvimento e viabilidade da droga para essas doenças ou condições nos EUA serão recobertas por suas vendas nos EUA.” Hiperlink:<http://www.fda.gov/regulatoryinformation/legislation/federalfooddrugandcosmeticactfdca/significantamendmentstotheact/orphanact/default.htm>;

- Fundação da *National Organization for Rare Disorders* – NORD.;

- 1986: Identificado o gene da Distrofia Muscular, empurrando o foco de atuação da AFM para a pesquisa genética;

- 1987: Nos mesmos moldes do que acontece nos EUA, a AFM realiza uma maratona televisiva, conduzida pelo ator Jerry Lewis, para arrecadação de fundos em França – AFMTelethon;

- 1987 em diante: Com os recursos do AFMTelethon, a associação de distrofia realiza concursos para o desenvolvimento de pesquisas genéticas e estruturação de laboratórios. Assim a AFM envolve-se, definitivamente, nas pesquisas genéticas, tornando-se referência nesta área com o maior laboratório do mundo para produção de medicamentos para terapia genética, Genethon Bioprod. Em 2012, a Genethon torna-se a primeira organização não governamental a receber autorização para ser fabricante de produtos farmacêuticos. De acordo com o site da AFM: Com a Génethon BioProd, o laboratório AFM-Telethon tem a maior capacidade de medicamentos para a terapia génica no mundo. Da prova de conceito de desenvolvimento clínico e em conformidade com as Boas Práticas de Fabricação (BPF), que recebeu o Prix Galien France 2012, fortalece sua posição como líder mundial no domínio das bio-terapias para doenças raras. É o primeiro laboratório de uma associação civil sem fins lucrativos que obtém esse status de estabelecimento farmacêutico de acordo com a lei de 22 de Março de 2011;

- 1993: Comunicado da Comissão Europeia que reconhece as doenças raras como um problema prioritário na Europa. A definição de doenças raras restringe-se à baixa incidência na população e baixa mortalidade, não fazendo alusão a dados estatísticos;

- 1997:

- Realização, em julho, do *1st AFM/MDA Myotonic Dystrophy International Consortium Conference*, patrocinado pelas MDA de França e Estados Unidos (<http://www.idmc.org/documents/idmc1/IDMC1-report.pdf>);

- Criação da *Europe Organization for Rare Disease (EURORDIS)* – “by four patient groups from different therapeutic fields: the *Association Française contre les Myopathies (AFM)*, *Venice la Mucoviscidose*, *Gigue nationale contre le Cancer (LNCC)*, and *AIDES Fédération*”. <http://www.EURORDIS.org/sites/default/files/activity-report2012.pdf> Com os recursos disponíveis para pesquisa, não foi possível identificar o mês de criação da EURORDIS.

- 1999:

- Adoção, no mês de abril, pela UE, do programa de ação comunitária em doenças raras. Pela primeira vez a prevalência de 5/10000 nascidos vivos é sinalizada, porém, como uma informação complementar a definição de doenças raras e a título indicativo;

- No mês de dezembro, com a participação da EURORDIS, é divulgado o *Orphan Drug Act*, para a Europa, que define como um dos critérios objetivos o uso da prevalência para doenças raras de 5 para cada 10000 nascidos e vinculam diretamente as doenças raras aos medicamentos órfãos.

Os marcos elencados apresentam os passos que levam à criação do *Orphan Drug Act*. Tanto nos EUA quanto na UE a sequência de ações é a mesma: criação de uma entidade “guarda-chuva” para Distrofia Muscular (MDA-EUA e AFM-França), sensibilização da rede de contatos para acesso aos meios de comunicação social e realização de campanhas para recepção de donativos (Principalmente financeiros. Destaca-se o papel pioneiro do Telethon. Cf, abaixo, uma análise da sua importância.), incentivo a criação das associações de doenças raras (NORD – Estados Unidos e EURORDIS – França) e, por fim, articulação com o Estado para aprovação do *Orphan Drug Act*.

