



Universidade de Brasília

Faculdade de Ceilândia

Programa de Pós-Graduação em Ciências e Tecnologias em Saúde

Ana Katheryne Miranda Kretzschmar

Judicialização do onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma®) para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) no Ministério da Saúde: custos e perfil clínico dos pacientes.

Brasília, 2023



Universidade de Brasília

Faculdade de Ceilândia

Programa de Pós-Graduação em Ciências e Tecnologias em Saúde

Ana Katheryne Miranda Kretzschmar

Judicialização do onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma®) para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) no Ministério da Saúde: custos e perfil clínico dos pacientes.

Dissertação apresentada ao Programa de Pós-Graduação da Faculdade de Ceilândia, Universidade de Brasília, como requisito parcial para obtenção do título Mestra em Ciências e Tecnologias em Saúde. Área de concentração: Promoção, prevenção e intervenção em saúde.

Orientador: Dr. Everton Nunes da Silva

Coorientadora: Dra. Dayani Galato

Brasília, 2023

Ficha Catalográfica

MK92j Miranda Kretzschmar, Ana Katheryne
Judicialização do onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma®) para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) no Ministério da Saúde: custos e perfil clínico dos pacientes / Ana Katheryne Miranda Kretzschmar; orientador Everton Nunes da Silva; co-orientador Dayani Galato. -- Brasília, 2023.
65 p.

Dissertação (Mestrado em Ciências e Tecnologias em Saúde) -- Universidade de Brasília, 2023.

1. atrofia muscular espinhal. 2. onasemnogene abeparvoveque. 3. judicialização da saúde. 4. análise de custo. 5. financiamento da saúde. I. Nunes da Silva, Everton, orient. II. Galato, Dayani, co-orient. III. Título.

Ana Katheryne Miranda Kretzschmar

Judicialização do onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma®) para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) no Ministério da Saúde: custos e perfil clínico dos pacientes.

Dissertação apresentada ao Programa de Pós-Graduação da Faculdade de Ceilândia, Universidade de Brasília, como requisito parcial para obtenção do título Mestra em Ciências e Tecnologias em Saúde. Área de concentração: Promoção, prevenção e intervenção em saúde.

Aprovado em:

BANCA EXAMINADORA

Prof. Dr. Everton Nunes da Silva
Presidente da Banca
Universidade de Brasília – UnB

Dra. Patrícia Coelho de Soárez
Membro externo
Universidade Federal de São Paulo / Faculdade de Medicina

Dra. Marta da Cunha Lobo Souto Maior
Membro externo
Ministério da Saúde

Dra. Antonia de Jesus Angulo Tuesta
Membro Suplente
Universidade de Brasília – UnB

DEDICATÓRIA

Dedico esta dissertação à saúde pública, seus usuários, funcionários e profissionais. Que a busca por um Sistema Único de Saúde (SUS) melhor seja incessante.

AGRADECIMENTOS

A Deus, cuja presença se manifesta em todos os momentos da minha vida.

À minha família, em especial a minha mãe e meu esposo, pelo alicerce e incentivo aos estudos. Vocês dois são responsáveis por me segurarem nas horas de angústia e medo. Essa vitória é nossa!

Ao Departamento de Judicialização em Saúde (DJUD) do Ministério da Saúde pelo companheirismo diário e apoio na realização da pesquisa, em especial a advogada Isabela Aidar, pelo disponibilização dos dados.

Ao meu orientador Prof. Everton Nunes, pelo seu profissionalismo, paciência e competência na instrução deste projeto.

A minha coorientadora Prof. Dayani, que já foi orientadora durante o trabalho final de graduação, e novamente me surpreende com seu cuidado, carinho, dedicação e empenho.

A todos os amigos que de algum modo demonstraram o seu apoio e compreenderam as minhas ausências.

Aos avaliadores e leitores deste texto, minhas sinceras saudações.

“O SUS vai dar certo quando a gente entender que nós somos o SUS. O papel de cada um é fundamental para que a mudança aconteça com assertividade e sustentabilidade”.

Santusa Santana

APRESENTAÇÃO

Sou farmacêutica, formada pela Universidade de Brasília (UNB) em 2016. Possuo especialização em Farmacologia Clínica e Hospitalar, e Farmacologia Clínica Oncológica. Essa dissertação é a realização de um sonho pessoal e profissional, que concretiza toda a minha caminhada no Ministério da Saúde desde o ano de 2017, como profissional farmacêutica.

Nos três primeiros anos, pude atuar na política da assistência farmacêutica, com a aquisição, programação e distribuição de medicamentos nos três componentes: Básico, Estratégico e Especializado.

Eis que um novo desafio se apresentou em 2021, quando mudei totalmente de cenário no Ministério da Saúde. Entrar no mundo da judicialização trouxe questões reflexivas, que me instigaram a alcançar voos longos, como a elaboração desta dissertação de mestrado. Este é o primeiro estudo com dados de custos e perfil dos pacientes ao longo de quase 4 anos de processo de judicialização no âmbito do Ministério da Saúde, e, portanto, traz contribuições importantes para a gestão do Sistema Único de Saúde (SUS) e para o meio acadêmico.

Este trabalho contextualiza a relação do acesso a medicamentos pelo SUS e o papel institucional do Poder Judiciário, principalmente no que tange ao tratamento de doenças raras como a atrofia muscular espinhal (AME).

Os tratamentos para doenças raras são dispendiosos e onerosos para a maior parte da população e o acionamento do poder judiciário tornou-se a opção para muitas famílias.

A judicialização de medicamentos é um fenômeno crescente, pois a indústria farmacêutica está em constante desenvolvimento para melhorar e ampliar sua participação no mercado. Por outro lado, a incorporação dos medicamentos nos sistemas públicos sugere a necessidade de evidências que nem sempre são identificadas na mesma velocidade. O grande ponto crítico é a escassez de recursos no sistema de saúde para cumprir as demandas judiciais e principalmente a aplicação da prática baseada em evidência científica para a tomada de decisão.

Será que a medicina baseada em evidência é utilizada para a tomada de decisão judicial? O uso das evidências pode contribuir para a racionalização da judicialização da saúde?

Apesar de atuar no Ministério da Saúde, declaro que não há conflito de interesse. Além disso, os achados e discussão apresentados neste trabalho não refletem a opinião daquele órgão.

RESUMO

Objetivo: Investigar os custos e o perfil dos pacientes que demandaram judicialmente o onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma®) para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) no Ministério da Saúde. **Método:** Estudo transversal, de natureza descritiva e desenho censitário, com base em registros de ações judiciais movidas contra o Ministério da Saúde no período de janeiro de 2019 a setembro de 2022. Os dados foram solicitados ao Ministério da Saúde, via Lei de Acesso à Informação. Foram extraídas informações sobre o perfil epidemiológico dos beneficiários das ações judiciais, bem como os gastos dispendidos pelo Ministério da Saúde nos casos de deferimento das solicitações. **Resultados:** Foram identificados 136 processos judiciais, todos com único beneficiário, dos quais 113 (83%) foram favoráveis aos pacientes ao custo de R\$ 944,8 milhões no período analisado. Características demográficas (sexo e idade), clínicas (subtipos da AME, uso de suporte ventilatório ou nutricional) e do processo judicial (tipo de serviço advocatício) não foram associadas com o deferimento das ações judiciais. O uso prévio de medicamentos (nusinersena ou risdiplam) foi associado com o indeferimento dos processos judiciais. Das 113 ações judiciais concedidas em favor dos pacientes, apenas 6 (5,3%) atenderiam os critérios estabelecidos atualmente pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – Conitec (crianças com até seis meses sem suporte ventilatório e nutricional). Houve dispêndio de R\$ 146 milhões com fornecimento do onasemnogene abeparvoveque para crianças com idade superior a 2 anos, que está fora da recomendação contida na bula do medicamento. **Conclusões:** O Ministério da Saúde incorre em um alto custo com a judicialização do onasemnogene abeparvoveque para AME, representando 2,45% do gasto total com medicamentos no SUS em 2019, incluindo gastos das três esferas administrativas. Parte das demandas judiciais tem sido deferida em divergência com os critérios estabelecidos por agências de avaliação de tecnologias em saúde e recomendações do fabricante do medicamento.

Palavras-chave: atrofia muscular espinhal, onasemnogene abeparvoveque, judicialização da saúde, análise de custo, financiamento da saúde.

ABSTRACT

Objective: Investigate the costs and profile of patients who sued in court onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®) for the treatment of spinal muscular atrophy (SMA) in the Ministry of Health. **Method:** Cross-sectional study, descriptive in nature and census design, based on records of legal actions filed against the Ministry of Health from January 2019 to September 2022. The data was requested from the Ministry of Health, via the Access to Information Law. Information was extracted on the epidemiological profile of the beneficiaries of the legal actions, as well as the expenses spent by the Ministry of Health in cases of granting the requests. **Results:** 136 legal cases were identified, all with a single beneficiary, of which 113 (83%) were favorable to patients at a cost of R\$944.8 million (USD \$192 M) in the period analyzed. Demographic (sex and age), clinical characteristics (SMA subtypes, use of ventilatory or nutritional support) and judicial process (type of legal service) were not associated with the granting of legal actions. Previous use of medication (nusinersen or risdiplam) was associated with the dismissal of legal proceedings. Of the 113 legal actions granted in favor of patients, only 6 (5.3%) would meet the criteria currently established by the National Commission for the Incorporation of Technologies – Conitec (children up to six months without ventilatory and nutritional support). There was an expenditure of R\$ 146 million (USD \$29,76 M) on the supply of onasemnogene abeparvovec for children over 2 years of age, which is outside the recommendation contained in the drug leaflet. **Conclusions:** The Ministry of Health incurs a high cost with the judicialization of onasemnogene abeparvovec for AME, representing 2.45% of total spending on medicines in the SUS in 2019, including expenses from the three administrative spheres. Part of the legal demands have been granted in disagreement with the criteria established by health technology assessment agencies and recommendations from the drug manufacturer.

