



HAL
open science

Les organisations représentatives de patients de maladies rares dans l'arène publique de la démocratie sanitaire au Brésil

Fernando Aith, Julino Soares Neto, Marina Borba, Claudio Cordovil

► To cite this version:

Fernando Aith, Julino Soares Neto, Marina Borba, Claudio Cordovil. Les organisations représentatives de patients de maladies rares dans l'arène publique de la démocratie sanitaire au Brésil. *Journal de droit de la santé et de l'assurance maladie*, 2023, 36. hal-04685695

HAL Id: hal-04685695

<https://hal.science/hal-04685695v1>

Submitted on 3 Sep 2024

HAL is a multi-disciplinary open access archive for the deposit and dissemination of scientific research documents, whether they are published or not. The documents may come from teaching and research institutions in France or abroad, or from public or private research centers.

L'archive ouverte pluridisciplinaire **HAL**, est destinée au dépôt et à la diffusion de documents scientifiques de niveau recherche, publiés ou non, émanant des établissements d'enseignement et de recherche français ou étrangers, des laboratoires publics ou privés.

Fernando Aith

Professeur Titulaire de Droit de la Santé à l'Université de São Paulo – Brésil ; Directeur Général du Centre de Recherche en Droit de la Santé de l'Université de São Paulo – Brésil (Cepedisa/Usp)

Julino Soares Neto

Chercheur du Centre de Recherche en Droit de la Santé de l'Université de São Paulo – Brésil (Cepedisa/Usp)

Marina Borba

Chercheur du Centre de Recherche en Droit de la Santé de l'Université de São Paulo – Brésil (Cepedisa/Usp)

Claudio Cordovil

Chercheur de la Fondation Oswaldo Cruz, Brésil (Fiocruz)

Les organisations représentatives de patients de maladies rares dans l'arène publique de la démocratie sanitaire au Brésil

Résumé

Les organisations représentatives des patients (ORP) émergent dans le monde entier comme de nouveaux espaces de participation sociale. Cependant, peu d'études ont évalué comment les différentes ORP occupent les espaces de participation et comment se déroulent les processus de litige entre ces acteurs. Ainsi, il est nécessaire de comprendre les enjeux des ORP dans la construction de la légitimité de représentation, dans la constitution de réseaux, dans la réalisation de plaidoyers et dans la transparence de leurs actions. **OBJECTIF** : Décrire le profil des coalitions et des organisations représentatives des patients dans les maladies rares au Brésil, ainsi que leurs principales caractéristiques et l'impact de leurs actions sur les politiques publiques. **MÉTHODE** : Il s'agit d'une recherche qualitative avec une approche exploratoire-descriptive, réalisée à partir du recensement des publications scientifiques, de la littérature grise et des notes de terrain. **RÉSULTATS** : 518 ORP travaillant sur les maladies rares au Brésil ont été identifiés. Les maladies rares avec le plus grand nombre d'enregistrements ORP au Brésil sont la maladie de Gaucher, avec 54 enregistrements. Les maladies rares prioritaires au Brésil avec le plus grand nombre d'enregistrements ORP sont les anomalies congénitales ou les manifestations tardives avec 10 enregistrements. Six coalitions ORP ont été identifiées dans les maladies rares opérant au Brésil, rejoignant entre 17 et 532 ORP. **CONCLUSIONS** : La stratégie des différentes ORP en coalitions est légitime et nécessaire, compte tenu des enjeux d'accès aux soins et des négociations complexes entre les différentes sphères de pouvoir publiques et privées. En ce sens, la coopération entre les ORP et ses coalitions semble être la meilleure voie pour une plus grande efficacité de la participation sociale dans les processus décisionnels des politiques publiques.

Mots clés

Politique de santé ; Maladies rares ; Participation communautaire ; Innovation organisationnelle ; Plaidoyer pour la santé

Abstract

Civil Society in the Public Policy Arena: meetings and disagreements of representing patients with rare diseases in Brazil

*Patient Representative Organizations (PRO) emerge around the world as new spaces for social participation. However, few studies have evaluated how different PROs occupy spaces of participation and how dispute processes between these actors take place. Thus, it is necessary to understand the challenges of PROs in the construction of representation legitimacy, in the formation of networks, in performing advocacy and in the transparency of their actions. **OBJECTIVE:** To describe the profile of coalitions and Patient Representative Organizations in rare diseases in Brazil, as well as their main characteristics and the impact of their actions on public policies. **METHOD:** This is a qualitative research with an exploratory-descriptive approach, carried out from the survey of scientific publications, gray literature and field notes. PRO data were collected from the following sources: Lima; Map of Civil Society Organizations of the Brazilian Institute for Applied Research (IPEA); Facebook and on the PROs websites. **RESULTS:** 518 PROs working on rare diseases in Brazil were identified. The rare diseases with the highest number of PRO records in Brazil are Gaucher disease, with 54 records. The priority rare diseases in Brazil with the highest number of PRO records are Congenital Anomalies or Late Manifestation with 10 records. Six PRO coalitions were identified in rare diseases operating in Brazil, joining between 17 and 532 PROs. **CONCLUSIONS:** The strategy of different PROs in coalitions is legitimate and necessary, considering the challenges regarding the access to treatment gathering and the complex negotiations among different public and private spheres of power. In this sense, cooperation between PROs and its coalitions seems to be the better path for greater effectiveness of social participation in public policy decision-making processes.*