A análise revela, também, que as opções e independência destas associações, são bastante influenciadas pelos seus investidores. Ao lembrarmos que as associações civis são manifestações da sociedade organizada, a relação de coordenação da saúde pelo mercado, que se cristaliza na lógica de produção do lucro, configura-se como uma relação ganha-perde, onde o mercado ganha por alcançar o seu objetivo e a sociedade perde por acabar vivendo num “regime de medicação”. É uma proposta diferente, mas com ideias semelhantes a de Klawiter (2004) (*apud* Epstein<sup>20</sup>) para “regime da doença”. Partindo da ideia que as ações acabam sendo ditadas pela doença ou por determinadas doenças, a transposição para o regime da medicação é para clarificar o objetivo final das ações. E, também, para caracterizar a for-

ma como os indivíduos vivem numa sociedade altamente medicalizada. Tal regime faz com que os ganhos dessas indústrias superem “os lucros do mercado de armas e de telecomunicações”. Notícia de março de 2015, da Federação de Associações para a Defesa da Saúde Pública do Estado Espanhol no documento *Reflexiones e propuestas sobre la política farmacêutica*.

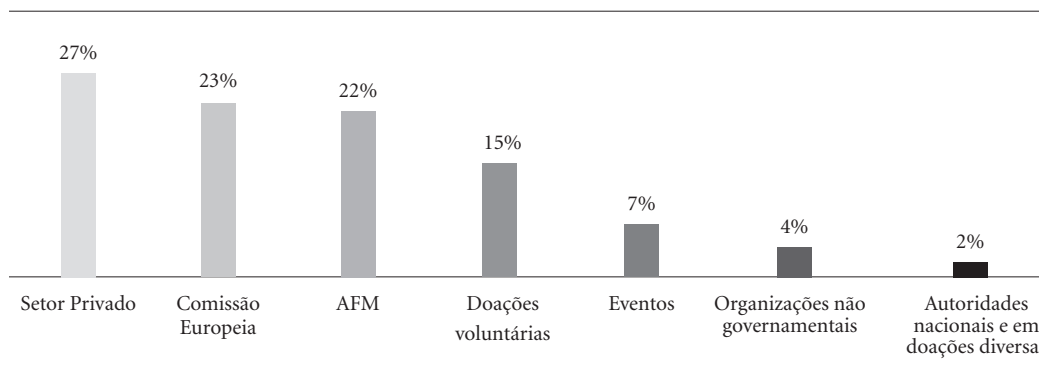
Há uma certa tensão entre as associações e a indústria farmacêutica. Seja porque “algumas tentam se aproximar e outras a se afastar”<sup>17</sup>, no campo das doenças raras, as indústrias são as primeiras a aproximarem-se das novas associações ou, até mesmo, são elas que incentivam a sua criação. Algumas empresas criam as condições de funcionamento das associações com direito até à capacitação com consultores na área jurídica e empresarial para apoiar a criação das associações e incentivar a imaginação dos dirigentes que o modelo profissional de ação deve ser cultivado pelos seus indivíduos. Tal incentivo enquadra-se no que O’Donovan<sup>20</sup> denomina como a “Cultura da Ação”. Esta cultura é formada pela realização de cursos direcionados para dirigentes, cujo conteúdo incentiva a militância, principalmente, por ações de *advocacy* junto do poder legislativo.

Considerando o caso Europeu, as pistas para esse incentivo são concretas quando vimos que a EURORDIS participou da criação do *Orphan Drug Act* na Comissão Europeia e, desde então, possui representantes em todas as comissões, reuniões e eventos que tratam sobre o assunto. Para fugir do campo das suposições e encontrar a relação entre a associação civil, que se torna uma grande corporação com a lógica do capital enraizada nas suas relações, optamos por perseguir a forma como o capital entrou na relação entre a AFM e a EURORDIS por meio da utilização do jargão do jornalismo investigativo *Follow the Money*.

De acordo com o folheto da associação EURORDIS, os seus recursos financeiros são oriundos de doações da AFM – Telethon, Comissão Europeia, Fundações e indústrias da saúde. De acordo com o relatório financeiro de 2012 (<http://www.EURORDIS.org/sites/default/files/financial-report2012.pdf>) é possível elaborar o seguinte gráfico:

De acordo com o Gráfico 1, do total dos recursos do setor privado (de acordo com os relatórios disponíveis, de 2008 a 2012, apenas empresas farmacêuticas e de biotecnologia contribuíram nesta linha.), 24% são de companhias farmacêuticas ou de biotecnologia, 1% de outros setores da saúde e 2% de companhias de fora da





**Gráfico 1.** Relatório financeiro da Eurordis de 2012.

área da saúde. De acordo com a página 9, do dito relatório, a AFM, sozinha, é a maior patrocinadora da EURORDIS. Seguindo as três maiores doações realizadas para a EURORDIS - Comissão Europeia, Setor Privado e AFM - e considerando que ela e a AFM são referências para a identificação do Modelo Híbrido Coletivo, percebemos que apesar de haver a interlocução entre diferentes atores, seguramente não há uma disparidade elevada entre os seus interesses. Com isso, é possível entender que a proposta do MHC não capta parte da lógica capitalista em fazer do paciente a sua mais valia.

