

## Relações ‘biosociais’: as associações de pacientes e a medicina regenerativa no Brasil

### RESUMO

As associações de pacientes têm surgido como locus privilegiado para mediar a relação entre o Estado e a Sociedade. O estudo analisa seu papel em relação à medicina regenerativa no Brasil, priorizando as associações de pacientes com doenças raras. Discutem-se as principais políticas de engajamento cidadão em saúde, as formas de funcionamento das associações de pacientes e as relações de “biosociabilidade” estabelecidas. A análise baseia-se em um estudo qualitativo documental, um levantamento de informações secundárias por internet e doze entrevistas online com representantes de organizações de doenças raras. A análise de conteúdo mostrou que as organizações relacionadas às doenças raras analisadas funcionam em um modelo de parceria junto aos pesquisadores, reformulam tratamentos e incidem ativamente na implementação de políticas públicas diferente das organizações de pacientes com doenças específicas, nas quais o modelo dominante é apenas de apoio “auxiliar” aos pacientes e pesquisadores.

**PALAVRAS-CHAVE:** Associações de Pacientes. Doenças Raras. Medicina Regenerativa. Biosociabilidades. Terapia Celular e Genética.

## INTRODUÇÃO

Nas últimas décadas, tem crescido cada vez mais, em nível global, o interesse público no controle social da área da saúde, em especial em relação às novas terapias celulares/genéticas que fazem parte da medicina regenerativa (MR) (WEBSTER; WYATT, 2020). As associações de pacientes têm surgido como *locus* privilegiado para mediar a relação entre o Estado, no que se refere à saúde (MACGOWAN et al., 2016). O papel dessas associações se tornou ainda mais importante a partir do efeito das políticas neoliberais em saúde dos anos de 1990 e da expansão da indústria farmacêutica no mundo globalizado. Essa combinação deixou desprotegida a saúde das populações vulneráveis, principalmente dos países em desenvolvimento (SOARES; DEPRÁ, 2012).

A demanda dos consumidores por novas terapias, diante da carência de soluções para seus problemas de saúde, tem levado a um crescimento de novas formas de associação (SALTER; ZHOU; DATTA, 2015). Pacientes e familiares organizados buscam suas fontes próprias de conhecimento, demandam a redefinição dos modelos convencionais de oferta em saúde, suas regras e valores e incluem ativistas que atuam com base em “evidências em saúde” (RABEHARISOA; MOREIRA; AKRICH, 2014).

Já desde os anos de 1980, mudanças nas epistemologias das ciências da vida/biotecnologias e limitações-chave nas perspectivas dos especialistas no desenho de terapias têm resultado, principalmente nos países avançados, em diferentes critérios para integrar o conhecimento especializado com o leigo ou “situado” (NOWOTNY; SCOTT; GIBBONS, 2001, HARAWAY, 1988). Vem se desenvolvendo, desde então, uma visão mais plural do conhecimento médico, ajudando a legitimar as reflexões dos cidadãos e a ampliar a participação democrática de grupos sociais antes excluídos (IRWIN, 1995; ACERO, 2011b).

O estudo atual descreve e analisa o papel das organizações dos pacientes em relação a MR no Brasil, priorizando as associações de pacientes de doenças raras nas quais os tratamentos celulares/genéticos devem ocupar um lugar cada vez mais importante. Procura-se responder as seguintes perguntas interrelacionadas:

- Como podem ser caracterizadas as associações de pacientes e seus papéis na MR no Brasil?
- Como operam as associações nessa área no Brasil e por quais motivos?

## METODOLOGIA

O presente estudo é parte de um programa de pesquisa mais abrangente desenvolvido, de forma intermitente desde 2009, para analisar a inovação, regulação e governança na MR no Brasil (ACERO, 2010, 2011a, 2011b, 2020a, 2020b). Este artigo foi elaborado a partir de um estudo qualitativo, que se baseia em: uma análise bibliográfica e documental de trabalhos acadêmicos e informes oficiais nacionais e internacionais, um levantamento na internet das características das principais associações de pacientes ligadas à MR no Brasil e entrevistas de representantes de organizações de doenças raras.

A partir de uma lista de 470 organizações nacionais desenvolvida pela Cure Tay-Sachs Brasil<sup>1</sup>, foi selecionado um grupo de 40 ONGs de pacientes com doenças raras, sobre as quais levantaram-se informações relevantes em seus sítios *web*. Os principais critérios de seleção dessas organizações foram: a) o apoio em pesquisa/ensaios clínicos referentes às doenças que representam; e b) o interesse

em pesquisa e ensaios clínicos na MR. Realizaram-se de forma remota (*online*) 12 entrevistas semiestruturadas de uma hora de duração, entre janeiro e março de 2021, com representantes dessas associações selecionados a partir de informações secundárias e/ou contatados pela técnica de pesquisa qualitativa “bola de neve” (*snowball*) – na qual alguns participantes indicam novos participantes que, por sua vez, indicam novos participantes e assim sucessivamente (BIERNACK; WALDORF, 1981).

Realizou-se uma análise de conteúdo das informações obtidas nas entrevistas (CAVALCANTE; CALIXTO; PINHEIRO, 2014), na qual, após uma leitura exaustiva do material, foram definidas como categorias principais de análise: o tipo de relação com a MR em pesquisas e ensaios clínicos; o papel do Estado e o envolvimento com as políticas públicas; o relacionamento com instituições nacionais e internacionais e a divulgação na mídia.

## DESENVOLVIMENTO (RESULTADOS E DISCUSSÕES)

### Tipos de política de participação pública em saúde

Diversas políticas para o engajamento dos pacientes, familiares e leigos na saúde, incluindo na MR existem atualmente na Europa – e, em algum nível, nos Estados Unidos (EUA). Elas podem ser classificadas em dois tipos: engajamento ou participação pública em saúde e ciência cidadã.