Keywords

Health Policy; Rare Diseases; Community Participation; Organizational Innovation; Health Advocacy

1. Introduction

Les **organisations représentatives des patients (OPR)** émergent dans le monde entier comme de nouveaux espaces de participation sociale, en utilisant des interventions innovantes pour promouvoir les droits des personnes ayant des besoins de santé, en promouvant et organisant des plateformes de coalition nationales et transnationales, ainsi qu'en contribuant dans des domaines auparavant réservés aux chercheurs et aux professionnels de la santé¹. Les OPR sont essentielles pour que la démocratie sanitaire fonctionne efficacement. Cependant, peu d'études ont évalué comment les différentes OPR occupent les espaces de participation démocratique et comment se déroulent les processus de conflit entre ces acteurs². Ainsi, il est nécessaire de comprendre les enjeux des OPR dans la démocratie sanitaire, dans la constitution des réseaux sociaux, dans la réalisation de plaidoyers, dans la transparence de leurs actions et dans la construction du droit de la santé.

Les réseaux sociaux dans le cadre des politiques publiques et caractérisent par la décentralisation et la multiplication de demandes sociales hétérogènes non satisfaites par les politiques étatiques, dans lesquelles la société commence à jouer un rôle pertinent dans le cycle des politiques publiques et autour des dispositifs de gouvernance innovants. Or, l'efficacité des réseaux sociaux est liée à la capacité de mobiliser et de regrouper des ressources dispersées dans la recherche de solutions convergentes, légitimées par l'action collective de différents acteurs sociaux : « Cette vision traduit une évolution des rapports entre l'État et la société, avec des tendances vers une gestion partagée et interinstitutionnelle impliquant le secteur public, le secteur productif et le tiers secteur »³. Par ailleurs, on peut considérer les réseaux comme un moyen adéquat pour « gérer des politiques et des projets là où les ressources sont rares, les problèmes complexes et les acteurs intéressés nombreux »⁴, comme c'est le cas dans le domaine de la santé publique, plus spécifiquement pour les maladies rares.

1 - Nunes, JA, Matias, M., & Filipe, Â. M. (2007). Patient organizations as emerging actors in the health space: the case of Portugal. *Electronic Journal of Communication, Information and Innovation in Health*. Traduction propre.

2 - Albuquerque A, Soares Neto JAR. Patient organizations and their role in implementing health care rights. *Ibero-American Health Law Notebooks*. 2022jan./mar.;11(1): 144-162.

3 - FREY, 2003.

4 - Fleury S. Policy networks: new challenges for public management. *Administration in Diálogo, São Paulo*, no 7, 2005, pp. 77-89.

Le domaine de la santé publique caractérise clairement un sous-système spécifique de politiques publiques, et comprend plusieurs groupes d'intérêts aux trajectoires distinctes et interdépendantes. Plusieurs termes faisant référence à des sous-systèmes dans les politiques publiques ont été inventés, tels que communautés de politiques publiques, communautés thématiques, communautés épistémiques et coalitions de plaidoyer. Ainsi, une manière de mieux comprendre la participation sociale dans le cadre de la démocratie sanitaire est à partir d'une *approche réseau* qui permet d'appréhender les dynamiques sociales et politiques en considérant que les individus agissent au sein de réseaux de relations complexes⁵. Les coalitions dans le sein de la société sont composées d'individus et d'institutions qui partagent des convictions, des opinions, des idées et des objectifs dans le processus de politique publique⁶. En ce sens, les coalitions sociales peuvent être caractérisées comme « des groupes d'acteurs qui s'organisent, formellement ou informellement, dans le but d'exercer une pression sur une politique publique particulière, et ainsi d'influencer son résultat ».

Les organisations représentatives de patients (OPR) dans le domaine des maladies rares ont gagné en importance dans les médias et dans l'agenda gouvernemental ces dernières années, ajoutant plusieurs caractéristiques pertinentes à l'étude des coalitions de défense de droits (y compris le droit à la santé) et à l'étude des politiques de santé publique. Pour de nombreux patients de maladies rares, les médicaments et les traitements médicaux ne sont pas disponibles ou sont complètement inaccessibles, avec des prix stratosphériques. Beaucoup de ces patients sont pauvres et, devant être traités pour une maladie rare, ils ne sont pas considérés comme un marché viable par l'industrie pharmaceutique, car ils ne représentent pas une base de consommateurs suffisamment large pour justifier les investissements importants de l'industrie pharmaceutique dans la recherche nécessaire au développement de nouveaux traitements. Tous ces patients font donc face à ce qu'on appelle des « besoins médicaux non satisfaits ».