O resultado da relação entre doença e medição é o lucro; a mobilização do Estado faz-se pela possibilidade de (re)eleição dos governos. Desta maneira, considerando esses dois pontos, pode-se chegar a uma fórmula, puramente ilustrativa, onde mobilização + doença = (re)eleição + lucro. Resgatando os fundamentos do MHC, sabemos que estão baseados na formação de comunidades (mobilização) e no desenvolvimento de conhecimento sobre as patologias (doença), então, MHC = mobilização mais doença. Portanto, ao analisar as duas fórmulas concluímos que MHC = (re)eleição + lucro. Esta fórmula é parte de uma equação e, portanto, o olhar deve ser alargado, dos resultados que as associações produzem na sociedade para o que a sociedade impacta nas associações e, em específico, nos indivíduos que decidem iniciar alguma associação.

Por outro lado, ao identificarmos o alinhamento dos interesses entre o maior doador na conta de organizações de pacientes (AFM), 22%, com os da indústria farmacêutica e de biotecnologia, 24%, vemos que 46% dos recursos e, por analogia, dos esforços da associação, possuem como objetivo a contribuição para que estes

dois *stakeholders* alcancem os seus objetivos. Ao considerar que a intenção destes patrocinadores com a EURORDIS é, precisamente, o fortalecimento de sua atuação no eixo de *advocacy*, não somente para sensibilizar o Estado mas também como uma forma de se tornar conhecida para os pacientes, pode-se concluir que os interesses do mercado também são atendidos pelo Estado, conforme elucidado por Santos e Hespanha<sup>26</sup>. Voltando às referências financeiras, e levando em consideração a participação do Estado, chegamos à constatação que 69% dos esforços da EURORDIS fazem parte da linha de produção das indústrias farmacêuticas e de biotecnologia.

A UE tem apoiado vários projetos da EURORDIS. A EURORDIS reúne mais de 200 associações de doenças raras em 16 países diferentes, representando milhões de pacientes afetados por mais de 1 000 doenças raras. A UE tem apoiado projetos da EURORDIS para reunir as informações necessárias para ajudar a definir uma política pública sobre as doenças raras, para melhorar o acesso à informação de qualidade sobre doenças raras e medicamentos órfãos, a organizar seminários a nível europeu e nacional, bem como para a produção de diretrizes e documentos pedagógicos ([http://ec.europa.eu/health/rare\\_diseases/projects/cooperation/index\\_en.ht](http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/projects/cooperation/index_en.ht)).

A coordenação de interesses para o campo das doenças raras e, principalmente, para o foco restrito da relação doença e remédio, tem como uma de suas principais motivações o consórcio internacional para doenças raras - IRDiRC. Esse projeto é um dos resultados das novas capacidades criadas pela biotecnologia e a corrida para a criação de biobancos, "criar bases de dados e biobancos que permitem conservar, gerir e tornar partilhável informação genética e transfor-

mar esta num bem comercializável, de interesse para pesquisadores, organizações de prestação de cuidados de saúde, seguradoras, empregadores e governos<sup>16</sup>. O Consórcio Internacional de Pesquisa em Doenças Raras (IRDiRC) foi iniciado pela Comissão Europeia e o Instituto Nacional para Pesquisa em Saúde dos EUA, lançado em abril de 2011, para promover a colaboração internacional na área das doenças raras. O IRDiRC vai contar com a participação de pesquisadores e organizações que investem em pesquisas de doenças raras para atingir dois objetivos principais: entregar 200 novas terapias para as doenças raras e os meios para diagnosticar doenças mais raras, até o ano de 2020.

A corrida pela formação de registros e cadastro de pacientes está em andamento, por todos os envolvidos com as doenças raras que possuem como objetivo criar o seu próprio banco para ter condições de negociação com qualquer interessado nesta temática.