Keywords: spinal muscular atrophy, onasemnogene abeparvovec, judicialization, healthcare, cost analysis, healthcare financing.

LISTA DE FIGURAS

Figura 1 - Número de processos judiciais do setor público e privado relacionados à saúde entre os anos de 2016 e 2019.....	23
Figura 2 – Etapas de implementação do teste do pezinho ampliado no SUS.....	35
Figura 3 – Tipos de Atrofia Muscular Espinhal 5q.	36

LISTA DE QUADROS

Quadro 1- Recomendações e restrições de utilização do onasemnogene abeparvoveque pelo fabricante e agências de avaliação de tecnologias em saúde.....	42
--	----

LISTA DE TABELAS

Tabela 1 - Informações das demandas judiciais do medicamento onasemnogene abeparvoveque no âmbito do Ministério da Saúde entre janeiro de 2019 e setembro de 2022, Brasil.	44
Tabela 2 - Gasto total despendido pelo Ministério da Saúde com demandas judiciais do medicamento onasemnogene abeparvoveque por tipo de AME no período de janeiro de 2019 a setembro de 2022, Brasil.	45
Tabela 3 - Quantidade e gasto incorrido pelo Ministério da Saúde para atender a demanda judicial do onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME, estratificado por critérios clínicos adotados por agências internacionais de avaliação de tecnologias em saúde.	45

LISTA DE SIGLAS

AF	Assistência farmacêutica
AME	Atrofia Muscular Espinhal
ANVISA	Agência Nacional de Vigilância Sanitária
ATS	Avaliação de tecnologias em saúde
CADTH	<i>Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health</i>
CAP	Caixas de Aposentadorias e das Pensões
CEAF	Componente Especializado da Assistência Farmacêutica
CHOP-INTEND	<i>Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders</i>
CMED	Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos
CNJ	Conselho Nacional de Justiça
CNS	Conselho Nacional de Saúde
CONITEC	Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias
DENERU	Departamento Nacional de Endemias
DJUD	Departamento de Gestão das Demandas em Judicialização na Saúde
FDA	<i>Food and Drug Administration</i>
HIV	Vírus da Imunodeficiência Humana (sigla em inglês para <i>Human Immunodeficiency Syndrome</i>)
IAP	Institutos de Aposentadorias e Pensões
ICER	<i>Institute for Clinical and Economical Review</i>
INP	Instituto Nacional de Previdência Social
LDO	Lei de Diretrizes Orçamentárias
LOA	Lei Orçamentária Anual
NAT-JUS	Núcleos de Apoio Técnico do Judiciário
NICE	<i>National Institute for Health and Care Excellence</i>
OMS	Organização Mundial de Saúde
PCDT	Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas

PIB	Produto interno bruto
PMVG	Preço máximo de venda ao governo
PNAF	Política Nacional de Assistência Farmacêutica
PNAIPDR	Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras
PNTN	Programa Nacional de Triagem Neonatal
PPA	Plano Plurianual
RDC	Resolução da Diretoria Colegiada
RENAME	Relação Nacional de Medicamentos Essenciais
RSA	<i>Risk Sharing Agreements</i>
SBGM	Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica
SMC	<i>Scottish Medicines Consortium</i>
SMN	Proteína de sobrevivência do neurônio motor (sigla em inglês para <i>Survival of Motor Neuron</i>)
STA	Suspensão de Tutela Antecipada
STF	Supremo Tribunal Federal
STJ	Supremo Tribunal de Justiça
SUS	Sistema Único de Saúde
TRU/JEFs	Turma Regional de Uniformização dos Juizados Especiais Federais

SUMÁRIO

1. INTRODUÇÃO	17
2. OBJETIVOS.....	20
2.1.GERAL	20
2.2.ESPECÍFICO.....	20
3. MARCO TEÓRICO.....	21
3.1.A CRIAÇÃO DO SUS E O DIREITO A SAÚDE.....	21
3.2.A JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE.....	22
3.2.1. Reflexos da judicialização na gestão.....	28
3.2.2. O papel da indústria farmacêutica na judicialização.....	30
3.3.DOENÇAS RARAS.....	31
3.3.1. Atrofia Muscular Espinhal.....	35
3.3.2. onasemnogene abeparvoveque.....	37
4. MÉTODOS.....	40
4.1.CONTEXTO DO ESTUDO.....	40
4.2.DESENHO DO ESTUDO.....	40
4.3.POPULAÇÃO.....	40
4.4.VARIÁVEIS E FONTE DE DADOS.....	40
4.5.ANÁLISE DOS DADOS.....	41
4.6.ASPECTOS ÉTICOS.....	42
5. RESULTADOS.....	43
6. DISCUSSÃO.....	46
7. CONSIDERAÇÕES FINAIS.....	50
8. REFERÊNCIAS.....	52
ANEXO.....	61
Anexo 1 – Comitê de Ética em Pesquisa (CEP).....	61

1. INTRODUÇÃO

A Constituição Federal de 1988 reconhece que a saúde é direito fundamental do cidadão (Art.6) e determina que o Estado é o responsável por sua garantia (Art.196). Estes deveres do Estado se consolidam em ações e serviços públicos de saúde integrados em uma rede regional e hierárquica, regida por princípios de universalização, equidade e integridade, constituindo o Sistema Único de Saúde (SUS). O SUS está regulamentado pela Lei nº 8.080/90, tornando-se um dos maiores e mais complexos sistemas de saúde pública do mundo, abrangendo ações curativas, de promoção, proteção e recuperação da saúde¹.

A Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF), aprovada pela Resolução nº 388 de 2004 do Conselho Nacional de Saúde (CNS), integrou a assistência farmacêutica como um dos serviços disponibilizados pelo SUS. Esta política trouxe consigo um conjunto de estratégias que ampliaram o acesso a medicamentos, e, dessa forma, a aquisição, dispensação, qualidade, segurança e o uso racional ganharam maior respaldo no cenário nacional².

No SUS, a Assistência Farmacêutica está dividida em três componentes (Componente Básico, Componente Estratégico e Componente Especializado), de acordo com a forma de organização, financiamento, elenco e critérios para acesso e disponibilidade dos medicamentos. O componente básico inclui medicamentos destinados ao tratamento de condições de saúde na Atenção Primária à Saúde; o componente estratégico, por medicamentos utilizados em agravos endêmicos e de importância epidemiológica; e o componente especializado, por medicamentos aplicados ao tratamento de doenças crônico-degenerativas, incluindo as doenças raras. As linhas de cuidado do componente especializado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)³.

No Brasil, o registro de medicamentos é realizado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), à luz de sua eficácia, segurança e boas práticas de fabricação. Para serem disponibilizados pelo SUS, estes fármacos passam por um segundo crivo, a avaliação de tecnologias em saúde (ATS), em um processo orquestrado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) do Ministério da Saúde⁴. As avaliações da Conitec são baseadas em evidências científicas, levando em consideração aspectos de eficácia, efetividade, segurança do medicamento, além da avaliação econômica de custo-efetividade em relação às opções terapêuticas já existentes no SUS⁵.

Os custos crescentes em saúde, o reconhecimento da limitação dos recursos, a necessidade de garantir os direitos constitucionais e a crescente intervenção do Poder Judiciário

faz com que a ATS seja peça fundamental no processo de decisão quanto à incorporação e ao uso das tecnologias em saúde^{4,6}.

Muitos medicamentos representam um elevado impacto financeiro, e a análise da Conitec em meio à rápida expansão do mercado farmacêutico, é primordial para garantir a sustentabilidade do sistema de saúde⁴.

Os processos decisórios sobre incorporação de tecnologias para doenças raras têm desafiado os sistemas de saúde no mundo⁷. Por um lado, geralmente essas tecnologias são de alto custo, apresentam baixa qualidade das evidências clínicas com significativas incertezas sobre seus efeitos de médio e longo prazos; por outro lado, muitas vezes não há tratamento alternativo, as doenças são altamente incapacitantes e os preços das tecnologias são proibitivos para os pacientes arcarem individualmente, comprometendo os princípios da integralidade e equidade do SUS⁸.

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q é uma doença rara, sem cura, que faz parte das condições clínicas atendidas pelo Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)⁹. Todos os fármacos nusinersena (Spinraza®), risdiplam (Everysdi®) e onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma®) destinados ao tratamento da AME receberam recomendação de incorporação ao SUS pela Conitec¹⁰⁻¹⁴.

A incorporação do primeiro medicamento para AME no SUS ocorreu em 2019 e, na época, ganhou notoriedade na mídia. O nusinersena foi referido como o medicamento mais caro já adquirido pelo sistema de saúde brasileiro, com seu preço máximo de venda ao governo (PMVG) chegando a R\$ 247.399,94 por frasco^{10,15}. O último a ser incorporado foi o onasemnogene abeparvoveque, com preço de R\$ 5,7 milhões por dose-única¹⁴.

Em todas as decisões, a Conitec avaliou os estudos publicados e estabeleceu alguns critérios para a disponibilização dos medicamentos¹⁰⁻¹³. Nem todos os pacientes preenchem a esses critérios, e muitos buscam o Poder Judiciário para obter acesso aos fármacos¹⁶.

O custo do tratamento da AME com onasemnogene abeparvoveque, por exemplo, torna-se proibitivo até mesmo para aqueles que possuem renda alta, e a sua judicialização tem se tornado cada vez mais frequente no SUS. Por se tratar de uma terapia gênica, muitas famílias o enxergam como um produto curativo¹⁷.

As decisões judiciais proferidas devem ser realizadas de forma criteriosa, pois são capazes de gerar riscos ao gerenciamento das ações e serviços públicos de saúde, colocando em

cheque a dimensão coletiva da saúde¹⁸. Os estudos demonstram que os benefícios do onasemnogene abeparvoveque foram atingidos por populações com perfil clínico específico. Acredita-se que grande parte das decisões favoráveis ao autor são baseadas apenas nas solicitações individuais e concedidas sem consideração das políticas públicas formuladas e das evidências publicadas. Nenhuma pesquisa até o momento avaliou o perfil de pacientes e o impacto monetário da judicialização do onasemnogene abeparvoveque no âmbito do SUS.