O primeiro tipo implica no desenho governamental de estratégias cidadãs de engajamento em ciência, dentre elas, os júris cidadãos, diversos tipos de consultas públicas, conferências e fóruns de consenso (BUSSU *et al.*, 2014, MCGOWAN *et al.*, 2016). Essas políticas criticam o “modelo do déficit”: um modelo *top down*, no qual os cidadãos são considerados receptáculos passivos do saber especializado a serem educados nas novas tecnologias pelos especialistas (WYNNE, 1995, COLLINS; EVANS, 2002). As novas estratégias de engajamento propõem métodos ativos de participação e que conferem prioridade ao diálogo, buscando-se a democratização gradual dos conteúdos científicos (*bottom up*) (IRWIN *et al.*, 2012, COLLINS; EVANS; WEINEL., 2017).

No segundo tipo de política, o termo “cidadão” abrange diferentes atores individuais e organizados. Um exemplo é a comunidade online, *PatientsLikeMe*, criada para compartilhar as experiências dos pacientes sobre suas doenças e direcionar as pesquisas (WICKS *et al.*, 2018). A ciência cidadã tem sido apoiada pelos programas de pesquisa e ação da União Europeia (UE), por ex. *Horizon 2020*, na aproximação teórico-prática da *Responsible Research in Innovation* (RRI) (EU,2020)<sup>2</sup>. O cidadão voluntário participa na formulação e implementação do projeto de ciência e saúde, cumprindo em geral três tipos de papéis: o de produtor de conhecimento – os “cidadãos fazendo ciência”; o de contribuidor, ex. grupos de interesse, avaliação e retroalimentação sobre novos medicamentos e o de usuário do conhecimento, ex. autodiagnóstico *online* e projetos de vida saudável (EGE, 2015).

### Modelos de organização das associações de pacientes

Segundo síntese reformulada com base no estudo de Rabeharisoa (2003), podem ser encontrados três modelos de funcionamento das associações de pacientes: o auxiliar, o emancipatório e o de parceria.

O modelo auxiliar baseia-se na delegação de funções científico/médicas aos especialistas financiados pela organização para seleção das orientações de pesquisa, laboratórios de suporte e divulgação dos conhecimentos. Entretanto, dessa forma, a associação não participa de decisões sobre a pesquisa que financia. Em uma das suas variantes, alguns participantes tornam-se “expertos leigos” para poder dialogar com os especialistas - uma tendência nascida no ativismo em HIV/AIDS, através do movimento Act-Up (EPSTEIN, 1995).

O modelo emancipatório, nascido da *advocacy* dos anos 1960/1970, é representado, por exemplo, pelas organizações de luta contra o câncer de mama (DRESSER, 2001). Essas organizações colocam suas demandas nas agendas de políticas públicas, pela afirmação da sua identidade como coletivo e a crítica ao monopólio profissional. Algumas também procuram se emancipar por completo das definições de suas doenças por não doentes - uma atitude frequente nos grupos de capacidades diferenciais, ex. os surdos (BLUME, 2000).

O modelo de parceria corresponde ao princípio de “voltar-se à ciência, mas não se deixar controlar pelos cientistas” e apresenta duas características principais: a organização de pacientes envolve-se como parceira especialista na produção de conhecimento e no tratamento e cuidado dos pacientes. Os participantes se relacionam com os pesquisadores de modo que seus objetivos, hipóteses e observações se influenciam mutuamente. Atuam especialmente nas doenças órfãs, tentando quebrar o círculo vicioso da ignorância e indiferença científica/social (RABEHARISOA; MOREIRA; AKRICH, 2014). As associações definem novas direções de pesquisa e, na mobilização coletiva, reformulam os campos de competência das instituições de pesquisa. Algumas delas publicam artigos em coautoria em periódicos científicos e apresentam-se como coinventoras de patentes de genes/materiais biológicos (CALLON, 2003, NOWOTNY; SCOTT; GIBBONS, 2001). Na MR global, esses três tipos de modelos estão representados.

Alguns autores têm cunhado o termo “biosocialidade” ou “biosociabilidade” para descrever grupos, nos quais as relações sociais são democratizadas e mediadas pelas biotecnologias da saúde (RABINOW, 1996, NOVAS, 2008). Indivíduos diretamente interessados na resolução de um problema de saúde organizam-se em redes de “expertise”, envolvem-se ativamente na busca de informações relevantes sobre pesquisa, ensaios clínicos e fontes de financiamento e recriam as hierarquias institucionais convencionais. Eles baseiam suas práticas em suas esperanças de encontrar uma cura que, por sua vez, legitime as formas como lidam com as suas próprias doenças, assim como com o futuro de sua categoria de doenças (MAZANDERANI; KELLY; DUCEY, 2018; PINTO; MARTIN; CHENHALL, 2018).

### A organização da sociedade civil na MR

No Brasil, a promoção de políticas de engajamento do público em ciência e saúde pelo Estado não se constitui em um programa explícito e de consenso oficial, como nos países europeus. Elas se limitam a ações determinadas ou a consultas públicas de agências específicas para algumas leis ou resoluções via internet. Em geral, as convocatórias são pouco transparentes, atingem apenas alguns grupos de interesse e são escassamente divulgadas pela mídia. Seus resultados tendem a não serem sistematizados, assim como há restrições de acesso aos relatórios elaborados, especialmente no caso de um setor emergente, como a MR (ACERO, 2011 a). Desse modo, a organização da sociedade civil fica “livre” para seguir seus próprios critérios e iniciativas.

Além das sociedades de cientistas e/ou médicos, podemos destacar duas formas principais de organização da sociedade civil brasileira em relação à MR: a) aquelas específicas da MR, como MOVITAE (Movimento em Prol da Vida) e algumas das organizações de doenças raras e, b) outras organizações da sociedade civil que incluem alguns aspectos da MR como parte de sua agenda mais ampla, como: associações especializadas em temas jurídicos de direitos humanos (como Conectas-DDHH), ética e gênero (Anis), direitos civis e políticos (OABs) e ONGs do movimento de mulheres e contra a discriminação racial (Católicas Pelo Direito a Decidir, Rede Nacional de Saúde, Direitos Sexuais e Reprodutivos, Criola).