Como a formação das associações possui um problema na sua origem, pela relação entre a necessidade do cuidado e os valores do capital iniciada pela MDA, nos EUA, nos anos 50, e que persistem até hoje, a transformação do pensamento para saúde e qualidade de vida é um processo ainda em construção, se é que ele existe. Enquanto as respostas do Estado tenderem para uma filosofia mais liberal, em que a satisfação das necessidades é considerada um assunto dos indivíduos e das famílias<sup>27</sup>, e encontrando na produção de remédios para doenças raras a forma para suprir as suas necessidades do paciente, mais uma vez, deixará a produção de cuidado para as famílias e, de maneira perversa, contribuir para que as tensões que eram alocadas na propriedade da terra sejam agora transferidas para a manipulação da vida, acabando as pessoas por se tornarem a matéria-prima da produção.

Desta maneira, a identificação de um modelo onde o campo é coordenado pela Indústria Farmacêutica, os interesses são marcados pela lógica neoliberal e as necessidades do paciente são invisibilizadas, aproxima-se mais de um Modelo Utilitário do Cuidado (MUC) do que de um modelo que supõe um equilíbrio de forças e de interesses.

Este modelo identifica a capacidade das associações em influenciar os modelos de pesquisa e as formas de criação das políticas públicas, ou seja, o entendimento sobre o Modelo Híbrido Colectivo, mas reconhece a influência que as empresas farmacêuticas e de biotecnologia exer-

cem sobre essas associações devido a ausência do Estado em fornecer: (a) As informações sobre as doenças raras no momento do diagnóstico; e (b) O acolhimento das pessoas que sofrem com essas doenças, sejam elas o paciente ou os seus familiares. O MUC sublinha o domínio da Indústria Farmacêutica em todo o ciclo do cuidado, começando pelo incentivo à formação das associações até a formalização do governo para a venda de medicamento, deixando o paciente a mercê de sua própria sorte. Torna invisível todas as suas necessidades de construção cidadã e atendimento multidisciplinar, para vender a esperança que a solução para a doença é centrada no remédio.

Esse modelo é uma contraproposta à concretização europeia do MHC, evidenciando, também, o que ocorre em terras brasileiras e da América Latina. As associações que lidam com as doenças raras nesses espaços, até 2013, não possuíam a mesma estrutura informacional que as congêneres europeias e americanas. Portanto, a impossibilidade de ver o gasto dos recursos financeiros é um agravante. Outro quesito é que, no Brasil, o mercado da medicação para doenças raras é dominado pelas Indústrias Farmacêuticas estrangeiras. Isso significa que as diretrizes são tomadas na Europa e nos EUA. O resultado é que, tanto no Brasil, quanto na América Latina em geral, em última análise, estamos dentro do campo para cumprir as diretrizes estrangeiras.

Os sites das associações não dão muita informação. No entanto, não é difícil afirmarmos que vivemos a expressão do MUC de forma aberta. O avanço da indústria sobre as Associações brasileiras é evidente e conhecido, como foi indicado pela representante do Ministério da Saúde, Sra. Maria Inez Gadelha, durante o II Congresso Iberoamericano de Doenças Raras, realizado em Brasília, nos dias 21 e 22 de outubro de 2016. E, também, nas palavras do Sr. Fernando Ferrer, representante da *Multinational Partnerships LLC, USA*, durante o mesmo Congresso, *A América Latina é o lugar para as drogas órfãs*<sup>28</sup>. No entanto, diferente do que a representante do MS colocou durante o Congresso, é o governo que delega a sua função de coordenador para as Indústrias.

Ao mesmo tempo que é o principal responsável pelo seu predomínio, o Estado é o único que pode pôr fim a este modelo. Para tanto deve estar estruturado para receber as demandas dos pacientes com doenças raras logo no início do drama individual, que acaba por se tornar um problema social – o momento do diagnóstico.

## Conclusão

As pessoas com alguma doença rara encontram problemas de atraso e falha no diagnóstico, falta de informação acerca da doença, falta de referências para profissionais qualificados, falta de disponibilidade de cuidados com qualidade, escassez de benefícios sociais, fraca coordenação dos cuidados de internamento e de consultas externas, autonomia reduzida e dificuldade na integração no mundo do trabalho e no ambiente social e familiar<sup>29</sup>. A ausência no acolhimento criada, em grande parte, pelo Estado faz com que a família dos pacientes seja a responsável por criar as condições do cuidado, busca de informações e, muitas vezes, para conseguir um diagnóstico conclusivo.