2. OBJETIVOS

2.1.Geral

Investigar os custos e o perfil dos pacientes que demandaram judicialmente o onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma®) para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) no Ministério da Saúde no período de janeiro de 2019 a setembro de 2022.

2.2.Específico

- Descrever o perfil demográfico e clínico dos pacientes com diagnóstico de AME que impetraram ação judicial contra o Ministério da Saúde para obtenção do medicamento onasemnogene abeparvoveque no período do estudo.
- Calcular o custo incorrido pelo Ministério da Saúde nos processos de deferimento das ações judiciais para obtenção do medicamento onasemnogene abeparvoveque no Ministério da Saúde no período de janeiro de 2019 a setembro de 2022.
- Estimar os custos das ações judiciais deferidas fora dos critérios estabelecidos pela Conitec e outras agências de ATS.

3. MARCO TEÓRICO

3.1.A CRIAÇÃO DO SUS E O DIREITO A SAÚDE

Desde a época do Brasil Colônia, a saúde brasileira vem enfrentando diversas mudanças e avanços. Ao longo das três décadas de existência do SUS, o surgimento de novas demandas e desafios permanecem constantes¹⁷.

A vinda dos portugueses no período da colonização contribuiu para a disseminação de doenças e a morte de milhares de pessoas. Naquela época, não existia infraestrutura e planejamento de saúde, e o tratamento das enfermidades era realizado por pajés, curandeiros, boticários, sangradores e cirurgiões-barbeiros, os quais utilizavam técnicas supersticiosas, plantas e ervas medicinais¹⁹.

À medida que a colonização avançava, a prestação de serviço de saúde se diferenciava pela classe social. Para quem podia custear o tratamento, estava disponível o uso de práticas médicas realizadas pelos Jesuítas e técnicas de sangria executadas pelos barbeiros. As Santas Casas de Misericórdia, unidades filantrópicas mantidas pelas doações da comunidade, se encarregavam de atender as pessoas que não possuíam renda e que necessitavam de atenção à saúde. As primeiras ações públicas de saúde surgiram no século XVII devido à crise econômica ocasionada pela epidemia de sarampo, onde o governo passou a se preocupar com o controle das doenças e o saneamento das cidades portuárias^{19,20}.

A vinda da família real portuguesa influenciou a ascensão industrial, o aumento populacional e dos problemas de saúde, e a criação das primeiras escolas de medicina. Mesmo que os avanços de saúde tenham sido discretos em todo o período colonial e republicano, os acontecimentos desta época colaboraram para o início das políticas sanitárias no Brasil durante o século XIX²⁰.

Nos anos de 1920, com a necessidade em atender a demanda dos trabalhadores, foram criadas as Caixas de Aposentadorias e das Pensões (CAPs). Os benefícios previdenciários não estavam disponíveis a todas as categorias de profissionais e o vínculo se estreitava entre a empresa e o empregado, sem atuação do Estado²¹.

Somente nos anos de 1930, as CAP foram substituídas pelos Institutos de Aposentadorias e Pensões (IAP), e os direitos previdenciários das categorias profissionais selecionadas foram vinculados ao poder público. Em 1953, foi criado o Ministério da Saúde e

em 1956, o Departamento Nacional de Endemias (Deneru), com o objetivo de instituir uma política pública com ênfase em prevenção ¹⁹.

O golpe militar de 1964 trouxe dificuldades ao Estado em suprir todas as demandas de saúde dos contribuintes, e os serviços de assistência médica passaram a ser comprados pelo governo e oferecidos por instituições privadas. As pressões por uma saúde mais igualitária e universal aumentaram, e os IAP foram unificados com a criação do Instituto Nacional de Previdência Social (INPS). O INPS permitiu que todos os trabalhadores tivessem os benefícios previdenciários, independente da categoria profissional. Durante a década de 1960, os indicadores brasileiros ficaram mais críticos, doenças antes erradicadas voltaram a ser identificadas, houve superlotação dos hospitais e aumento da pobreza. Os serviços de saúde viviam um colapso e movimentos populares surgiram em prol de transformações na saúde²².

O direito à universalização da saúde e as mudanças necessárias para sua garantia ganharam destaque na Conferência Internacional de Assistência Primária à Saúde e nas pautas da Organização Mundial de Saúde (OMS) e, em 1970, nascia a Reforma Sanitária, que contribuiu para a criação da Constituição Federal de 1988 e do Sistema Único de Saúde (SUS) em 1990. O período de reforma foi marcado por um conjunto de ações que buscavam definir e reformular as necessidades prioritárias da saúde no Brasil, fundado na ideia de cidadania e universalidade. Houve participação de vários protagonistas, dentre eles, profissionais da saúde, políticos, estudantes e instituições²⁰. O direito à saúde deixou de ser exclusivo aos contribuintes da previdência e seus dependentes, e passou a ser garantido a todos os cidadãos¹⁹.

O SUS é regido por três princípios doutrinários: Universalidade, Equidade e Integralidade. Diferente do cenário vivido antes de 1988, este novo sistema de saúde não garante apenas assistência médico-hospitalar, mas também prevê a promoção, proteção, recuperação e reabilitação. Enquanto a saúde era centralizada e de responsabilidade federal, sem a participação dos usuários, o modelo de saúde do SUS é descentralizado, municipalizado e participativo²³.

3.2.A JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

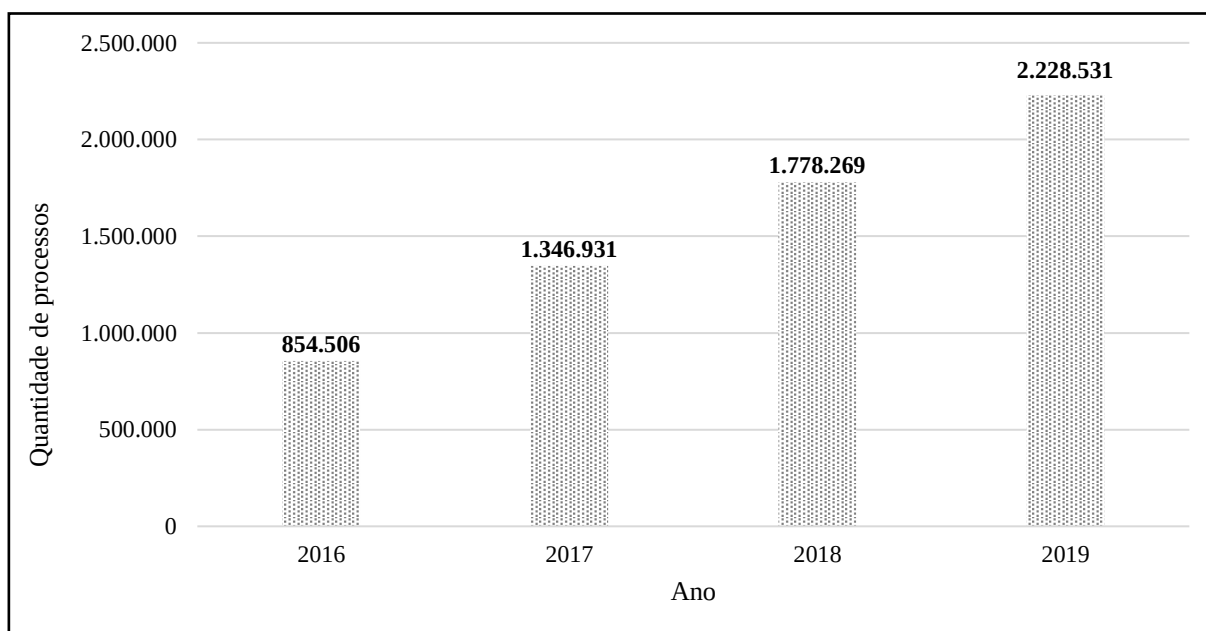
O direito à saúde é reconhecido na Constituição Federal de 1988 como um direito social fundamental de proteção à vida e à dignidade da pessoa humana. Neste contexto, são exigidas do Estado a elaboração e implementação de ações e serviços públicos para sua realização e garantia²⁴.

Frente aos desafios de efetivar o direito à saúde por parte do Estado brasileiro, cresce o descontentamento social. Os programas governamentais não conseguem atender a todos os interesses da sociedade, pois existem diversas concepções individuais sobre vida digna e inúmeras interpretações sobre a extensão do direito à saúde²⁵.

Quando as necessidades dos cidadãos não são atendidas pelas políticas públicas, uma alternativa é demandar judicialmente aos entes federativos ligados ao SUS, cabendo ao Poder Judiciário interpretar e arbitrar sobre essas solicitações. Neste contexto, surge a judicialização da saúde, que compreende a busca da efetivação do direito à saúde por meio do Poder Judiciário²⁶.

A judicialização da saúde se iniciou nos anos 1990 com as ações judiciais que demandavam tratamentos para pessoas vivendo com HIV. Desde então, vem se fortalecendo nos últimos trinta anos²⁷. De 2016 a 2019, o número de processos judiciais relacionados à saúde aumentou 160%, conforme demonstrado na Figura 1²⁸.

Figura 1- Número de processos judiciais do setor público e privado relacionados à saúde entre os anos de 2016 e 2019.



Fonte: Adaptado de Conselho Nacional de Justiça, 2019.

Balestra Neto (2019) relata que a evolução histórica da judicialização da saúde passou por três fases. Na primeira fase, iniciada em 1990, a jurisprudência dos órgãos colegiados do Judiciário entendia que não podia haver interferência do Poder Judiciário nas políticas de saúde. Muitas decisões eram negadas, por não haver orçamento destinado ao atendimento de despesas

não autorizadas. Na segunda fase, iniciada nos anos 2000, as decisões judiciais passaram a ser deferidas em favor da parte, e os problemas orçamentários não eram vistos como obstáculos para garantir a dignidade humana e o direito à saúde. E por fim, a terceira fase, em meados da década de 2000, onde a jurisprudência passou a realizar uma análise minuciosa do caso concreto e adotar critérios de evidências para o deferimento ²⁹.