2. Objectif et méthodologie

Cet article a comme objectif de décrire le profil des organisations et des coalitions représentatives de patients de maladies rares au Brésil, ainsi que leurs principales caractéristiques, l'impact de leurs actions sur les politiques publiques de santé et sur la construction du droit de la santé.

Pour achever cet objectif, nous avons développé une recherche qualitative avec une approche exploratoire-descriptive, réalisée à partir du recensement des publications scientifiques, de la littérature grise et des notes de terrain.

Initialement, nous avons organisé la cartographie des ORP et des coalitions de ORP qui travaillent sur les maladies rares au Brésil, en utilisant des techniques de recherche documentaire et bibliographique. Cette cartographie sert à une compréhension globale des contextes sociaux et politiques qui peuvent constituer des indicateurs de convergences et de divergences entre les ORP et d'autres groupes d'intérêts qui travaillent sur les maladies rares au Brésil⁷.

Les données sur les ORP ont été collectées à partir des sources variées, tels que de la bibliographie⁸, la Carte des organisations de la société civile⁹ et les pages d'internet des ORP identifiées et analysées.

5 - Dowding K. Model or Metaphor? A Critical Review of the Policy Network Approach. *Political Studies*, 43, 1(1995), 136-158 ; Hooghe L, Marks G. Unraveling the central state, but how? Types of multi-level governance. *The American Political Science Review*, 97, 2 (2003), 233-243 ; Osborne SP. (Ed.). *The new public governance? Emerging perspectives on the theory and practice of public governance*. London, New York: Routledge, 2010 ; Calmon PCP, Costa ATM. Public policy networks and governance. *Public Policy Research Journal*. 1 (2013), p. 1-29 ; Capella ACN, Brazil FG. Subsystems, communities and networks: articulating ideas and interests in the formulation of public policies. *Service Magazine _ Public Brasília* 66 (3) 449-474 Jul /Sep 2015 ; Brazil. Ministry of Health. National Commission for the Incorporation of Technologies in the SUS. (2015). Prioritization of Therapeutic Protocols and Guidelines for Comprehensive Care for People with Rare Diseases. Recommendation Report No. 142. Available at: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDDT_DoencasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf.

6 - Souza, Luiz Ricardo de and Secchi, Leonardo The Scientific and Technological Policy of Santa Catarina: analysis from the defense coalition model. *Journal of Public Administration* [online]. 2014, v. 48, n°. 4 [Accessed 17 May 2022], pp. 939-960.

7 - MARCONI, Marina de Andrade ; LAKATOS, Eva Maria. *Fundamentals of scientific methodology*. 5th ed. Sao Paulo: Atlas, 2003 ; YIN, Robert K. *Case Study: Planning and Methods*. 5th ed. Porto Alegre: Bookman, 2015.

8 - Lima, MAFD Rare disease patient associations and social media. 2018. 168 f. Thesis (Doctorate in Children's and Women's Health) - Fernandes Figueira National Institute of Women's Health, Children and Adolescents, Oswaldo Cruz Foundation, Rio de Janeiro, 2018. Disponible sur : <https://www.arca.fiocruz.br/handle/icict/40463#:~:text=As%20associa%C3%A7%C3%B5es%20de%20pacientes%20t%C3%AAm,tamb%C3%A9m%20a%C3%A7%C3%B5es%20e%20inten%C3%A7%C3%B5es>.

9 - La carte des organisations de la société civile (MOSC), ou simplement la carte des OSC, est une plateforme virtuelle collaborative de transparence publique avec des données d'OSC de tout le Brésil. Créé à partir du décret 8.726/2016, qui régleme la loi 13.019/2014, connue sous le nom de cadre réglementaire pour les OSC - la carte est gérée par l'Institut de recherche économique appliquée (IPEA). Il intègre un volume important et croissant de données officielles provenant de sources publiques et privées, constamment mises à jour. Il est également alimenté par des informations transmises directement par les OSC et les entités fédérées, dans un large processus collaboratif. Source : Extrait de l'IPEA. Disponible sur : <https://mapaosc.ipea.gov.br/>.