Na MR, a mobilização mais abrangente da sociedade civil, em nível nacional, se constituiu a favor da aprovação das pesquisas com células tronco embrionárias, no processo de aprovação da Lei de Biossegurança, em 2005, e da Audiência Pública na Ação Direta de Inconstitucionalidade (ADI), em 2008, no Supremo Tribunal Federal (STF) (consultar ACERO, 2010). Algumas organizações que surgiram neste período histórico ainda permanecem ativas.

Mais recentemente, houve também mobilizações importantes das associações de pacientes de doenças raras para auxiliar na implementação do plano nacional referente à área (PINTO; MARTIN; CHENHALL, 2018). Elas mobilizaram-se em casos específicos de “judicialização da saúde”, desde 2016, por exemplo, quando o STF julgou uma ação para obrigar ao Estado a ofertar medicação para o tratamento da hipertensão arterial pulmonar contra o Estado do Rio Grande do Norte; mobilização denominada “STF minha vida não tem preço” (LIMA; GILBERT; HOROVITZ, 2018).

Vazios e carências institucionais no setor público de saúde comunitária tem contribuído para a proliferação de ONGs de apoio às suas atividades (ACERO, 2011b). Destacam-se, em relação à MR, aquelas ligadas à difusão social das doações de medula óssea e de sangue do cordão umbilical e placenta para bancos públicos, como, por exemplo: a Aliança para a Doação de Órgãos e Tecidos (Adote-SP); a Associação Pró-Vita de Transplante de Medula Óssea (RJ) e a Associação de Medula Óssea (Ameo-SP). Algumas delas colaboram com a Rede Nacional de Bancos de Sangue do Cordão Umbilical e a Placenta (BrasilCord) e com o Registro Brasileiro de Doadores Voluntários de Medula Óssea (REDOME), instituições públicas vinculadas ao Ministério de Saúde.

Outras associações concentram grupos de interesse em torno de uma doença específica – um fenômeno de caráter internacional - e costumam contestar as instituições e normativas convencionais “a partir de fora” (SALTER; ZHOU; DATTA, 2015; RABEHARISOA; MOREIRA; AKRICH, 2014). Um levantamento realizado, na internet, para o presente estudo mostrou que há um total de 23 associações desse tipo no Brasil, de maior tamanho ou institucionalidade, e que formam parte da *Alianza Latina* - uma rede latino-americana, criada em 2006, que agrupa mais de 100 organizações de pacientes (<https://redalianzalatina.org/pt-br/alianza-latina/membros>). As principais com interesse em MR são: a Associação Brasileira de Esclerose Lateral Amiotrófica (ABRELA) e a Associação Brasileira de Linfoma e Leucemia (ABRALE) (consultar ACERO, 2011a para maiores detalhes). Além delas, encontra-se a Associação Brasileira de Distrofia Muscular (ABDIM) que, mesmo não fazendo parte da *Alianza Latina*, faz um dos trabalhos mais relacionados à MR no Brasil. A ABDIM, que proporciona tratamento e reabilitação aos pacientes (alguns com terapias celulares - TC), foi fundada e é dirigida por uma geneticista renomada, a Prof. Mayana Zatz.

A metade dessas organizações mencionam nos seus sítios *web* participação em pesquisas da MR e/ou ensaios clínicos junto a hospitais públicos e privados

importantes. Aspectos bastante comuns a todas essas organizações são o amplo espectro de voluntários com os que contam e o fato de que lidam, principalmente, com o apoio aos pacientes em termos de: realização de tratamentos; reabilitação e atividades complementares em saúde; contato com especialistas; divulgação de resultados de pesquisas nacionais e internacionais e monitoramento de dados; recrutamento de pacientes para ensaios clínicos; organização de campanhas de mobilização; acolhimento jurídico; doações de equipamentos e próteses; organização de grupos de autoajuda e contribuição ao acesso ao SUS; *advocacy* para influenciar o desenho de políticas públicas e a inserção de seus filiados no mercado de trabalho.

A maioria dessas organizações é financiada por meio de doações de indivíduos. Além disso, mais da metade delas conta com financiamento internacional e um terço recebe doações do setor privado, em especial, de empresas nacionais e de grandes empresas farmacêuticas internacionais. A maior parte das associações não está envolvida diretamente em pesquisa científica na sua área - com exceção da ADJ-Diabetes Brasil e a ABDIM - nem na MR, mas alguns de seus integrantes participam de grupos de estudo mistos com pesquisadores especialistas, que incluem temas da MR. Contudo, quase a metade das organizações faz pesquisa sobre as trajetórias das doenças e os resultados dos tratamentos de seus próprios associados. Diferente das grandes associações de pacientes europeias, nenhuma delas realiza aportes financeiros às pesquisas brasileiras em MR.

### Organizações de pacientes de doenças raras

A Organização Mundial de Saúde (OMS) aponta que existem mais de 7.000 tipos de doenças raras, em nível global, e as define como aquelas que afetam menos de 65 a cada 100.000 indivíduos. Estima-se que elas afetem entre 13 e 15 milhões de pessoas, no Brasil, e 8% da população mundial. São doenças crônicas e/ou degenerativas, algumas sem cura ou que produzem deficiências variadas, de alta morbidade e mortalidade e que, na sua maioria, tem etiologia genética e hereditária. Avalia-se que apenas 10% dessas condições, em nível global, têm algum tipo de tratamento específico e há mais de 400 medicações relacionadas a elas comercializadas na atualidade (LIMA; GILBERT; HOROVITZ, 2018).

A categoria “doenças raras” apareceu de forma pública e de modo significativo, no Brasil, em 2009, com a organização do I Congresso Brasileiro de Doenças Raras e com a articulação de um grupo de trabalho para a elaboração da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (BRASIL, 2014). Em 2016, o Ministério da Saúde habilitou sete estabelecimentos de saúde como serviços específicos de referência (MOREIRA et al., 2018).