Com a ausência do Estado diante do acolhimento e o atendimento do paciente, as pessoas que convivem com a realidade das doenças raras se apresentam aflitas, angustiadas e à procura de qualquer apoio. Ao paciente cabe a consternação de conviver com os sintomas da doença que, invariavelmente, passa pela discriminação que a sociedade civil confere àqueles que não se enquadram no modelo de normalidade. Sofre, ainda, com o seu envolvimento como alvo de pesquisas, cujos resultados, na maioria das vezes, ficam longe da sua compreensão e conhecimento.

Os pais, mães e familiares, são abandonados à sua sorte, vivendo na busca incessante de informações e na procura de resposta para as necessidades dos pacientes. Debatem-se quotidianamente com o inatingível – a cura da doença. Nos seus esforços, cruzam-se com outros agentes que, na maioria das vezes, desconhecem as suas reais necessidades e têm agendas específicas, que estão longe de ter o paciente como centro de preocupação. As associações da sociedade civil são um ponto de apoio fundamental para pacientes e familiares, mas a pesquisa revelou, também, as fragilidades que estas apresentam.

O apoio que as associações civis conseguem fornecer àqueles que procuram ajuda é indiscutível. Das informações que elas fornecem sobre a doença e os sintomas, até à indicação dos profissionais de saúde para o correto atendimento, possuem como premissa o compromisso de acolher as pessoas que passam por uma situação semelhante ao que já viveram no passado. Com recursos escassos, trabalhos voluntários e a necessidade de realizar atividades na comunidade para conseguir apoio financeiro, a grande maioria das associações estão longe do que se tem designado como Organizações de Pacientes.

As pessoas que assumem o papel de participarem das associações civis, além do cuidado que prestam na esfera privada, passam a cuidar dos outros, sob a constante e intensa vigília sobre com quem se fala e qual o interesse que existe por trás das falas. Desta maneira, terminam por assumir responsabilidades estatais que, invariavelmente, acabam por se resumir à medicação. Apesar da providência da sociedade assumir funções do Estado, ser incentivada por este e aceita por grande parte da população, não pode constituir norma, pelo simples motivo de mascarar a coordenação da saúde pelo mercado e de fazer esquecer os direitos de cidadania.

Não se pode, pois, entender a sociedade-providência como campo de proteção social, pois as garantias que ela possa chegar a construir são para o enfrentamento do risco e não no campo da anulação do risco ou da garantia da certeza. Assim sendo, *a sociedade-providência não é alternativa ao modelo político do Estado-Providência*, embora em sociedades de frágil protecção social, como Brasil e Portugal, ela seja consentidamente uma componente do modelo político de Estado Social<sup>30</sup>.

O mercado revela uma enorme capacidade de coordenação dos agentes que atuam no campo das doenças raras. Intervém nas diferentes atividades da produção de cuidado, passando pelo diagnóstico da doença, o trabalho dos pais, mães e pacientes, pela formação de associações da sociedade civil que vão atuar na sensibilização do Estado e na busca dos pacientes. O objetivo final sendo sempre a comercialização das medicações que produzem.

Das relações entre os agentes do campo, emerge um modelo para a geração do lucro, em que os diferentes agentes atuam em prol do alcance dos objetivos mercantis e onde o cuidado se limita à produção de remédios. Esse modelo, que denominamos Modelo Utilitário do Cuidado (MUC), vem sendo utilizado desde o século passado com sucesso, revelando que a necessidade do cuidado foi suplantada pelos valores do mercado. E, se para o espaço europeu, as Associações Eurordis e AFM são fontes para a proposta de um Modelo Híbrido Coletivo, no Brasil, as Associações Vidas Raras e o Instituto Baresi podem ser referência para a identificação do MUC. Principalmente porque a primeira sofreu uma guinada para as ações voltadas para as Doenças Raras após a parceria com a Associação Raríssimas, de Portugal.

Para que o Estado promova um atendimento de qualidade às pessoas que sofrem com alguma doença rara é preciso que as suas ações cheguem

ao paciente antes da intervenção do mercado e, para isso, é necessário o conhecimento sobre a realidade desta população e das suas necessidades, que estão longe da exclusiva vontade da produção de remédios; o apoio ao desenvolvimento de terapias que tratem o indivíduo em toda a sua complexidade, respeitando a forma e o avanço dos sintomas da doença; a aproximação às associações, fazendo-as parte integrante do desenvolvimento de políticas, e, também, promotoras de conhecimento para outras associações nacionais e internacionais; a criação de mecanismos que apoiem a identificação das doenças raras regionais e que, por não possuírem medicação, fazem com que a realidade das pessoas que são acometidas por essas doenças sejam ainda mais silen-

ciadas que as associações que lidam diretamente com a venda de remédios.