As repercussões acerca do crescimento exponencial da judicialização e da interferência do Poder Judiciário nas políticas públicas ganharam debates nos últimos anos e provocaram a realização de audiências públicas, resoluções e teses, com o intuito de uniformizar o entendimento da jurisprudência nas demandas judiciais de saúde³⁰. Houve também aproximação dos gestores de saúde com todos os atores do sistema de justiça, com a finalidade de contribuir para a melhoria da prestação jurisdicional e do funcionamento da saúde. Esta teoria baseia-se nos diálogos institucionais/constitucionais e tem permitido a criação de uma cultura mais dialógica e menos judicialista ³¹.

Nas duas audiências realizadas pelo Supremo Tribunal Federal (STF), respectivamente em 2009 e 2017, definiu-se que a responsabilidade de cumprimento das decisões é solidária entre os entes federativos, e que é inconstitucional o SUS oferecer a internação com acomodação superior e atendimento diferenciado por preferência médica, mediante pagamento de diferença dos valores ³⁰.

O STF julgou dois Recursos Extraordinários nº 566.471 e nº 657.718, estando as decisões materializadas em duas teses: Tema 500 e Tema 793. O julgamento destes processos foi um marco importante para definir o fornecimento de medicamentos de alto custo e sem registro na Anvisa³².

O tema 500 delibera que o Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais e sem registro da Anvisa, salvo em algumas situações. A concessão judicial de medicamento sem registro na Anvisa poderá ocorrer, excepcionalmente, quando preenchido três requisitos: existir pedido de registro do medicamento no Brasil (com exceção de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras); se o medicamento possuir registro em agências de regulação internacionais, e se não houver substituto terapêutico registrado no Brasil. Ainda, conforme o tema 500, as ações de medicamento sem registro na Anvisa devem ser direcionadas apenas em face da União^{30,32}.

O tema 793, assim como a Suspensão de Tutela Antecipada (STA) nº175 julgada na Audiência pelo STF em 2017, fixou a responsabilidade solidária de cumprimento entre os entes

federativos, competindo a autoridade judicial direcionar o cumprimento e o ressarcimento conforme as regras de repartição e ônus financeiro³⁰.

A audiência de 2009 culminou na publicação da resolução de nº 107/2010 do Conselho Nacional de Justiça (CNJ), que institui o Fórum de Saúde, com o objetivo de solucionar e monitorar as demandas em saúde. Posteriormente, em 2016, houve também a publicação da Resolução nº 238, que determina a criação dos Núcleos de Apoio Técnico do Judiciário (NAT-JUS). Os NAT-JUS são constituídos por profissionais da saúde responsáveis por elaborar pareceres fundamentados na medicina baseada em evidências³¹.

Desde a criação do SUS, há regulação para os serviços de saúde serem descentralizados, regionalizados e hierarquizados, com o objetivo de respeitar as diversidades locais e regionais, e aumentar a qualidade e o acesso aos cuidados de saúde^{33,34}. O Art. 23, II, da Constituição Federal 1988, prevê a competência comum da União, estados, Distrito Federal e municípios na garantia da saúde. Mesmo com as responsabilidades pactuadas nas comissões intergestores de âmbito nacional, estadual e regional, os pactos raramente têm sido respeitados³⁰. Alguns autores mencionam as dificuldades dos órgãos judiciários em direcionar o cumprimento ao ente, de fato, competente^{29,30,35}.

Vários instrumentos normativos foram criados para conferir as atribuições individuais e coletivas de cada ente. Contudo, nem todas as responsabilidades estão claramente definidas, e devido às particularidades de cada política, ação e programa de saúde, é comum que os profissionais do judiciário não conheçam todos os aspectos institucionais³⁵.

Os mecanismos de ressarcimento também são complexos, pois as leis da saúde que tratam de orçamento – Constituição de 1988, Lei n. 8.080/1990, Lei n. 8.142/1990, Emenda Constitucional n. 29/2000 e Lei Complementar n. 141/2012, não especificam os procedimentos de ressarcimento^{32,35}.

Em 2021, a Turma Regional de Uniformização dos Juizados Especiais Federais da 4ª Região (TRU/JEFs) unificou o entendimento sobre direito de ressarcimento de despesas médicas particulares pelo Poder Público, apenas nos casos em que for comprovada urgência e emergência de tratamento; ineficiência ou inexistência do serviço público, e incapacidade financeira do autor custear o tratamento³⁶.

No caso de medicamentos registrado na Anvisa, mas não incorporados ao SUS, o Supremo Tribunal de Justiça (STJ) determinou, em julgamento realizado em 12 de abril de

2023, que o autor será responsável por escolher o ente público demandado e se a ação será ajuizada em face de um ou de mais de um dos três entes públicos. O entendimento encontra-se válido, até que o tema seja julgado pelo STF³⁷.

O cenário da judicialização é bastante desafiador e tem se tornado uma questão importante nas pautas do STF e STJ. Trata-se de um tema complexo, em constante atualização, e com um longo caminho a ser percorrido³⁸.

Por um lado, o sistema público de saúde brasileiro demonstra a capacidade de financiar e manter os melhores tratamentos do mundo a pessoas vivendo com HIV e tuberculose, e de promover transplantes de alta complexidade, por exemplo. De outro lado, existe a insatisfação dos cidadãos, principalmente no que tange ao fornecimento dos medicamentos. Um dos principais produtos de saúde demandados nos tribunais são os medicamentos³⁹.

A oferta dos medicamentos no SUS segue as diretrizes da Política da Assistência Farmacêutica, conforme suas características, forma de organização e financiamento. Os medicamentos da Assistência Farmacêutica (AF) constam na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), e alguns devem ser prescritos em conformidade com os respectivos protocolos clínicos. O fato de um medicamento constar no elenco do SUS não implica, necessariamente, seu fornecimento para todos os casos¹.

A Conitec é responsável por recomendar a inclusão de um medicamento no SUS, e sua decisão é baseada em evidências científicas, aspectos de eficácia, efetividade, segurança e custo-efetividade em relação às opções terapêuticas já existentes no SUS⁵. No intuito de padronizar a utilização e dispensação destes medicamentos, esta Comissão também elabora as diretrizes clínicas com base em evidências científicas. As diretrizes clínicas são documentos que estabelecem os critérios de diagnóstico da doença, o tratamento preconizado, as posologias recomendadas, os mecanismos de controle e acompanhamento e o perfil de pacientes aptos a utilizar o medicamento no SUS⁴.

A maioria dos medicamentos demandados nas ações judiciais não estão elencados na RENAME. Em outras situações, o medicamento faz parte desta relação, mas são solicitados por demandantes com condições de saúde não preconizados ou incluídos nos protocolos²⁶.

Muitos estudos realizados em diferentes regiões do país demonstram que a maioria das ações judiciais de medicamento deferidas utilizam como base apenas a prescrição médica apresentada pelo reivindicante. Essa prescrição pode conter tanto medicamentos disponíveis

como não disponíveis pela assistência farmacêutica do SUS, alguns sem registro pelo órgão de vigilância sanitária no país ou em indicação terapêutica não constante do registro sanitário⁴⁰.

Uma pesquisa realizada na Secretaria Estadual de São Paulo demonstrou que 58% das ações judiciais de medicamentos são decorrentes da prescrição de médico particular, 78% delas continham medicamentos que não eram padronizados no SUS, 2% eram produtos importados sem registro na Anvisa, e, em 22% das ações, se pedia medicamentos por meio de marcas comerciais específicas. Mesmo que a doença e seu tratamento se encontrem contemplados no sistema de saúde, as demandas judiciais demandam outros medicamentos⁴¹.

A obrigatoriedade de fornecimento de medicamentos não contemplados no SUS foi discutido pelo Recurso Especial nº 1.657.156/RJ, descrito no Tema 106, ficando firmado a concessão nos casos que: a) houver comprovação por laudo médico fundamento e expedido por médico que assiste o paciente, da imprescindibilidade ou necessidade do medicamento, assim como da ineficácia, para o tratamento da moléstia, dos fármacos fornecidos pelo SUS; b) incapacidade financeira de arcar com o custo do medicamento prescrito; c) existência de registro do medicamento na Anvisa⁴².

A literatura também aponta que o protagonismo do Poder Judiciário pode contribuir para o aprimoramento das políticas públicas e tem sido importante para a efetivação do direito à saúde, embora a sua atuação muitas vezes comprometa a gestão e a previsibilidade de recursos destinados às políticas públicas³⁹.

Existem pressões da indústria e associações de pacientes, e, muitas vezes, há conflito de interesse nas prescrições médicas em favorecer o uso de novas terapias³⁸. Por isso, a visão técnica do judiciário na tomada de decisão, por meio da medicina baseada em evidência, é importante para garantir a macrojustiça e fornecer maior racionalização e efetividade das demandas judiciais^{43,44}.

Muitos operadores do direito argumentam a favor do judiciário garantir o direito à saúde, principalmente nos casos de risco de morte e omissão do Estado. Outros, discutem que o judiciário não possui conhecimento técnico para decidir os riscos à saúde e que os magistrados não podem ser vistos como prescritores de medicamentos³⁹.

A utilização de um diálogo qualificado com os parceiros da Justiça e os gestores da saúde pública e suplementar pode contribuir para evitar novas demandas^{16,45}. O livro *La Scienza in Tribunale*, de autoria de Luca Simonetti, indica que a judicialização das ciências

(saúde, principalmente) é um grande problema, pois os juízes não possuem conhecimento técnico em ATS e erram com frequência⁴⁶. Uma das críticas mais frequentes à judicialização é o fato de o juiz conceder qualquer tecnologia que supostamente traria benefícios, sem considerar a evidência científica e o registro da Anvisa³⁹.