Porém, em muitos casos nos quais existem terapias/medicamentos específicos, em outros países, para a categoria de doenças órfãs - como definidas pelo *Orphan Drug Act* (1984), nos EUA<sup>3</sup> -, os pacientes, no Brasil, não têm acesso a elas, uma vez que muitas ainda não foram incorporadas ao Sistema Único de Saúde (SUS) ou não receberam autorização para serem comercializadas no país. Por exemplo, do total de quase 400 doenças raras identificadas no país, em 2018, apenas 34 eram contempladas por Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs) e tinham, desse modo, medicamentos ofertados pelo SUS (MS, 2015).

As associações de pacientes de doenças raras consideradas realizam funções muito semelhantes às das associações de pacientes de doenças específicas que não formam parte das doenças raras. Além disso, elas agregam algumas tarefas

específicas devido às particularidades clínicas mais desconhecidas das doenças raras, ao seu reconhecimento nacional tardio e ao seu interesse direto em um subsetor da MR - a medicina genética.

Algumas das principais diferenças entre esses tipos de associações são: o estímulo mais intenso à participação de seus associados em consultas públicas sobre os protocolos clínicos realizadas pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC) no SUS, ainda que não possuam direito a uma cadeira nessa Comissão; a atuação junto às secretarias estaduais de saúde para verificar a disponibilidade das medicações e pressionar pela sua aquisição; participação na organização de cadastros e na distribuição de medicamentos; e, ainda, o auxílio aos hospitais no agendamento de consultas. Com frequência, elas também contribuem no custeio dos múltiplos litígios judiciais existentes; e prestam assessoria no estabelecimento de métodos diagnósticos genéticos, na localização e/ou formação de profissionais especializados e no acesso aos tratamentos complementares. As associações também se identificam com e promovem o “valor de ser raro”, uma qualidade que convoca outros setores a formar um sistema de redes que possa tornar mais visíveis as suas demandas (MOREIRA et al., 2018).

Essas organizações tendem a ser de fundação mais recente e porte menor do que as de doenças específicas, ainda que oscilem bastante no tamanho de seus diretórios (entre 3 e 120 pessoas ativas) e de suas bases. Elas têm entre 59 (por ex. DII) e 7.000 (por ex. Retina Brasil) famílias de pacientes ou pacientes cadastrados.

Doze entrevistas foram realizadas com representantes das seguintes organizações: Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística (GBEFC), Associação de Pacientes de Esclerose Múltipla do Estado de Rio de Janeiro (APEMERJ), Associação de Portadores de Esclerose Múltipla (APEMBS), Associação Brasileira de Assistência a Mucoviscidose, (ABRAM), Retina-Brasil, Associação Brasileira Huntington (ABH), Associação Brasileira de Pessoas com Doença de Crohn ou com a Retrocolite Ulcerativa (DII Brasil), Associação dos Voluntários, Pesquisadores e Portadores de Coagulopatias (AJUDE-C), Associação Maria Vitória de Doenças Raras e Crônicas (AMAVI), a Casa Hunter, Associação Carioca de Assistência à Mucoviscidose (ACAM-RJ) e a Cure Tay Sachs-Brasil. Dentre elas, aproximadamente dois terços têm relação direta com o uso de medicamentos de base biológica ou celular, a utilização de diagnósticos genéticos ou a participação em ensaios clínicos das terapias na MR.

### A narrativa dos entrevistados

Em geral, as organizações participam ativamente recrutando pacientes para os ensaios clínicos existentes na sua doença específica. Mas, os entrevistados observam – de forma diferente das experiências em ciência cidadã, na Europa, discutidas no início do artigo - que:

O que procuram fazer é acompanhar o andamento das pesquisas e chamar pesquisadores para eventos sempre que têm oportunidade. Além disso, os médicos são grupos fechados e não compartilham tanto essas informações com as associações (representante da AMAVI).

Os entrevistados mencionam a existência de cerca de 3 ensaios clínicos de base genética/celular no país, envolvendo doenças raras, mas acrescentam que esse número é insuficiente. Por exemplo,

O único motivo pelo qual o Brasil pode estar atrás do resto do mundo, no que concerne ao tratamento, é o fato de existirem mais ensaios ocorrendo em outros países. Sendo assim, há mais oportunidades para pacientes serem tratados nessas pesquisas - caso não tomem placebo (representante da ABH).

Um entrevistado reflete que, nos países avançados, também não foi simples implementar as TC e que essa implementação demandou constante atuação das associações de representantes dos pacientes.

Alguns representantes das associações descrevem o tratamento na MR como de custo muito alto e também que:

No Brasil, ele é usado apenas em casos nos quais outras formas de terapia (ex. medicação via antibiótico) não são mais efetivas. Não conheço casos de tratamentos com células-tronco feitos pelo SUS - os poucos casos que conheço foram por meio de planos de saúde (representante da APEMERJ).

Por vezes, os entrevistados são surpreendidos pela resistência à TC, derivada da falta de recomendação dos médicos e baseada no que seriam os “riscos” das terapias – apesar de a literatura relevante mostrar que eles não tendem a ser maiores que os das terapias gênicas (WEBSTER; WYATT, 2020). Alguns atribuem essa resistência a preconceitos sociais que levaram seus associados a rejeitar a participação em ensaios clínicos em TC. Reportam que:

Existe um pré-julgamento muito grande a respeito desses procedimentos, aqui no Brasil, e as pessoas são receosas em relação à terapia celular (representante da APEMBS).