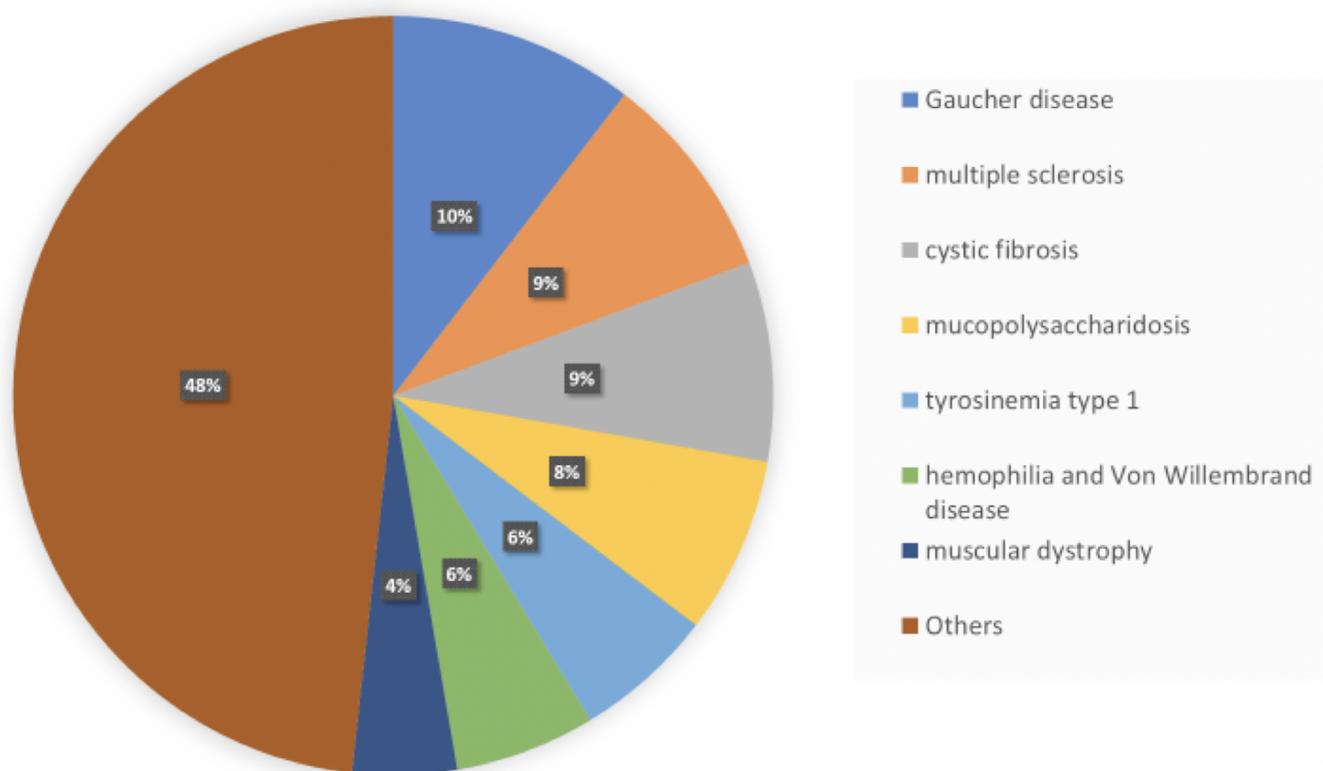
Les résultats ont été analysés du point de vue de l'analyse de réseau, qui propose une stratégie générale pour l'investigation des structures sociales en mettant l'accent sur la relation entre les acteurs. Ainsi, nous avons mis en évidence certaines mesures de connectivité, telles que : la taille des réseaux et la densité des connexions ; la complexité ou la capacité organisationnelle des actions en termes de processus de mobilisation et de cohésion entre ces acteurs ; et les influences possibles sur les dimensions de l'intérêt public.

3. Cartographie des organisations représentatives de patients (ORP) de maladies rares au Brésil

La recherche a identifié 518 ORP travaillant sur les maladies rares au Brésil. Les maladies rares avec le plus grand nombre d'ORP enregistrées au Brésil sont pour la maladie de Gaucher, avec 54 enregistrements, suivie de la sclérose en plaques (46), de la fibrose kystique (44), de la mucopolysaccharidose (39), de la tyrosinémie de type 1 (31), de l'hémophilie et de la maladie Von Willebrand (31 dossiers) et de la dystrophie musculaire (23). Ces sept maladies représentent 52 % des enregistrements des ORP (**Figure 1**).

Figure 1. Maladies avec le plus grand nombre d'enregistrements PRO au Brésil

Les maladies rares prioritaires au Brésil¹⁰ avec le plus grand nombre d'ORP enregistrées sont les anomalies congénitales, avec 10 enregistrements ; les déficiences intellectuelles, avec 9 enregistrements ; suivi des anomalies chromosomiques et des complexes malformatifs avec 5 enregistrements (**Tableau 1**). Nous avons identifié que ces ORP, axées sur le groupe des maladies rares prioritaires, sont concentrées exclusivement dans les régions du Sud-Est et du Sud du Brésil.



10 - Brésil. Ministère de la Santé. Commission Nationale pour l'Incorporation des Technologies dans le SUS (2015). Hiérarchisation des protocoles thérapeutiques et lignes directrices pour des soins complets pour les personnes atteintes de maladies rares. Rapport de recommandation n° 142. Disponible : http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoencasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf.

NOUVELLES DE L'ÉTRANGER

Tableau 1. Répartition des organisations représentatives des patients au Brésil par axe, maladie et/ou groupe de maladies rares prioritaires et localisation régionale sur le territoire brésilien.