A superação de um modelo utilitário do cuidado somente será possível quando existir uma forma de atendimento centrada no paciente e quando o Estado se apoderar da responsabilidade pela produção do cuidado. Este entendido de maneira multidisciplinar. Com a atenção no paciente e no seu itinerário terapêutico, não seria ele um informador privilegiado da qualidade dos serviços do SUS? O passo a seguir que o Estado deve tomar logo após conseguir enxergar as doenças raras deve ser em direção as associações civis e pacientes com o objetivo de ouvir suas demandas e, também, torná-las capacitadas para a produção do cuidado que deve estar a distância do que se preconiza no *Orphan Drug Act*.

### Colaboradores

Rogério Lima Barbosa trabalhou na coleta, análise dos dados e na redação do artigo. Sílvia Portugal trabalhou na supervisão de todas as etapas da pesquisa e da redação final.

## Referências

- Barbosa RL. *Pele de Cordeiro? Associativismo e Mercado na produção de cuidados para as Doenças Raras*. Coimbra: Universidade de Coimbra; 2014.
- Rabeharisoa V, Moreira T, Akrich M. Evidence-based activism: Patients' organisations, users' and activist's groups in knowledge society. *CSI Work Pap Ser* 2013; (33).
- Rabeharisoa V. From representation to mediation: the shaping of collective mobilization on muscular dystrophy in France. *Soc Sci Med* [Internet]. 2006 Feb [cited 2014 Oct 8];62(3):564-576. Available from: <http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0277953605003102>
- Rabeharisoa V. Experience, knowledge and empowerment: the increasing role of patient organizations in staging, weighting and circulating experience and knowledge. In: Akrick M, Nunes J, Paterson F, Rabeharisoa V, editors. *The dynamics of patient organizations in Europe*. Paris: Sociales, Collection Sciences; 2008. p. 13-34.
- Callon M, Rabeharisoa V. Research "in the wild" and the shaping of new social identities. *Technol Soc* [Internet]. 2003 Apr [cited 2013 Dec 23];25(2):193-204. Available from: <http://linkinghub.elsevier.com/retrieve/pii/S0160791X03000216>
- Mol A. *The logic of care*. New York: Routledge; 2008.
- Rabeharisoa V, Callon M, Filipe AM, Nunes JA, Paterson F, Vergnaud F. From "politics of numbers" to "politics of singularisation": Patients' activism and engagement in research on rare diseases in France and Portugal. *Biosocieties* [Internet]. 2014 Mar 31 [cited 2014 Apr 8];(March 2014):1-24. Available from: <http://www.palgrave-journals.com/doi/10.1057/biosoc.2014.4>
- Aith F, Bujdosó Y, Nascimento PR, Dallari SG. Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. *Rev direito sanit* [Internet]. 2014;15(1):10-39. Available from: <http://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/82804/85759>
- Rabeharisoa V, Callon M, Filipe AM, Nunes JA, Paterson F, Vergnaud F. *The dynamics of causes and conditions : the rareness of diseases in French and Portuguese patients' organizations' engagement in research*. Paris: CCSD; 2012. (CSI Working Papers Series). Report No.: 26.
- Novas C. The Political Economy of Hope: Patients' Organizations, Science and Biovalue. *Biosocieties* 2006; 1:289-305.
- Rose N, Novas C. Biological Citizenship. In: Aihwa O, Collier SJ, editors. *Global Assemblages: Technology, Politics, and Ethics as Anthropological Problems*. Charlottesville: John Wiley & Sons; 2008. p. 439-463.
- Caprara A. Uma abordagem hermenêutica da relação saúde-doença. *Cad Saude Publica* [Internet]. 2003 [cited 2017 Mar 10];19(4):923-31. Available from: <http://www.scielo.br/pdf/csp/v19n4/16842.pdf>
- Filipe AM. A vida como política? Debates contemporâneos sobre saúde, (bio)medicina e cidadania. *Of do CES* 2010; (338).