A maioria dos entrevistados enfatiza que, no Brasil, muitos casos de doenças raras são tratados com medicamentos/terapias apenas após disputa jurídica. Eles precisam, com muita frequência, se envolver em embates políticos para ter acesso aos medicamentos, mesmo que já tenham sido aprovados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Acrescentam que os governantes são pouco proativos em exigir da indústria farmacêutica preços adequados e participação mais ativa nos ensaios clínicos. Por exemplo:

Além disso, falta conhecimento acerca do porquê desses tratamentos serem tão caros. É preciso ter uma negociação do governo federal em relação à indústria farmacêutica, no sentido de diminuir esse custo. O universo de pacientes com fibrose cística é grande o suficiente (são cerca de seis a oito mil pacientes de fibrose cística, no Brasil) e o uso do medicamento é contínuo, de modo que não há justificativa para um preço tão elevado. O governo precisa escutar mais as organizações (...). Além disso, é importante repensar a lei de 2012<sup>4</sup> de maneira mais flexível, de modo a atrair farmacêuticas interessadas em promover ensaios aqui no país (representante da ABRAM).

Agregam, ainda, que isso acontece mesmo que, em outros países, as terapias genéticas/celulares disponíveis se apliquem de forma frequente. Nesse sentido, observa-se as seguintes narrativas:

(...) Já no resto do mundo, existem alguns países que aplicam essas terapias [para a fibrose cística] de maneira sistemática, como em

especial na Inglaterra, Escócia e nos EUA (...) Atualmente, os poucos casos de pacientes tratados pelo Estado com terapia celular se deram através de disputa jurídica - nesse caso, o governo compra no varejo o medicamento daquele paciente específico (representante do GBEFC).

As pesquisas com terapias celulares e gênicas para o tratamento de hemofilia estão bastante avançadas - fases II ou III - e são bastante promissoras [no mundo] (...) A pesquisa de um modo geral, no Brasil, não é tão avançada. Nós não temos ensaios avançados nas terapias gênicas e de células-tronco. Nesse sentido, outros países do mundo estão bem à frente (representante da AJUDE-C).

Dois entrevistados descrevem que ANVISA aprovou, apenas muito recentemente, medicamentos novos de base genética/celular que foram logo incluídos no SUS. Segundo apontado por vários entrevistados, o grande problema que dificulta o tratamento genético/celular, em âmbito nacional, é a carência de diagnósticos genéticos adequados e de qualidade e a concentração dos serviços existentes nas regiões Sul e Sudeste – um obstáculo sinalizado por pesquisas acadêmicas pioneiras (HOROVITZ *et al.*, 2012). Isso gera também uma sub-representação da quantidade de pacientes cadastrados.

Os representantes das associações têm posições bastante diferentes em relação ao Plano Nacional de Doenças Raras. Entre os críticos, manifesta-se a opinião de que a lei peca ao juntar, em uma receita fechada, diversas doenças de características muito diferentes. Eles apontam, também, que existem erros na caracterização de algumas doenças como raras, devido à subnotificação nacional de casos. E reclamam, ainda, da falta de um registro oficial do governo que identifique a quantidade de casos de cada doença rara no país.

Entretanto, outros representantes expressam um certo consenso sobre alguns avanços na área, devido à nova normatização, por exemplo:

A Portaria 199, de 2014, ajudou no sentido de ser um marco na visibilidade das doenças raras. Além disso, a Portaria foi uma das responsáveis pela criação dos centros de referência citados. Com ela, a União repassa as verbas necessárias para os centros (...) Entretanto, a estruturação dessas leis nos âmbitos estaduais e municipais é uma tarefa difícil (representante da ABH).

Também consideram que, ainda que seja benéfica:

existem inúmeros desafios na regulamentação dessa Portaria. A própria instituição dos centros de referência ainda não ocorreu de maneira adequada em todos os Estados (representante da AMAVI).

Outro entrevistado explica que, ainda que a portaria tenha um papel importante, ela deve se constituir em um decreto do Poder Executivo e que a Federação que os representa está tentando trabalhar para que isso aconteça (representante da AJUDE-C).

A maioria dos entrevistados reporta uma participação direta das suas organizações nas instituições-chave internacionais, das quais recebem principalmente informação científica, apoio para participar em eventos e, às vezes, assessoramento médico. Mencionam-se, por exemplo: a *International Huntington Association* (IHA), a *European Federation of Crohn's and Ulcerative Colitis Association* (EFCCA), a *International Cystic Fibrosis/Muscovidosis Association*

(ICFMA), a *EURORDIS- Rare Disease Europe* e a *Retina International*. Eles enfatizam de que, diferente das organizações nacionais, as internacionais cobram quotas de filiação que, depois, usam para financiar pesquisas.

Em nível nacional, muitas fazem parte da Federação Brasileira de Doenças Raras (FEBRARARAS) - que agrupa 58 associações, e que tem muita força para se articular politicamente e batalhar para o desenvolvimento de políticas públicas - e do Fórum dos Portadores de Patologia de Doenças Raras. As universidades (por ex. a UNICAMP), centros de pesquisa e hospitais ocupam o primeiro lugar, como seus parceiros, e as ONGs relacionadas, o segundo. A parceria da indústria farmacêutica e de biotecnologia é de ainda menor importância, exceto nos poucos ensaios clínicos em MR (por exemplo: a Azidus Brasil, que está realizando testes em fase I e II, e o medicamento Cellavita HD para a doença de Huntington).

A totalidade dos entrevistados reclama da falta de divulgação do progresso na área pelos agentes do Estado, em especial, pela ANVISA. Acrescentam também que suas organizações são excluídas de alguns eventos públicos sobre doenças raras organizados pelo governo. Ainda assim, uma associação menciona de forma positiva a divulgação realizada pelo sistema legislativo estadual.

Recebemos apoio dos tribunais de justiça e da assembleia legislativa, por meio de divulgação. Os tribunais divulgam o trabalho da DII Brasil na intranet. Entretanto, o apoio dessas instituições seria maior, caso houvesse uma lei nacional voltada para doenças inflamatórias e intestinais. Quando houve a aprovação de uma lei estadual, em MG, os tribunais se mostraram muito mais solícitos (representante da DII Brasil).