AXE/GROUPE	MALADIES/GROUPES DE MALADIES	ORP N°.	Région
AXE I - Anomalies Congénitales ou Manifestation Tardive	Polyneuropathie amyloïdotique familiale	1	Sud-est
	Anomalies de la détermination et de la différenciation sexuelles	1	Sud-est
	immunodéficiences primaires	3	Sud-est; Sud
	Anomalies chromosomiques et complexes malformatifs (y compris : craniosténose/dysostoses craniofaciales ; ostéocondrodysplasie ; syndrome de Marfan et apparentés ; troubles de la réparation de l'ADN/instabilité chromosomique ; syndrome de Noonan et apparentés, et phacomatoses)	5	Sud-est, Sud
AXE I - Déficience intellectuelle	Déficience intellectuelle associée à des syndromes et complexes malformatifs	5	Sud-est, Sud
	Déficience intellectuelle associée à une altération chromosomique		
	Déficience intellectuelle liée à l'X		
	Déficience intellectuelle tératogène		
	Déficience intellectuelle non syndromique idiopathique	1	Sud-est
	Déficience intellectuelle autosomique non syndromique	3	Sud-est; Sud
AXE I - Erreurs innées du métabolisme	Syndrome de Rett et autres	-	Autres
	Syndrome de l'X fragile	2	Sud
	Aminoacidopathies (y compris les neurotransmetteurs diagnostiqués avec les hyperphénylalaninémies)	3	Sud-est; Sud
	Erreurs innées du métabolisme avec manifestation aiguë (y compris : intolérances au sucre ; défauts de βoxydation des acides gras ; troubles du cycle de l'urée ; glyco-génoses ; aciduries organiques et porphyries)	-	Autres
AXE II - Infectieux	Adréno-leucodystrophie liée à l'X et maladies peroxysomales	-	Autres
AXE II - Infectieux	Infection mycobactérienne et BCGite	-	Autres
AXE II - inflammatoire	Maladie de Still de l'adulte	1	Autres
AXE II - Auto-immune	Vascularite systémique primaire	1	Autres
Total		26 PRO	Sud-est ; Sud

Six coalitions d'ORP ont été identifiées opérant au Brésil pour la protection des maladies rares, rejoignant entre 17 et 532 ORP (**tableau 2**). La recherche d'informations sur les sites Internet de ces coalitions et des ORP respectives de leurs directeurs exécutifs indique les compétences suivantes : capacité à dialoguer et à mobiliser les acteurs politiques influents dans les différentes sphères de pouvoir et niveaux de gouvernement ; dialogue avec les organismes de réglementation au Brésil et dans d'autres pays ; rapprocher les acteurs associatifs des secteurs public et privé ; construction du premier centre de soins complets et de formation pour les maladies rares au Brésil ; et l'occupation de postes publics stratégiques dans le domaine de la santé.

Cependant, le rapport d'activités des ORP consultés pour l'année 2021 et la déclaration de conflits d'intérêts n'ont pas été retrouvés sur leurs sites respectifs. Une seule coalition a cité la présence d'entreprises pharmaceutiques parmi les collaborateurs de l'initiative. Nous soulignons qu'il n'y a eu aucune mention d'activités conjointes entre ces coalitions ni même de citations croisées des coalitions sur les sites Internet consultés, suggérant, pour le moins, l'absence de dialogue.

Tableau 2. Coalitions d'organisations représentatives des patients dans les maladies rares opérant au Brésil.

Nom	Mission	Associés	Participation sociale	Site Web
Fédération brésilienne des associations de maladies rares (FEBRARARAS)	Sa création répond à une volonté ancienne et récurrente des associations représentatives de diverses maladies rares, basées dans tout le Brésil, et comble un vide existant dans la représentation nationale.	59	Action gouvernementale, recherche et communication sociale	http://febrararas.org/index.html
Alianza Iberoamericana de Enfermedades Raras, Huérfanas ou Poco Frecuentes (ALIBER)	Présent dans 17 pays d'Ibéro-Amérique, qui coordonne des actions pour renforcer le mouvement associatif, donner de la visibilité à l'EERR et représenter les personnes atteintes de maladies peu fréquentes en Ibéro-Amérique auprès des organisations locales, régionales, nationales et internationales, créant un espace de collaboration conjointe et permanente pour partager connaissances, expériences et bonnes pratiques dans les domaines sociaux, de la santé, de l'éducation et du travail.	Elle regroupe 532 associations de patients dont 16 PRO brésiliennes.	Action gouvernementale, recherche et communication sociale – Amérique latine	https://aliber.org/web/
Fédération des associations de maladies rares du Nord, du Nord-Est et du Midwest (FEDRANN)	Nous sommes une institution non gouvernementale à but non lucratif dont le but est d'aider les associations de maladies rares N, NE et OE, ainsi que les patients atteints de maladies rares.	Information non trouvée	Focus sur la communication sociale et gouvernementale - opérations dans le nord et le nord-est du Brésil	https://www.instagram.com/fedrann_oficial/
Alliance Dystrophie Brésil (ADB)	C'est la plus grande organisation nationale de personnes atteintes de dystrophie musculaire au Brésil. C'est une institution privée à but non lucratif.	17 associations et mouvements	Miser sur la communication sociale	https://www.distrophiabrasil.org.br/
Alliance brésilienne des associations et groupes de soutien pour les personnes atteintes de maladies rares	Non trouvée	Non trouvé	Non trouvée	Non trouvé
Biored Brésil	Biored Brasil est un projet de plaidoyer, de relations publiques, de communication et de contrôle social formé par un réseau d'organisations de patients pour discuter des questions entourant les médicaments biotechnologiques, en mettant l'accent sur les médicaments biosimilaires.	Il se compose de plus de 80 représentations	Action gouvernementale et communication sociale	https://www.bioredbrasil.com.br/