Na audiência realizada em 2009 pelo STF, duas propostas foram defendidas para contornar a judicialização. A primeira considera que as opiniões de órgãos federais de regulação da saúde, como a Anvisa e Conitec, são essenciais na tomada de decisão, e a segunda diz a respeito do Judiciário considerar os protocolos clínicos do Ministério da Saúde³⁹.

Entende-se que a judicialização é reflexo dos conflitos sobre a percepção dos direitos à saúde das partes interessadas (usuário do sistema de saúde e provedores de serviços de saúde), sendo o Poder Judiciário o árbitro natural para dirimir esses conflitos. No entanto, urge a necessidade de se avaliar a judicialização das políticas públicas de forma acurada, analisando seus pontos positivos e negativos, e a sua importância quando bem empregada⁴⁷.

3.2.1. Reflexos da judicialização na gestão

O gasto do Ministério da Saúde em ações judiciais de medicamentos cresceu significativamente entre 2012 e 2016 (221%), alcançando R\$ 1,5 bilhão neste último ano e mantendo-se em cerca de R\$ 1,1 bilhão entre 2017 e 2019⁴⁸. Ressalta-se que os números podem ser maiores, pois algumas ações também direcionam o atendimento a outros entes federativos (estados e municípios), os quais geralmente figuram como corréus. A crescente judicialização desorganiza a gestão, por demandar a todos os entes federados de forma solidária, e, desta forma, não cumpre o princípio de descentralização do SUS²⁶.

Os custos da judicialização vão além do atendimento do pleito demandado. Quando uma demanda é gerada, diversos órgãos são acionados, como a Defensoria Pública, Ministério Público e Tribunais, ocasionando um custo expressivo para o Estado, como um todo. Além disso, custos extras relacionados ao reexame de matéria e honorários advocatícios também podem estar envolvidos. Todos esses custos oneram os cofres públicos e reduzem recursos que poderiam ser aplicados na saúde preventiva e corretiva dos usuários do SUS⁴⁹.

Para muitos, o direito à saúde exige do Estado o dever de prestar tudo sem nenhum custo, contudo, há de se ponderar o desequilíbrio do sistema público de saúde⁴⁸. Existe um orçamento anualmente destinado para a saúde, e este tem sido insuficiente para a cobertura completa de todas as necessidades de saúde. A cada ano, o Poder Executivo encontra formas de

gerenciar seu orçamento, de modo a dar cumprimento às sentenças judiciais, mesmo sem prever na lei orçamentária um orçamento específico para a judicialização⁴⁵.

A norma orçamentária do Poder Executivo está prevista na Constituição Federal de 1988, sendo definida por três instrumentos que regulamentam a gestão de execução e planejamento dos gastos públicos: o Plano Plurianual (PPA), a Lei de Diretrizes Orçamentárias (LDO) e a Lei Orçamentária Anual (LOA). O PPA é elaborado no primeiro ano de exercício do Chefe do Poder Executivo para os 4 anos seguintes, e é responsável por planejar as despesas de capital e outras decorrentes dela, e aquelas relativas aos programas de duração continuada. A LDO orienta o orçamento do governo para o ano seguinte, com base no que foi estabelecido no PPA, definindo as prioridades da Administração Pública com metas e riscos fiscais. A LOA prevê as receitas e despesas do governo, indicando quanto será aplicado em cada área e de onde virão os recursos⁵⁰.

O orçamento público destinado a saúde é definido na LOA por estimativas da receita e despesas de cada exercício financeiro, havendo prioridades nas manutenções de programas destinados à execução das políticas públicas. Diante do cenário judicial, é prevista uma reserva para o atendimento das demandas judiciais em saúde ⁴⁸.

Sem o planejamento dos gastos públicos, haveria desarranjo total dos cofres públicos, o que impactaria a coletividade, uma vez que o dinheiro público não é infinito³⁹. Se por um lado, o orçamento é planejado, por outro, as decisões judiciais representam gastos imprevisíveis aos recursos destinados à saúde, principalmente quando determinam o custeio de tratamentos experimentais, com alta incerteza sobre sua eficácia e segurança e razão de custo-efetividade incremental muito superior à disponibilidade a pagar do sistema de saúde⁴⁵. O gasto com ações judiciais em 2019 pelo Ministério da Saúde consumiu 21% dos recursos destinados ao CEA²⁷.

Em 2020, o Brasil apresentou o segundo maior endividamento público (87,9% do produto interno bruto -PIB), perdendo para o Líbano e ultrapassando países como Argentina, Colômbia, México e Chile. Os gastos com saúde pública e privada no Brasil representam 9,6% do PIB⁵¹, valor muito próximo de países como o Canadá (10,4% do PIB) e Reino Unido (9,9% do PIB), onde a saúde é vista como um serviço de qualidade⁵².

Mesmo a saúde sendo uma das áreas que recebe maior orçamento público, existe escassez de recursos para o atendimento dos serviços públicos⁵⁰. Há uma discussão que o orçamento destinado à saúde precisa acompanhar as demandas da sociedade, e, portanto, deveria ser aumentado para lidar com o novo cenário⁴². Entretanto, há de se ressaltar que até

mesmo os países que mais investem em saúde como a Libéria, Serra Leoa, Estados Unidos da América, Tuvalu e Ilhas Marshall, não possuem um serviço de referência como o do Canadá e Reino Unido, que investem menos em termos de percentual do PIB. A OMS estima que 20% a 40% do gasto total com saúde é perdido por ineficiência e mal aplicação dos recursos. Neste sentido, é importante que os gastos com saúde, e até mesmo com a judicialização, sejam bem aplicados ⁵². Gomes et al (2014) ressaltam que há defensores da judicialização que argumentam que o gestor não pode alegar falta de recursos para cumprir suas responsabilidades, pois se bem otimizados, esses recursos são suficientes para o cumprimento de suas responsabilidades ³⁹.

Tem-se observado avanços contínuos na medicina e na tecnologia mundial, os quais permitem soluções mais eficazes e personalizadas no tratamento das doenças. As novas terapias têm sido propagandeadas como técnicas inovadoras, capazes de corrigir e tratar doenças a nível molecular. Um exemplo disso são as imunoterapias e as terapias genéticas⁴⁴.

Esses avanços também aumentam os custos desses serviços e elevam as despesas públicas nesse setor. A limitação dos recursos impõe desafios aos sistemas de saúde, os quais precisam adotar critérios, implícitos ou explícitos, para priorizar as demandas de saúde da população. Para além dos custos, há incertezas sobre os efeitos em saúde a médio e longo prazos, tornando a decisão de disponibilizá-las nos sistemas de saúde mais desafiadora⁵³.

Uma tese muito utilizada para condicionar a atuação do Estado é a teoria da reserva do possível, em que a efetivação dos direitos sociais e fundamentais será viabilizada até o limite dos recursos disponíveis. A teoria não deve ser utilizada sem fundamento, pois se deve respeitar o mínimo existencial⁵⁴. E esse mínimo gera conflitos de entendimento, pois muitos autores do judiciário não aceitam discussões econômicas nos temas de saúde e sempre alertam que: “*A saúde não tem preço*”, “*A vida não tem preço*”⁵⁵.

Na maioria das vezes, a judicialização tem caráter individual e o fornecimento de um determinado medicamento a um único indivíduo pode representar a falta de outros para o restante da coletividade, o que viola o princípio da isonomia. Em 2021, mais de 700 mil processos eram ações individuais e em 2022 foram registradas mais 263 mil nessa mesma modalidade ⁵⁶.

3.2.2. O papel da indústria farmacêutica na judicialização

O setor de medicamentos é um dos mais lucrativos do mundo, e novos medicamentos são desenvolvidos com frequência. Algumas vezes, as novas moléculas não agregam benefícios terapêuticos, mas ajudam a perpetuar o conceito, equivocado, de que o novo é melhor do que o

já existente, acompanhado dos devidos acréscimos no preço. Com tantas opções farmacêuticas, a medicina atual raramente dispõe de única opção medicamentosa para o tratamento. São fármacos semelhantes, em eficácia e segurança, aos já existentes e, mais uma vez, volta-se à ideia de uso racional dos medicamentos e à de relação custo-efetividade⁵⁷.

Um exemplo claro de custo-efetividade ocorreu com os medicamentos destinados ao tratamento da hepatite viral crônica C, para o qual o SUS disponibilizava a alfa-interferona. Foi lançada no mercado a mesma molécula, com uma alteração estrutural, que trouxe um pequeno diferencial na resposta terapêutica em relação à apresentação convencional. O preço era muito superior e incompatível com os resultados terapêuticos. O gasto mensal do tratamento dessa condição de saúde por paciente com o novo medicamento era de aproximadamente R\$ 3.000,00, enquanto o valor médio mensal gasto quando utilizada alguma das distintas apresentações das alfa-interferonas convencionais disponibilizadas no SUS era de R\$ 300,00/mês. Os estudos disponíveis na época, mostravam uma diferença na resposta viral sustentada de 54% para alfapeginterferona e 47% para a alfainterferona convencional³³.

Em levantamento realizado em 2012, quanto aos medicamentos para mucopolissacaridoses (doença rara), cerca de 97% da despesa de judicialização foi feita com um único distribuidor, a UnoHealthcare Inc., empresa especializada em restrita carteira de medicamentos de alto custo, que ainda estavam em fase experimental e que tinha o Brasil como seu maior comprador: mais de R\$ 213 milhões foram comprados em medicamentos dessa empresa no período de 2006-2010⁵⁸.