Sobre o papel da mídia, os entrevistados diferem mais do que em outras questões. Muitos tendem a valorizar a mídia estadual e municipal que os convida para a divulgação de eventos específicos - como no mês de “agosto laranja”, no caso da esclerose múltipla. Em contraste, outros reclamam da falta de interesse da mídia em apresentar informações fidedignas desses tratamentos - como comprovado em trabalhos prévios da autora (ACERO, 2020a; 2020b). Comentam, por exemplo:

A mídia adora o denunciamento, não busca apresentar os avanços que o país dá em relação às doenças. Ela poderia ter uma ação muito melhor de expressão de conhecimento, revelar informações, etc. (representante da ABRAM).

Em síntese, apesar de serem organizações mais recentes, as associações de doenças raras são altamente ativas, no cenário nacional, e tem ligações internacionais importantes. Ocupam-se dos vazios na regulamentação e nas práticas de saúde, de um modo dominante, e participam da criação de formas de compreensão alternativas às convencionais das doenças que representam, além de oferecer aos pacientes afiliados os meios de acesso a diagnósticos e tratamentos.

## CONSIDERAÇÕES FINAIS

Voltando às categorias analíticas em nossa reflexão teórica - e talvez em razão do reconhecimento oficial tardio das doenças raras e das incertezas científicas

maiores nos tratamentos -, a maioria dessas associações se configuram como de “ativismo baseado na evidência” (RABEHARISOA; MOREIRA; AKRICH, 2014). Muitas delas trabalham “a partir de dentro” da ciência e da medicina para imaginar desenhos de políticas para as suas condições em saúde e associando pacientes e ativistas com especialistas e profissionais para formular novas bases de conhecimento científico. Constituem-se com um modelo semelhante àquele de “parceria” e as doenças são o foco da sua mobilização.

Outras dessas organizações têm um modo de funcionamento mais próximo ao “modelo emancipatório”: treinam alguns de seus membros com o objetivo de facilitar a interlocução informada com os especialistas. Dedicam-se a organizar mobilizações por causas de reconhecimento cidadão das doenças e dos direitos dos pacientes e tentam influenciar as políticas públicas. Essa situação híbrida, nos modelos de funcionamento, deriva também das variedades em tamanho e acesso a financiamento com as quais o campo se depara.

Por contraste, o modelo organizativo que prevalece nas associações de pacientes sobre doenças específicas corresponde mais tipicamente ao “modelo auxiliar”. Essas organizações se preocupam, principalmente, em ajudar os seus associados a transitar pelas suas doenças crônicas. Elas têm controle das pesquisas que realizam com seus próprios pacientes e, no caso daquelas que se associam a pesquisadores, não intervêm na sua definição nem implementação. Alguns de seus membros integram instituições públicas de representação de pacientes e desenvolvem uma reformulação reformista “a partir de dentro” da institucionalidade existente.

Desta forma, as associações descritas refletem apenas aspectos parciais da definição de “ciência cidadã” discutida no início do artigo. Elas atuam mais como contribuidoras e usuárias do conhecimento existente do que como produtoras, exceto no caso da Casa Hunter, que tem também a intenção de gerar conhecimentos novos. Assim, algumas questões podem ser aprofundadas em pesquisas futuras, como: porque a “ciência cidadã” assume características próprias nos países emergentes? Ela assume condições diferentes, em termos culturais e institucionais no Brasil?

Ainda assim, todas as associações envolvidas com a MR constroem algum nível de nova biosociabilidade mediada pelas biotecnologias, em especial, as associações de pacientes de doenças raras, um exemplo típico (BARBOSA, 2015). A sua constituição é motivada por questões biológicas comuns e menos exploradas, são fundadas por pessoas atingidas pelas doenças específicas e/ou familiares/amigos e operam junto a ativistas. Elas estão, na sua maioria, inscritas no movimento social em saúde do qual participam ativamente (NOVAS, 2008). As organizações pretendem interconectar uma pluralidade de visões e desenvolvem uma orientação ao serviço coletivo em saúde, com base nas habilidades e experiências de seus associados. Dessa forma, participam na construção do que Jasanoff (2006, p.127) definiu como “epistemologias cívicas” alternativas - formas mistas e tácitas de produção, apresentação, verificação e utilização do conhecimento na arena pública, ou seja, um aparato coletivo de formação de sentido que reflete significados culturais específicos.

## Biosocial relationships: brazilian patient associations in regenerative medicine

### ABSTRACT

Patient associations have emerged as a privileged *locus* mediating relations between the State and Society. This study analyzes their role in regenerative medicine in Brazil, prioritizing patient associations on rare disease. The main public engagement policies in health are discussed, the functions of patient organizations and the 'biosocial' relationships established. The study is based on a qualitative analysis of documents, secondary information from the internet and 12 online interviews to representatives of patient organizations on rare disease. Content analysis showed that the patient associations on rare disease studied function differently to patient organizations on specific diseases. They follow a partnership model with researchers, reformulate treatments and actively promote the implementation of public policy. Instead, patient organizations on specific diseases develop an auxiliary organizational model that mainly provides support to patients and researchers.

**KEYWORDS:** Patient associations. Rare disease. Regenerative medicine. Biosociabilities. Cellular and genetic therapy.

## NOTAS

<sup>1</sup> O levantamento das organizações de pacientes de doenças raras foi realizado pela Cure Tay-Sachs Brasil (<https://curetay-sachsbrasil.org>) e detalhado pela pesquisadora Hannah Ramos, bolsista do Instituto Nacional de Ciência e Tecnologia do Programa de Pós-graduação em Políticas Públicas, Estratégias e Desenvolvimento (INCT/PPED), do Instituto de Economia (IE) da Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ).

<sup>2</sup> Uma perspectiva que antecipa e avalia as implicações potenciais e as expectativas sociais em relação às pesquisas e à inovação, com o objetivo de propiciar desenhos inclusivos e sustentáveis (UE, 2021).