4. Les organisations représentatives des patients dans l'arène public de la démocratie sanitaire au Brésil

On peut énumérer les avancées importantes des politiques publiques pour les patients atteints de maladies rares au Brésil ces dernières années, mais nous n'avons trouvé aucune mention officielle de la participation des ORP à ces initiatives. Malgré l'institutionnalisation de certains espaces de participation sociale, ceux-ci ne suffisent pas à garantir la participation et l'influence effectives des acteurs sociaux dans les processus de décision et d'élaboration des politiques publiques, du fait des conflits d'intérêts, des asymétries sociales et de savoir¹¹.

La forte concentration des ORP pour certaines maladies rares et le faible chevauchement de cette représentation pour les maladies rares prioritaires au Brésil peuvent indiquer : l'existence d'inégalités dans le processus de participation ; la surcharge des coalitions pour représenter les multiples demandes des patients ; ou la sous-représentation des demandes de ces patients. La participation sociale peut contribuer à la réduction des inégalités en matière de santé, mais cette contribution est moins déterminée par la qualité du processus participatif et davantage par le caractère des alliances politiques et des processus de mobilisation menés par la société civile¹².

Certes, le caractère inter-organisationnel, de nature sociale et politique, des coalitions de ORP ne peut être appréhendé de manière dissociée de leur contexte stratégique et institutionnel. Cependant, les données suggèrent que l'absence de dialogue ou même des conflits sur la légitimité de la représentation pourraient compromettre la formation de réseaux de politiques publiques avec une plus grande capacité d'incidence.

Les données recueillies dans cette recherche suggèrent que les ORP présentent une meilleure transparence des activités, un plus grand dynamisme et diversification dans l'occupation des espaces de participation sociale par rapport aux coalitions auxquelles elles appartiennent, indiquant l'existence de difficultés de coordination entre les membres eux-mêmes.

Il existe plusieurs études sur la performance diversifiée des ORP¹³, mais les études manquent encore pour étayer une analyse plus approfondie des différentes formes d'action des ORP dans les coalitions, comme espace de potentialisation de la citoyenneté, dépassant leurs propres besoins et intérêts individuels. On peut supposer que le modèle de sociabilité promu au sein des ORP a un rôle pertinent dans la formation des coalitions :

« Pour comprendre la santé des individus et la manière dont ils affrontent la maladie, il est nécessaire d'analyser leurs pratiques (itinéraires thérapeutiques), à partir du contexte dans lequel elles prennent forme, car chaque contexte a ses propres caractéristiques et spécificités. C'est dans ce contexte que se déroulent les événements quotidiens (économiques, sociaux et culturels) qui organisent la vie collective, qui encadrent la vie biologique et c'est en son sein qu'évoluent les individus en même temps que se forment leurs corps, leurs pensées, leurs actions. D'autre part, il faut aussi considérer les individus comme des acteurs sociaux, définis à la fois par l'espace social dans lequel ils s'insèrent et par la conscience d'agir sur cet espace »¹⁴.

La création et le maintien de coalitions entre les ORP nécessiteraient des efforts plus importants en raison de la distance géographique, économique et culturelle, comme la capacité de négocier et de générer un consensus, d'établir des règles, de distribuer des ressources, de construire des mécanismes collectifs et des processus décisionnels.

Au Brésil, la plupart des ORP sont structurées comme des organisations à but non lucratif, avec des activités diversifiées dans le domaine de la santé et différents arrangements institutionnels. Avec la popularisation des nouveaux réseaux sociaux (par exemple Facebook), plusieurs ORP ont émergé qui n'étaient pas légalement constituées. Ainsi, il existe une variation dans la formalisation juridique que les ORP peuvent présenter au Brésil¹⁵.

Cette « malléabilité légale » produit différentes conformations dans les ORP au fil du temps. Par exemple, une ORP qui

11 - Barnes, M., & Coelho, VS (2009). Social participation in health in Brazil and England: inclusion, representation and authority. *Health expectations: an international journal of public participation in health care and health policy*, 12(3), 226-236.

12 - Coelho VSRP, Waisbich, LV. Participatory mechanisms and inequality reduction: searching for plausible relations. *Journal of Public Deliberation*: 12 (2) 2016, 13.

13 - Albuquerque A, Soares Neto JAR. Patient organizations and their role in implementing health care rights. *Ibero-American Health Law Notebooks*. 2022jan./mar.;11(1): 144-162.

14 - Gerhardt TE. Therapeutic itineraries in situations of poverty: diversity and plurality. *Cad. Health Public* [online]. 2006, vol.22, n.11, pp. 2449-2463.