- Filipe AM. Actores colectivos e os seus projectos para a saúde: o caso das associações de doentes em Portugal. *ea* [Internet]. 2009;1(2):1-48. Available from: [www.eajournal.com](http://www.eajournal.com)
- Nunes JA, Matias M, Filipe AM. As organizações de pacientes como atores emergentes no espaço da saúde: o caso de Portugal. *Reciis* [Internet]. 2007 Jun 28;1(1):107-10. Available from: <http://www.reciis.cict.fiocruz.br/index.php/reciis/article/view/29/32>
- Nunes JA. *A pesquisa em saúde nas ciências sociais e humanas: tendências contemporâneas*. Coimbra: Universidade de Coimbra; 2006.
- Akrich M, Nunes JA, Rabeharisoa V. Conclusions. In: Akrich M, Nunes J, Paterson F, Rabeharisoa V, editors. *The Dynamic of patient organizations in Europe*. Paris: Presses des Mines; 2008. p. 221-245.
- Rabeharisoa V, Donovan OO. From Europeanization to European Construction. *Eur Soc* 2014; 16(5):717-741.
- Barbosa RL, Portugal S. Um olhar social para o paciente Actas do I Congresso Iberoamericano de Doenças Raras. In: Contexto C, editor. *Congresso Iberoamericano de Doenças Raras*. Brasília: Centro de Estudos Sociais da Universidade de Coimbra; 2015. p. 165.
- Epstein S. Patient Groups and Health Movements. Hackett EJ, Amsterdamska O, Lynch M, Wacjman J, editors. *New Handbook of Science and Technology Studies*. Cambridge: Mit Press; 2008. p. 500-541.
- Martins PH. O dom como fundamento de uma cultura democrática e associativa. In: Portugal S, Martins PH, editors. *Cidadania, políticas públicas e redes sociais*. Coimbra: Imprensa da Universidade de Coimbra; 2011. p. 13-28.
- Filipe AM, Roriz M, Costa DN da, Matias M, Nunes JA. Coletivos sociais na saúde: o ativismo em torno das doenças raras e do parto em Portugal. In: Serapioni M, Matos AR, editors. *Saúde, Participação e Cidadania - Experiências do Sul da Europa*. Coimbra: Edições Almedina S.A.; 2014. p. 175-194.
- Rohde DD. *The Orphan Drug Act: An Engine of Innovation - At What Cost*. *Food Drug Law J* [Internet]. 2000 [cited 2017 Mar 28];55. Available from: <http://heinonline.org/HOL/Page?handle=hein.journals/foodlj55&iid=151&div=&collection=>
- Lichtenberg FR, Waldfoegel J. *Does misery love company? Efidence from pharmaceutical markets before and after the Orphan Drug Act* [Internet]. 2003 [cited 2017 Mar 28]. Report No.: 9750. Available from: <http://www.nber.org/papers/w9750>
- Nunes JA. Os mercados fazem bem à saúde? O caso do acesso aos cuidados. *Rev Crítica Ciências Sociais* [Online] [Internet]. *Centro de Estudos Sociais* 2011 Dec 1 [cited 2013 Jul 7];(95):137-53. Available from: <http://rccs.revues.org/4427>
- Santos BS, Hespanha P. O Estado, a sociedade e as políticas sociais. *Revista Crítica de Ciências Sociais* 1987; Sep:62.
- Portugal S. *Família e Redes Sociais. Ligações fortes na produção de bem-estar*. Coimbra: Edições Almedina; 2014.



28. Ferrer F. *América Latina é o lugar para drogas órfãs?* [Internet]. 2016 [cited 2017 Sep 5]. Available from: <https://www.slideshare.net/fernandoferrer2000/fernando-ferrer-mba-ii-congresso-ibero-americano-de-doenas-raras-brasilia-outubro-2122-2016>
29. Faurisson F. *Problemática das doenças raras* [Internet]. Paris: Eurordis; 2000. Available from: <http://www.eurordis.org/pt-pt/content/o-que-e-uma-doenca-rara>
30. Sposati A, Rodrigues F. Sociedade-Providência: Uma estratégia de regulação social consentida. *Rev Crit Cienc Sociais* [Internet]. 1995;(42):77-104. [cited 2017 Sep 5]. Available from: [http://www.ces.uc.pt/rccs/index.php?id=556&id\\_lingua=1](http://www.ces.uc.pt/rccs/index.php?id=556&id_lingua=1)

---

Artigo apresentado em 21/06/2017

Aprovado em 30/10/2017

Versão final apresentada em 01/11/2017