Os laboratórios farmacêuticos investem 75% em *marketing* farmacêutico e buscam contemplar seus interesses econômicos frente à disponibilização de novas terapias ao SUS. Existe também a pressão aos advogados para defender os pedidos judiciais, e o uso de superespecialistas para sustentar a evidência científica, que passou a ser exigida pelo Judiciário nas tomadas de decisão. O controle da precificação das tecnologias de saúde e o controle ético dos profissionais são medidas que podem diminuir o impacto da judicialização. No Brasil, 22% dos médicos afirmaram que confiam plenamente nas publicidades e 68% deles disseram prescrever sob influência direta da publicidade^{16,58}.

3.3.DOENÇAS RARAS

As doenças raras, também referidas como doenças órfãs, geralmente são crônicas, progressivas, degenerativas e afetam um pequeno percentual da população. Podem ser classificadas em doenças raras de origem genética (anomalias congênitas, deficiência

intelectual e erros inatos de metabolismo) ou doenças raras de origem não genética (infecciosas, inflamatórias e autoimunes). Cerca de 80% das doenças raras são de origem genética ⁵⁹.

Os parâmetros para considerar uma doença como doença rara são diferentes ao redor do mundo. O Brasil adotou o conceito defendido pela OMS, onde se considera rara aquela doença que afeta até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, ou seja, 1,3 pessoa a cada 2.000 indivíduos. Na União Europeia, considera-se as que atingem uma pessoa a cada 2.000 indivíduos, e nos Estados Unidos, as que afetam até 200 mil pessoas⁶⁰. Em países desenvolvidos, cerca de 30% de pacientes portadores de doenças raras progridem para óbito dentro da faixa etária infantil⁶¹.

Estima-se que existam entre 6.000 e 8.000 doenças raras no mundo, e apenas 5% têm tratamento medicamentoso. Cerca de 8% da população mundial é acometida por doença rara, e no Brasil, estima-se que entre 16 e 17 milhões de pessoas sofrem de alguma dessas condições clínicas⁶².

As opções terapêuticas são restritas e possuem custos sensivelmente mais elevados, pois os valores investidos nas pesquisas de desenvolvimento de fármacos se assemelham às doenças comuns, porém a lucratividade é limitada devido a menor quantidade de pacientes que vão utilizá-las ⁶³.

O tratamento das doenças raras costuma ser personalizado e requer acompanhamento contínuo com equipe multiprofissional. Os sinais e sintomas de uma mesma condição podem variar entre os pacientes⁶².

Os medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras são chamados de “medicamentos órfãos”. Cerca de 660 medicamentos órfãos já foram aprovados pela *Food and Drug Administration* (FDA), responsável pelos registros de medicamentos nos Estados Unidos. Até outubro de 2023, a Anvisa já havia aprovado 120 medicamentos para tratamento de doenças raras no Brasil⁶⁴. Por apresentar uma base de consumidores pequena, o desenvolvimento destes medicamentos costuma ser incentivado pelos governos de cada país, pois as indústrias farmacêuticas não possuem interesse em produzi-los. De quase 50.000 medicamentos produzidos, apenas 10% são órfãos, os quais correspondem a vendas anuais de aproximadamente US\$ 100 bilhões ⁶⁵. Devido às incertezas em relação à eficácia e à segurança a longo prazo dos medicamentos, uma estratégia utilizada por vários países como Estados Unidos, Reino Unido, França, Alemanha, Itália, Espanha, Portugal, Canadá, Austrália e Japão, é a implementação de acordos entre governos, empresas farmacêuticas e financiadores privados para tornar os medicamentos para doenças raras mais acessíveis e sustentáveis. Estes acordos

são chamados de compartilhamento de risco para medicamentos de alto custo (*risk sharing agreements* – RSA)⁶⁶.

Os sistemas de saúde vêm sendo cada vez mais pressionados com relação à incorporação de medicamentos órfãos no *rol* de produtos que devem oferecer às populações sob sua responsabilidade. Uma das consequências dessa conjuntura relativamente nova é o seu impacto na compreensão e nos mecanismos da ATS com vistas à incorporação pelos sistemas de saúde¹⁷.

A Anvisa instituiu Resoluções da Diretoria Colegiada (RDC) para fomentar a pesquisa e a distribuição de medicamentos órfãos. Dentre elas, as RDC nº 205/2017 e nº 260/2018 são consideradas marcos regulatórios na área, uma vez que regulamentam a aprovação de medicamentos órfãos e ensaios clínicos no Brasil. Diferente do registro dos demais medicamentos, para os medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, podem ser aceitos relatórios de segurança e eficácia com a apresentação de estudos fase II concluídos e estudos fase III em andamento, ou sem a apresentação de estudos clínicos fase III, quando a realização destes estudos não for viável^{67,68}.

Os portadores de doenças raras também percorrem um longo caminho até chegar ao diagnóstico. Muitos mecanismos fisiológicos e/ou moleculares são pouco conhecidos, e não há muitos especialistas capazes de conhecer e diagnosticar a doença e seus diferentes graus de acometimento e evolução. De acordo com a Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM), leva-se, em média, oito anos até o diagnóstico preciso, e os pacientes chegam a se consultar com até 10 médicos de especialidades diferentes, além de outros profissionais de saúde⁶⁹. No Brasil, existem pouco mais de 200 geneticistas, o equivalente a 1 por 1,25 milhão de brasileiros. A OMS recomenda que haja 1 geneticista para cada 100 mil habitantes⁷⁰. A confirmação do diagnóstico das doenças raras de origem genética envolve técnicas complexas de sequenciamento de DNA, que não estão acessíveis a todos os pacientes⁶².

As discussões trazidas pelo I Congresso Brasileiro de Doenças Raras em 2009 culminaram na publicação, pelo Ministério da Saúde, da Portaria SAS/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR) e as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS. Esta iniciativa tem por objetivo reduzir a mortalidade, morbimortalidade, incapacidade e as manifestações secundárias, e garantir por meio de ações de promoção, prevenção e detecção precoce, a melhoria da qualidade de vida dos indivíduos. De acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, por meio de PCDT,

recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela Conitec⁵⁹. No ano de 2022 existiam cerca de 50 doenças raras com PCDT no SUS⁷⁰.

Em 2023, 18 centros de referência em doenças raras no Brasil foram habilitados pelo SUS, em 12 estados: GO(1), BA(2), DF(2), SP(3), CE(2), MG(1), ES(1), RJ(1), PR(2), PE(1), RS(1) e SC(1). O objetivo destes locais é oferecer assistência completa e diferenciada, por meio de uma equipe multidisciplinar, que presta assistência tanto na parte física/biológica da condição de saúde quanto na parte emocional⁷¹.

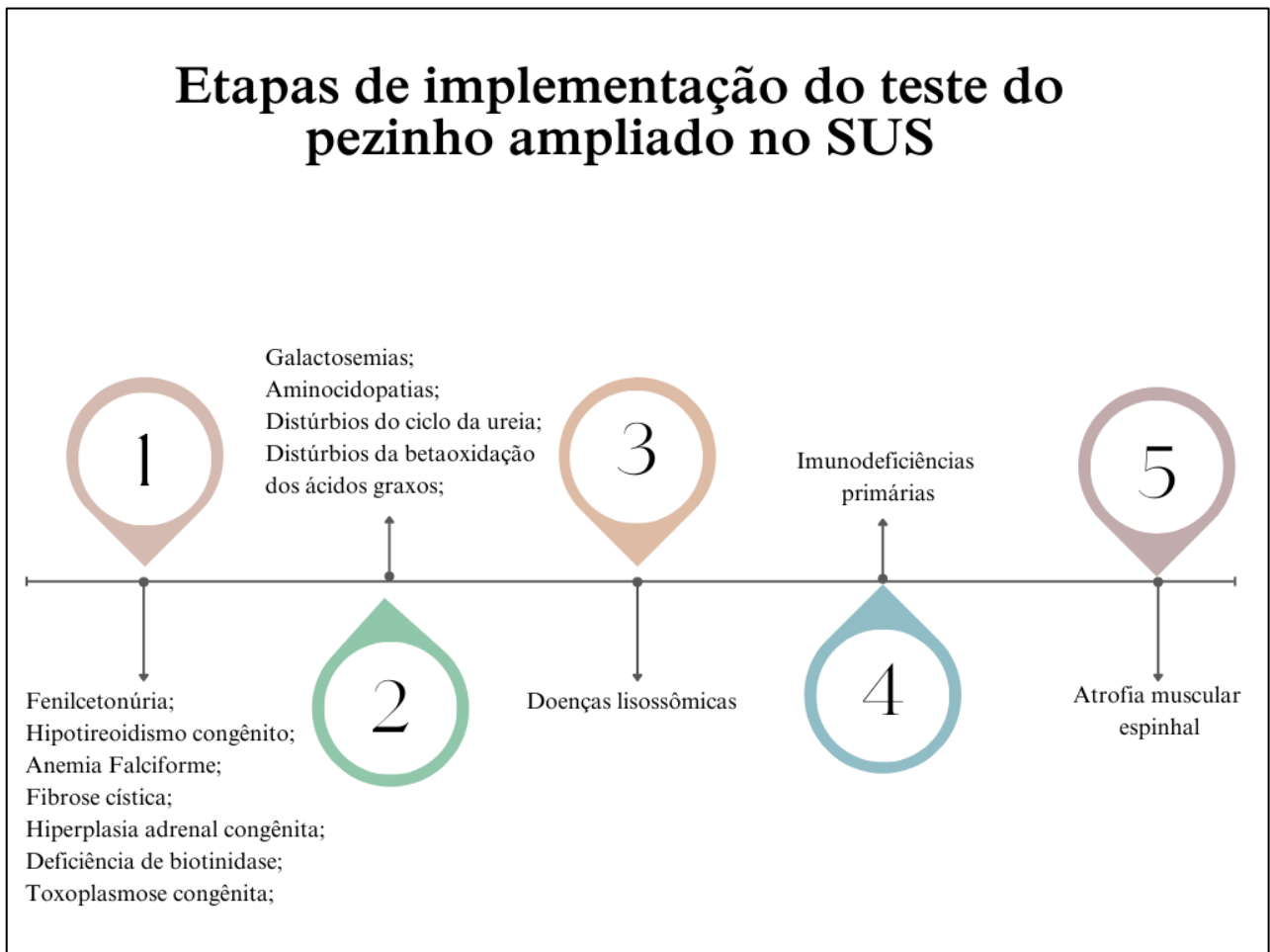
Um dos primeiros passos para identificar as doenças raras é a triagem neonatal, por meio do “Teste do Pezinho”. O Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN) do SUS existe desde 2001, e inclui a versão básica do teste, que detecta seis doenças consideradas raras no Brasil: fenilcetonúria, hipotireoidismo congênito, fibrose cística, anemia falciforme, hiperplasia adrenal congênita e a deficiência de biotinidase. Na rede privada, é oferecido o teste ampliado, que diagnostica mais quatro doenças e ainda há testes ampliados, capazes de detectar cerca de 50 condições de saúde. Em 2021 foi sancionada a Lei nº 14.154/2021, que inclui o rastreamento, de forma escalonada, de outros 14 grupos de doenças, que poderão identificar até 53 tipos diferentes de enfermidades e condições específicas de saúde⁷². A implementação do teste ampliado seguirá de forma escalonada, por ordem de progressão, em 5 etapas (Figura 2).