15 - Moretti FA, Zucchi P. Characterization of support groups and associations of patients with rheumatologic disease in Brazil. *Rev. Brazil Rheumatol*, 2010; 50(5): 516-528.

n'est pas légalement constituée ou qui n'agissait initialement que dans la représentation des patients d'une commune donnée, peut commencer à agir en tant qu'ORP nationale, même sans inscrire cette dimension nationale dans son statut constitutif, en agréant d'autres associations plus petites et en articulant des réseaux complexes de demandes de politiques publiques.

Malgré cette « malléabilité juridique », il est important de souligner que les réseaux de politiques publiques transcendent la fonction managériale des politiques sociales, permettant la génération de relations basées sur la confiance et apportant des solutions aux problèmes d'action collective et dans la construction de politiques plus efficaces et légitimes¹⁶.

Même la faible articulation entre coalitions ne doit pas être dissociée de la disponibilité des mécanismes de participation sociale et de la qualité des interactions socio-étatiques. La liberté et le pouvoir des individus dans la recherche de résultats et d'influence seront affectés par le degré d'ouverture, de complétude et de configuration des réseaux¹⁷. Même si la société civile présente ses revendications de manière nuancée, les réponses des acteurs gouvernementaux aux revendications de santé, issues des mouvements sociaux, réservent des particularités par rapport au groupe social, comme un intérêt politique apparent. En ce sens, la réception des revendications sanitaires formulées par les coalitions et les ORP est liée à des rapports de force dans une conjoncture donnée entre acteurs, et pas seulement par des critères « techniques » ou « d'intérêt général »¹⁸.

Dans ce sens, selon Coelho et Waisbich¹⁹, l'action sociale par le biais de mécanismes de participation, tels que les conseils de santé et l'*Open Government Partnership*, peut contribuer à la réduction des inégalités en matière de santé, mais les données suggèrent que cette contribution est moins importante. L'efficacité de l'action sociale sera, plutôt, déterminée par la qualité du processus participatif et, plus encore, par le caractère des alliances politiques et des processus de mobilisation menés par la société civile.

Pour Coleman²⁰, les méthodes d'engagement du public devraient encourager la formation d'expériences plutôt que l'affirmation de préférences. De telles méthodes peuvent être décrites comme délibératives lorsqu'elles encouragent les citoyens à enquêter, discuter et peser des valeurs et des options politiques concurrentes. En ce sens, le secteur public serait responsable pour le développement de la société en réseau, y compris la propagation des systèmes dynamiques de régulation de la participation sociale, tels que l'e-gouvernement, la e-santé, la e-formation, la e-sécurité²¹. Ainsi, dans des sociétés complexes, l'utilisation des technologies de l'information et de la communication, promue par le secteur public, pourrait faire émerger de nouveaux sentiments d'appartenance et contribuer à la construction de nouvelles identités, permettant des formes d'action plus horizontales et directes médiatisées par les réseaux technos sociaux²².

5. Considérations finales

Le nombre d'ORP pour les patients atteints de maladies rares au Brésil indique un mouvement démocratique positif pour la protection du droit à la santé de ces patients. La stratégie de rassembler différentes ORP dans des coalitions est légitime et nécessaire, compte tenu des défis liés à l'accès aux soins et des négociations complexes entre les différentes sphères de pouvoir publiques et privées. En ce sens, la coopération entre les ORP et ses coalitions semble être la meilleure voie pour une plus grande efficacité de la participation sociale dans les processus décisionnels des politiques publiques.

Fernando Aith, Julino Soares Neto, Marina Borba & Claudio Cordovil

16 - Börzel TA. What's So Special About Policy Networks? - An Exploration of the Concept and Its Usefulness in Studying European Governance. European Online Integration Papers (EIoP) 1 (1997), 016. Accessed: 09.07.2018. Available at: <http://eiop.or.at/eiop/pdf/1997-016.pdf>; Fleury S. Policy networks: new challenges for public management. Administration in Diálogo, São Paulo, no 7, 2005, pp. 77-89.

17 - Benkler Y. Networks of Power, Degrees of Freedom. Harvard Law School. International Journal of Communication 5 (2011), 721-755.

18 - Coelho VS, Lavalley AG. Black and indigenous movements and health and HIV/AIDS policy: institutionalization and the domain of agency. In: Social Movements and Institutionalization: Social Policies, Race and Gender in post-transition Brazil, 2018.

19 - Coelho VSRP, Waisbich, LV. Participatory mechanisms and inequality reduction: searching for plausible relations. Journal of Public Deliberation: 16 (2) 2016, 13.

20 - Coleman S. Introduction. In : COLEMAN, S. & GOTZE, J. Bowling Together: Online Public Engagement in Policy Deliberation. London : Hansard Society, 2002.

21 - Castells MA. Network Society: From Knowledge to Politics. In: CASTELLS, Manuel; CARDOSO, Gustavo (Orgs). The Network Society : from knowledge to political action; Conference. Belém (By): National Press, 2005.

22 - Procopiuck M, Frey K. Public policy and governance networks and their analysis from the websphere analysis . Rev. Sociol. policy [online]. 2009, vol.17, n.34, pp.63-83 ; Egler TTC. Technosocial networks and democratization of public policies. Sociologies [online]. 2010, n.23 [cited 2018-07-09], pp. 208-236.