<sup>3</sup> Os medicamentos órfãos foram definidos como: a) aqueles utilizados para o tratamento de doenças que afetam mais de 200.000 pessoas, nos EUA, mas que tem baixa rentabilidade, ou b) aqueles utilizados para o tratamento de doenças que afetam menos de 200.000 pessoas.

<sup>4</sup> Refere-se à Resolução da Diretoria Colegiada da ANVISA (RDC 36), de 2012, que obriga a instituição responsável pelo ensaio clínico a prestar assistência aos pacientes mesmo após a pesquisa clínica (assistência de custeio – de transporte e estadia – que anteriormente as organizações costumavam facilitar).

## AGRADECIMENTOS

Agradeço às Prof. Maria Tereza Leopardi e Ana Celia Castro, Coordenadora e Vice coordenadora do Programa de Pós-Graduação em Políticas Públicas, Estratégias e Desenvolvimento (PPED), do Instituto de Economia (IE), da Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ), pelo apoio ao meu trabalho como Professora Visitante Sênior Estrangeira, e ao Instituto Nacional de Ciência e Tecnologia em Políticas Públicas, Estratégias e Desenvolvimento (INCT/PPED) pela participação no Projeto de Pesquisa (INCT-PPED/IPEA) “Desmonte e Reconstrução de Políticas e Capacidades Estatais para o mundo pós-pandemia”, do qual o presente artigo faz parte. Também agradeço ao bolsista de iniciação científica Leonardo Bueno, aluno da graduação do IE/UFRJ, pela sua participação na realização das entrevistas dos representantes de associações de doenças raras.

## REFERÊNCIAS

ACERO, Liliana. Science, public policy and engagement: debates on stem cell research in Brazil. **Genomics, Society and Policy**, Lancaster, v. 6, n. 3, p. 15-31, dez. 2010. <http://dx.doi.org/10.1186/1746-5354-6-3-15>.

ACERO, Liliana. **Pesquisas e terapias com células-tronco: governança, visões sociais e o debate no Brasil**. Rio de Janeiro: E-papers, 2011a.

ACERO, Liliana. Pesquisas com Células-Tronco no Brasil: Perspectivas do Progresso Científico e dos Conhecimentos Especializados e Leigos. **Revista Brasileira de Ciência, Tecnologia e Sociedade**, [S.l.], v. 2, n. 2, p. 15-31, jul-dez. 2011b.

ACERO, Liliana. Uma análise de matérias televisivas em ciência: o caso da medicina regenerativa no Brasil. **Revista Tecnologia e Sociedade**, Curitiba, v. 16, n. 45, p. 76, 25 set. 2020a. <http://dx.doi.org/10.3895/rts.v16n45.11632>.

ACERO, Liliana. Enquadramentos na medicina regenerativa: os relatos recentes na imprensa brasileira. **Revista Eletrônica de Comunicação, Informação e Inovação em Saúde**, Rio de Janeiro, v. 14, n. 4, p. 942-959, 17 dez. 2020b. <http://dx.doi.org/10.29397/reciis.v14i4.1966>.

BIERNACKI, Patrick; WALDORF, Dan. Snowball Sampling: problems and techniques of chain referral sampling. **Sociological Methods & Research**, Beverly Hills, v. 10, n. 2, p. 141-163, nov. 1981. <http://dx.doi.org/10.1177/004912418101000205>.

BLUME, Stuart. Land of Hope and Glory: Exploring Cochlear Implantation in the Netherlands. **Science, Technology, & Human Values**, [S.l.], v. 25, n. 2, 2000, p. 139–166.

BRASIL. Portaria do Ministério da Saúde n. 199, de 30 de janeiro de 2014. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 12 fev. 2014.

BUSSU, S. et al. (ed.). **The best of Sciencewise reflections on public dialogue**. Londres: Sciencewise, 2014.

CALLON, Michel. The increasing involvement of concerned groups in R&D policies: what lessons for public powers? In: GEUNA, Aldo; SALTER, Ammon J.; STEINMUELLER, W. Edward (ed.). **Science and Innovation: rethinking the rationales for funding and governance**. Aldershot: Edward Elgar, 2003. p. 30-68. (New Horizons in the Economics of Innovation Series).

CAVALCANTE, R. B.; CALIXTO, P.; PINHEIRO, M. M. K. Análise de Conteúdo: considerações gerais, relações com a pergunta de pesquisa, possibilidades e limitações do método. **Informação & Sociedade: Estudos**, João Pessoa, v. 24, n. 1, 30 abr. 2014.

COLLINS, Harry; EVANS, Robert. The Third Wave of Science Studies. **Social Studies of Science**, Londres, v. 32, n. 2, p. 235-296, abr. 2002. <http://dx.doi.org/10.1177/0306312702032002003>.

COLLINS, Harry; EVANS, Robert; WEINEL, Martin. STS as science or politics? **Social Studies of Science**, Londres, v. 47, n. 4, p. 580-586, 22 jun. 2017. <http://dx.doi.org/10.1177/0306312717710131>.

DRESSER, Rebecca. **When science offers salvation: patient advocacy and ethics**. Oxford: Oxford University Press, 2001.

EGE - European Group on Ethics in Science and New Technologies. The ethical implications of new health technologies and citizen participation. **Opinion**, n. 29. Bruxelas: UE, 2015.

EPSTEIN, Steven. The Construction of Lay Expertise: aids activism and the forging of credibility in the reform of clinical trials. **Science, Technology, & Human Values**,

[S.l.], v. 20, n. 4, p. 408-437, out. 1995.  
<http://dx.doi.org/10.1177/016224399502000402>.

EU- European Union. Responsible research & innovation. Disponível em:  
<https://ec.europa.eu/programmes/horizon2020/en/h2020-section/responsible-research-innovation>. Acesso em: 18 jan. 2021.

HARAWAY, Donna. Situated Knowledges: the science question in feminism and the privilege of partial perspective. **Feminist Studies**, College Park, v. 14, n. 3, p. 575, 1988. <http://dx.doi.org/10.2307/3178066>.