Desde que o teste do pezinho foi inserido na política de triagem neonatal, é possível observar que houve diminuição na taxa de mortalidade de crianças com anomalias congênitas. O PNTN investe anualmente R\$ 95 milhões e a cobertura média é de 80% dos três milhões de bebês nascidos no país.

A longa extensão territorial do Brasil, a ausência de infraestrutura e a dificuldade de logística dificultam a cobertura de 100% da triagem e na ampliação do teste. Estados do Norte e Nordeste possuem cobertura abaixo de 75% e relatam problemas de transporte e acondicionamento das amostras⁷³.

As doenças raras são um problema de saúde pública e existem desafios no acesso ao diagnóstico e, consequentemente, seu tratamento e aos recursos para seu financiamento no Brasil, de modo que os cidadãos o buscam por meio da judicialização^{63,65}.

Figura 2– Etapas de implementação do teste do pezinho ampliado no SUS.



Fonte: Adaptado de Ministério da Saúde, 2014.

3.3.1. Atrofia Muscular Espinhal

A Atrofia Muscular Espinhal é uma doença rara, de herança genética autossômica recessiva, que provoca a degeneração progressiva do neurônio motor espinhal. Os principais sintomas desta doença incluem perda progressiva dos movimentos, fraqueza muscular, paralisia e insuficiência respiratória⁷⁴. Apresenta prevalência de 1-2 em 100.000 pessoas e incidência de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos⁹. No Brasil, estima-se que uma a cada 37 pessoas seja portadora do alelo SMN1 alterado⁷⁵.

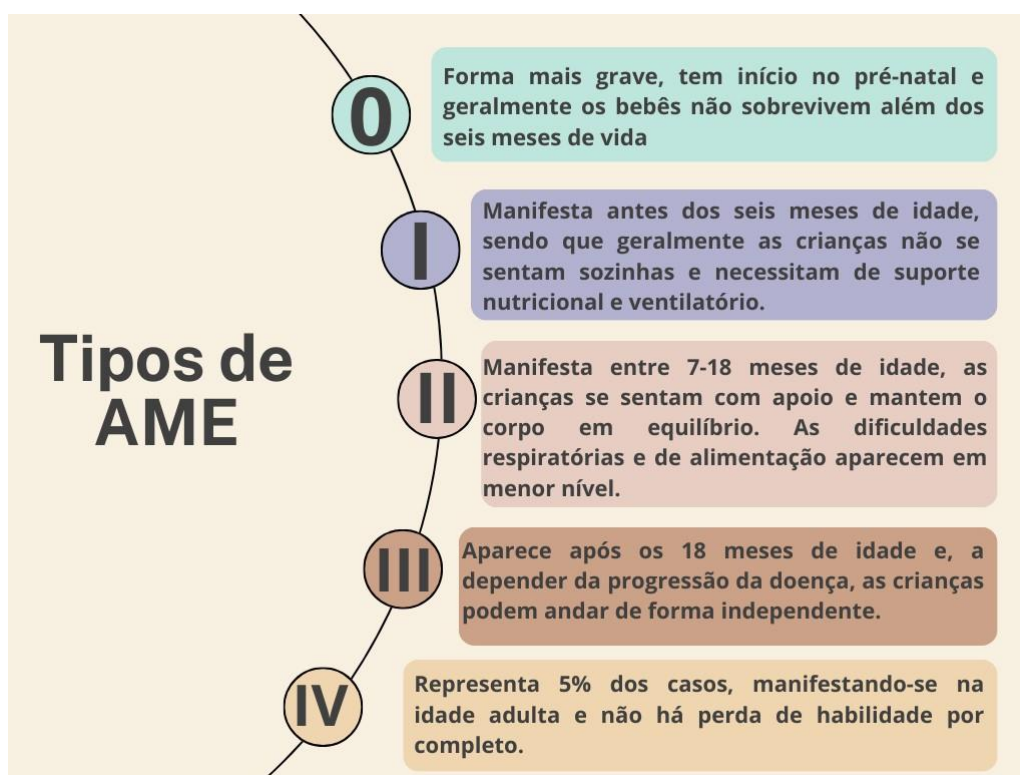
Não existe cura para a doença e atualmente existem três fármacos disponíveis para seu tratamento, todos registrados pela Anvisa e já incorporados ao SUS: nusinersena, risdiplam e onasemnogene abeparvoveque⁷⁶⁻⁷⁸.

Na AME, os níveis da proteína de sobrevivência do neurônio motor (SMN) encontram-se reduzidos, devido a alterações nos genes que a codificam: SMN1 e SMN2. Apenas as mutações no gene SMN1 ocasionam a AME e a presença de múltiplas cópias do gene SMN2

se correlaciona com a gravidade clínica da AME, pois quanto maior o número de cópias do gene SMN2, menor é a velocidade de progressão dos sinais e sintomas⁷⁹.

A AME 5q pode ser classificada em cinco tipos: 0, I, II, III e IV, que diferenciam entre si pela idade de início dos sintomas⁸⁰, sendo estes descritos na Figura 3. A maior parte dos pacientes com AME tipo I apresenta de 1-2 cópias do gene SMN2, ao passo que a maioria dos pacientes com fenótipo de AME tipo II carregam 3 cópias do gene SMN2, enquanto pacientes com AME tipo III podem ter 3 ou 4 cópias do gene SMN2. No entanto, esta não é uma correlação estrita e o número de cópias do SMN2 não é o único determinante do fenótipo dos pacientes com AME⁸¹.

Figura 3 – Tipos de Atrofia Muscular Espinhal 5q.



Fonte: Adaptado de Pera et al., 2020; Oliveira et al., 2021.

No SUS, os critérios para diagnóstico, tratamento e acompanhamento da AME5q estão preconizados no PCDT da doença. Este protocolo inclui tratamento medicamento e não medicamentoso (cuidados nutricionais, respiratórios e ortopédicos). O nusinersena e o risdiplam são as alternativas medicamentosas disponíveis no SUS aos pacientes que cumprirem os critérios do protocolo clínico e diretrizes terapêuticas da doença. Embora incorporado ao SUS, o onasemnogeno abeparvoveque, ainda não é disponibilizado aos pacientes⁹.

O nusinersena, e o risdiplam estão disponíveis apenas para AME5q tipo I e II. Os pacientes portadores de AME5q tipo I que desejam utilizar os medicamentos pelo SUS devem ter o diagnóstico genético confirmado, ser exclusivamente atendidos em centros de referência e não podem estar em ventilação mecânica invasiva permanente (24 horas/dia, continuamente, por ≥ 21 dias). Para a AME5q tipo II, são elegíveis os pacientes com início dos sintomas entre 6 e 18 meses de vida, que tenham 12 anos de idade no início do tratamento ou mais de 12 anos de idade no início do tratamento com capacidade de sentar-se sem apoio e a função de membros superiores preservadas⁹.

O diagnóstico da AME é realizado tanto em pacientes sintomáticos, a partir da suspeita clínica, como em pacientes pré-sintomáticos, a partir da suspeita familiar ou triagem neonatal. Por ser uma doença progressiva, o diagnóstico precoce pode contribuir para a máxima a função motora⁸².

A AME faz parte do grupo de doenças diagnosticadas na triagem neonatal, e foi incluída na quinta e última etapa de ampliação do PNTN⁷².

3.3.2. Onasemnogene abeparvoveque

O medicamento onasemnogeno abeparvoveque é uma suspensão para infusão intravenosa de uma terapia gênica baseada em um vetor viral adeno-associado. Este vetor recombinante auto complementar contém uma codificação transgênica da proteína humana SMN, sob o controle de um promotor híbrido CMV *enhancer* / beta-actina de galinha. O onasemnogeno abeparvoveque foi desenvolvido para fornecer uma cópia do gene que codifica a proteína SMN humana⁷⁸.

Conforme a bula, o medicamento é indicado para o tratamento de pacientes pediátricos abaixo de 2 anos de idade com AME, com: mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e diagnóstico clínico de AME do tipo I, ou; mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e até 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2)⁷⁸.

O registro do onasemnogeno abeparvoveque foi aprovado pela Anvisa em agosto de 2020, em caráter excepcional, o que significa que algumas condições foram impostas pela Agência. Foi assinado um termo de compromisso em que a empresa se responsabiliza por apresentar anualmente à Anvisa estudos adicionais para a confirmação de sua eficácia e segurança em longo prazo; por realizar estudos complementares na população brasileira, de forma a acompanhar o perfil de segurança e de eficácia do produto no país em longo prazo, na

perspectiva da avaliação da manutenção do balanço benefício x risco positivo, por treinar os profissionais responsáveis pela infusão do produto, e qualificar previamente os estabelecimentos hospitalares brasileiros para o correto armazenamento e controle do produto antes de sua administração⁷⁸.