Références

- Albuquerque A, Soares Neto JAR. Patient organizations and their role in implementing health care rights. *Ibero-American Health Law Notebooks*. 2022jan./mar.;11(1): 144-162.
- Barnes, M., & Coelho, VS (2009). Social participation in health in Brazil and England: inclusion, representation and authority. *Health expectations: an international journal of public participation in health care and health policy*, 12(3), 226–236.
- Benkler Y. *Networks of Power, Degrees of Freedom*. Harvard Law School. *International Journal of Communication* 5 (2011), 721–755.
- Börzel TA. What's So Special About Policy Networks? - An Exploration of the Concept and Its Usefulness in Studying European Governance. *European Online Integration Papers (EloP)* 1 (1997), 016. Accessed: 09.07.2018. Available at: <http://eiop.or.at/eiop/pdf/1997-016.pdf>.
- Brazil. Ministry of Health. National Commission for the Incorporation of Technologies in the SUS. (2015). *Prioritization of Therapeutic Protocols and Guidelines for Comprehensive Care for People with Rare Diseases*. Recommendation Report N°. 142. Available at: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatrio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf.
- Calmon PCP, Costa ATM. Public policy networks and governance. *Public Policy Research Journal*. 1 (2013), p. 1-29.
- Capella ACN, Brazil FG. Subsystems, communities and networks: articulating ideas and interests in the formulation of public policies. *Service Magazine _ Public Brasília* 66 (3) 449-474 Jul /Sep 2015.
- Castells MA. *Network Society: From Knowledge to Politics*. In: CASTELLS, Manuel; CARDOSO, Gustavo (Orgs.). *The Network Society: from knowledge to political action*; Conference. Belém (By): National Press. 2005.
- Coelho VS, Lavallo AG. Black and indigenous movements and health and HIV/AIDS policy: institutionalization and the domain of agency. In: *Social Movements and Institutionalization: Social Policies, Race and Gender in post-transition Brazil*. 2018.
- Coelho VSRP, Waisbich, LV. Participatory mechanisms and inequality reduction: searching for plausible relations. *Journal of Public Deliberation*: 12 (2) 2016, 13.
- Coleman S. Introduction. In: COLEMAN, S. & GOTZE, J. *Bowling Together: Online Public Engagement in Policy Deliberation*. London: Hansard Society. 2002.
- DIAS, Rafael B. *The trajectory of Brazilian scientific and technological policy: a view from the policy analysis*. Thesis (PhD) Institute of Geosciences, University of Campinas, Campinas, 2009.
- Dowding K. Model or Metaphor? A Critical Review of the Policy Network Approach. *Political Studies*, 43, 1(1995), 136-158.
- Eglér TTC. Technosocial networks and democratization of public policies. *Sociologies [online]*. 2010, n.23 [cited 2018 -07-09], pp. 208-236.
- Fleury S. Policy networks: new challenges for public management. *Administration in Diálogo, São Paulo*, no 7, 2005, pp. 77-89.
- Gerhardt TE. Therapeutic itineraries in situations of poverty: diversity and plurality. *Cad. Health Public [online]*. 2006, vol.22, n.11, pp. 2449-2463.
- Hooghe L, Marks G. Unraveling the central state, but how? Types of multi-level governance. *The American Political Science Review*, 97, 2 (2003), 233-243.
- Lima, MAFD *Rare disease patient associations and social media*. 2018. 168 f. Thesis (Doctorate in Children's and Women's Health) - Fernandes Figueira National Institute of Women's Health, Children and Adolescents, Oswaldo Cruz Foundation, Rio de Janeiro, 2018.
- MARCONI, Marina de Andrade; LAKATOS, Eva Maria. *Fundamentals of scientific methodology*. 5th ed. Sao Paulo: Atlas, 2003.
- Moretti FA, Zucchi P. Characterization of support groups and associations of patients with rheumatologic disease in Brazil. *Rev. Brazil Rheumatol*, 2010; 50(5): 516-528.
- Nunes, JA, Matias, M., & Filipe, Â. M. (2007). Patient organizations as emerging actors in the health space: the case of Portugal. *Electronic Journal of Communication, Information and Innovation in Health*, 1(1).
- Osborne SP. (Ed.). *The new public governance? Emerging perspectives on the theory and practice of public governance*. London, New York: Routledge, 2010.
- Procopiuck M, Frey K. Public policy and governance networks and their analysis from the websphere analysis. *Rev. Sociol. policy [online]*. 2009, vol.17, n.34, pp. 63-83.
- Souza, Luiz Ricardo de and Secchi, Leonardo *The Scientific and Technological Policy of Santa Catarina: analysis from the defense coalition model*. *Journal of Public Administration [online]*. 2014, v. 48, no. 4 [Accessed 17 May 2022], pp. 939-960.
- Yin, Robert K. *Case Study: Planning and Methods*. 5th ed. Porto Alegre: Bookman, 2015.