HOROVITZ, Dafne Dain Gandelman *et al.* Genetic services and testing in Brazil. **Journal of Community Genetics**, [S.l.], v. 4, n. 3, p. 355-375, 5 maio 2012. <http://dx.doi.org/10.1007/s12687-012-0096-y>.

IRWIN, Alan. **Citizen Science: A Study of People, Expertise and Sustainable Development**, Londres: Routledge, 1995. (Environment and Society).

IRWIN, Alan; JENSEN, Torben Elgaard; JONES, Kevin. The good, the bad and the perfect: criticizing engagement practice. **Social Studies of Science**, Londres, v. 43, n. 1, p. 118-135, 19 nov. 2012. <http://dx.doi.org/10.1177/0306312712462461>

JASANOFF, Sheila. **Designs on Nature: Science and Democracy in Europe and the United States**. Princeton: Princeton University Press, 2006.

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. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 23, n. 10, p. 3247-3256, out. 2018. <http://dx.doi.org/10.1590/1413-812320182310.14762018>.

MAZANDERANI, Fadhila; KELLY, Jenny; DUCEY, Ariel. From embodied risk to embodying hope: therapeutic experimentation and experiential information sharing in a contested intervention for multiple sclerosis. **Biosocieties**, [S.l.], v. 13, n. 1, p. 232-254, 20 set. 2017. Springer Science and Business Media LLC. <http://dx.doi.org/10.1057/s41292-017-0066-z>.

MCGOWAN, Michelle L. *et al.* "Let's pull these technologies out of the ivory tower": the politics, ethos, and ironies of participant-driven genomic research. **Biosocieties**, [S.l.], v. 12, n. 4, p. 494-519, 22 mar. 2017. <http://dx.doi.org/10.1057/s41292-017-0043-6>.

Ministério da Saúde - MS. Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Comissão Nacional de Incorporação Tecnologias no SUS. **Relatório 142**. Brasília: MS, 2015.

MOREIRA, Martha Cristina Nunes *et al.* 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**, Rio de Janeiro, v. 34, n. 1, e00058017, 2018. <https://doi.org/10.1590/0102-311x00058017>.

NOVAS, Carlos. Patients, profits and values: myozyme as an exemplar of biosociality. In: GIBBON, Sarah; NOVAS, Carlos (ed.) **Biosocialities, genetics and the social sciences: making biologies and identities**. Londres: Routledge, 2008.

NOWOTNY, Helga; SCOTT, Peter B.; GIBBONS, Michael T. **Re-thinking science: Knowledge and the public in an age of uncertainty**. Cambridge: Polity Press, Blackwell Publishers, 2001.

PINTO, Deirdre; MARTIN, Dominique; CHENHALL, Richard. Chasing cures: rewards and risks for rare disease patient organisations involved in research. **Biosocieties**, [S.l.], v. 13, n. 1, p. 123-147, 31 jul. 2017. <http://dx.doi.org/10.1057/s41292-017-0061-4>.

RABEHARISOA, Vololona. The struggle against neuromuscular diseases in France and the emergence of the “partnership model” of patient organisation. **Social Science & Medicine**, Oxford, v. 57, n. 11, p. 2127-2136, dez. 2003. [http://dx.doi.org/10.1016/s0277-9536\(03\)00084-4](http://dx.doi.org/10.1016/s0277-9536(03)00084-4).

RABEHARISOA, Vololona; MOREIRA, Tiago; AKRICH, Madeleine. Evidence-based activism: patients’, users’, and activists’ groups in knowledge society. **Biosocieties**, [S.l.], v. 9, n. 2, p. 111-128, 31 mar. 2014. <http://dx.doi.org/10.1057/biosoc.2014.2>.

RABINOW, Paul. Artificiality and enlightenment: From sociobiology to biosociality. In: RABINOW, Paul. (ed.) **Essays on the anthropology of reason**. Princeton: Princeton University Press, 1996. p.91-107.

SALTER, Brian; ZHOU, Yinhua; DATTA, Saheli. Hegemony in the marketplace of biomedical innovation: consumer demand and stem cell science. **Social Science & Medicine**, Oxford, v. 131, p. 156-163, abr. 2015. <http://dx.doi.org/10.1016/j.socscimed.2015.03.015>.

SOARES, Jussara Calmon Reis de Souza; DEPRÁ, Aline Scaramussa. Ligações perigosas: indústria farmacêutica, associações de pacientes e as batalhas judiciais por acesso a medicamentos. **Physis: Revista de Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 22, n. 1, p. 311-329, 2012. <http://dx.doi.org/10.1590/s0103-73312012000100017>.

WEBSTER, Andrew; WYATT, Sally (eds). **Health, Technology and Society: Critical Enquiries**. Basingstoke: Palgrave Macmillan, 2020.

WICKS, Paul *et al.* Scaling PatientsLikeMe via a “Generalized Platform” for Members with Chronic Illness: web-based survey study of benefits arising. **Journal of Medical Internet Research**, [S.l.], v. 20, n. 5, e175, 7 maio 2018. <http://dx.doi.org/10.2196/jmir.9909>.

WYNNE, Brian. Public Understanding of Science. In: JASANOFF, Sheila *et al.* (ed.). **Handbook of Science and Technology Studies**. Thousand Oaks: Sage, 1995. P. 361-388.

**Recebido:** 29/03/2021

**Aprovado:** 24/02/2022

**DOI:** 10.3895/rts.v18n51.13998

**Como citar:** ACERO, L. Relações ‘biossociais’: as associações de pacientes e a medicina regenerativa no Brasil. *Rev. Tecnol. Soc.*, Curitiba, v. 18, n. 51, p. 43-58, abr./jun., 2022. Disponível em: <https://periodicos.utfpr.edu.br/rts/article/view/13998>. Acesso em: XXX.

**Correspondência:**

**Direito autorial:** Este artigo está licenciado sob os termos da Licença Creative Commons-Atribuição 4.0 Internacional.