Por muito tempo foi considerado o medicamento mais caro do mundo. No início do ano de 2023, cada tratamento com o medicamento custava em média US\$ 2,5 milhões¹⁷. Os estudos publicados para este medicamento levam em consideração uma série de particularidades, havendo uma discussão sobre a relevância clínica dos desfechos para avaliação da eficácia. No SUS, o onasemnogene abeparvoveque foi incorporado em dezembro de 2022 somente para o tratamento de crianças com AME do tipo I, com até seis meses de idade, que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. De acordo com a Conitec, as evidências disponíveis sobre eficácia e segurança são para uma população de até 6 meses, com AME tipo I, sem uso de ventilação mecânica invasiva permanente. O preço proposto pela indústria para a incorporação do medicamento pelo SUS é de R\$ 5,7 milhões por dose-única¹⁴.

Algumas agências e órgãos internacionais também avaliaram o medicamento, e, assim como a Conitec, também estabeleceram critérios para o seu fornecimento. A agência Escocesa – *Scottish Medicines Consortium* (SMC) aprovou o medicamento para reembolso apenas para pacientes com AME tipo I⁸³. A Agência Canadense – *Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health* (CADTH) e a do Reino Unido – *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) também limitaram o uso do medicamento a pacientes de até 6 meses de idade, com AME tipo I, sem necessidade de alimentação permanente ou suporte ventilatório^{84,85}.

A incorporação deste medicamento no SUS foi condicionada a assinatura de um termo de compromisso para o compartilhamento de risco entre a Novartis (fabricante do medicamento) e o Ministério da Saúde. Tal fato se justifica pela incerteza dos benefícios a longo prazo e da segurança do medicamento e seu impacto econômico no sistema de saúde. O acordo proposto inclui também o treinamento de profissionais para lidar com o produto, que é administrado mediante infusão venosa. Pelo que se pode extrair do noticiário da imprensa, dado que até o momento ainda não há um acordo contratado, trata-se de um projeto de compartilhamento na modalidade de pagamento por resultados, similar ao assinado entre o Reino Unido e Novartis. Os detalhes do entendimento entre a Novartis e o SUS ainda não foram divulgados¹⁷.

A proposta final recomendada pela Conitec foi do pagamento parcelado em cinco anos, sendo 20% do preço do medicamento divididos anualmente. Segundo as informações disponíveis, a fabricante só receberá as parcelas após o primeiro ano da infusão se a criança atingir os marcos motores e a manutenção dos mesmos ao final do quarto e do quinto anos. O pagamento das demais parcelas estará vinculado ao resultado – ausência de morte, não evolução para ventilação mecânica e bons avanços motores de acordo com a escala *Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders* (Chop-intend). O paciente passará por uma avaliação de equipe médica especializada, indicada pelo Ministério da Saúde, e se atingir os marcos motores, a empresa receberá a segunda e demais parcelas. Caso contrário, o pagamento não será efetuado^{17,86}.

A previsão legal para a oferta da nova tecnologia no SUS é de até 180 dias a contar da data da publicação da portaria de incorporação. O prazo de 180 dias, dado pela pasta para fornecer a terapia gênica na rede pública, se esgotou em 4 de junho de 2023^{17,86}.

4. MÉTODOS

4.1. CONTEXTO DO ESTUDO

O SUS é um dos maiores e mais complexos sistemas de saúde público do mundo, que proporciona acesso universal à população do país. O SUS é composto em nível federal pelo Ministério da Saúde, mas também há descentralização em ações nos Estados e Municípios, sendo que cada ente tem suas co-responsabilidades. O Ministério da Saúde é o gestor nacional, que elabora, normatiza, fiscaliza, monitora e avalia as políticas e ações em saúde³⁴. O Departamento de Gestão das Demandas em Judicialização na Saúde (DJUD) compõe a estrutura do Ministério da Saúde, e é responsável por coordenar, supervisionar, propor medidas e desenvolver mecanismos de gestão, controle e monitoramento de processos referentes às demandas judiciais de medicamentos, insumos, material médico-hospitalar e a contratação de serviços destinados aos usuários do Sistema ⁸⁷.

4.2. DESENHO DO ESTUDO

Trata-se de estudo transversal, de natureza descritiva e desenho censitário, com base em registros de ações judiciais movidas contra o Ministério da Saúde para obtenção do medicamento onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME. Os dados foram solicitados ao Ministério da Saúde, correspondendo a todas as ações judiciais registradas no período de janeiro de 2019 a setembro de 2022. Com base nos dados recebidos, foram extraídas informações sobre o perfil epidemiológico dos beneficiários das ações judiciais, bem como os gastos dispendidos por esse órgão nos casos de deferimento das solicitações.

4.3. POPULAÇÃO

A população do estudo foi indivíduos com diagnóstico de AME beneficiários de ação judicial contra o Ministério da Saúde para obtenção do medicamento onasemnogene abeparvoveque. Foram identificados todos os indivíduos no período do estudo, correspondendo ao desenho censitário no período sob investigação.

4.4. VARIÁVEIS E FONTE DE DADOS

Os dados foram solicitados ao Departamento de Demandas Judiciais em Saúde via Lei de Acesso à Informação. Os dados solicitados foram concedidos de forma anonimizada, não contendo informações que pudessem identificar os pacientes, como nome e filiação materna/paterna.

Foram obtidos informações sobre: i) características demográficas dos pacientes, incluindo idade (em meses) e sexo (masculino e feminino); ii) características clínicas dos pacientes, contemplando a classificação da AME (subtipo 0, I, II, III e IV), uso de suporte ventilatório (sim e não), uso de suporte nutricional (sim ou não); medicamento utilizado previamente (nenhum, nusinersena ou risdiplam); iii) informações do processo judicial, como tipo de representação do paciente (serviço advocatício privado ou público) e resultado da ação judicial (deferido ou indeferido).

Para os casos em que houve ganho de causa para os pacientes, foram obtidas informações sobre o valor gasto pelo Ministério da Saúde (em valores correntes em reais – R\$), incluindo custo com o medicamento e eventuais procedimentos adicionais (serviços hospitalares, aplicação, honorários médicos e transporte). Adicionalmente, foram obtidas informações sobre a forma de pagamento da ação judicial (compra direta do medicamento ou depósito judicial) e idade do paciente no momento do cumprimento judicial.

4.5. ANÁLISE DOS DADOS

Os dados obtidos no estudo foram analisados de forma descritiva, adotando-se medidas de tendência central e dispersão para as variáveis numéricas e medidas de frequência como números absolutos e proporções para as variáveis categóricas. Foi realizado posteriormente o teste do qui-quadrado para identificar possíveis associações entre variáveis de exposição e o desfecho de deferimento da ação judicial, sendo considerado significativas aquelas com p valor menor ou igual a 0,05.

Para relacionar o perfil dos pacientes com as evidências disponíveis, foram considerados dois pontos de corte: i) informações da bula do medicamento, pela qual o medicamento onasemnogene abeparvoveque é recomendado para pacientes com AME tipo I, ou até 3 cópias do gene SMN2, com idade de até dois anos⁷⁸ e ii) relatórios clínicos de recomendação elaborados por agências de avaliação de tecnologias em saúde (brasileira e de outros países), restringindo o uso do onasemnogene abeparvoveque a pacientes com AME com até seis meses de idade e sem necessidade de suporte ventilatório, como é o caso da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) e *Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health* (CADTH)^{14,83–85}. Os critérios de recomendação de utilização do medicamento estão descritos no Quadro 1.

Quadro 1- Recomendações e restrições de utilização do onasemnogene abeparvoveque pelo fabricante e agências de avaliação de tecnologias em saúde.

Evidência	Idade	Tipo de AME	Restrições de uso
Bula do medicamento (Fabricante Novartis)⁷⁸	Abaixo de 2 anos	AME tipo I, ou até 3 cópias do gene SMN2.	O uso de onasemnogene abeparvoveque em pacientes com AME avançada não foi avaliado, por exemplo paralisia total dos membros, dependência permanente de ventilação.
Conitec¹⁴	Até 6 meses	AME5q tipo I	Crianças em ventilação invasiva acima de 16 horas por dia.
SMC⁸³	Não define idade	AME tipo I, ou até 3 cópias do gene SMN2, onde se espera que os pacientes desenvolvam AME tipo I.	Não informa restrições de uso.
CADTH⁸⁴	Até 6 meses	Pacientes com AME sintomático ou pré-sintomático com 1 a 3 cópias do gene SMN2.	Crianças que necessitam de alimentação permanente ou suporte ventilatório (invasivo ou não invasivo).
NICE⁸⁵	Até 6 meses ou idade de 7 a 12 meses com tratamento acordado pela equipe multidisciplinar	AME5q tipo I	Crianças traqueostomizadas e em ventilação permanente acima de 16 horas por dia. O uso em crianças de 7 a 12 meses é indicado somente se o tratamento lhes dará 70% de chance de sentar-se de forma independente.

Conitec: Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias

SMC: *Scottish Medicines Consortium*

CADTH: *Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health*

NICE: *National Institute for Health and Care Excellence*

Fonte: elaboração própria, com base nas referências indicadas na coluna 1.

4.6. ASPECTOS ÉTICOS

O estudo foi aprovado pelo Comitê de Ética em Pesquisa da Faculdade de Ceilândia da Universidade de Brasília, sob registro n° CAAE 69455923.0.0000.8093. Houve dispensa da aplicação do termo de consentimento livre e esclarecido, dado que os dados foram fornecidos pelo Ministério da Saúde de forma anonimizada, sem identificação nominal dos participantes.

5. RESULTADOS

Durante o período analisado, foram identificados 136 processos judiciais do medicamento onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME no âmbito do Ministério da Saúde, dos quais 113 (83%) foram favoráveis aos beneficiários das ações judiciais. Características demográficas (sexo e idade), clínicas (subtipos da AME, uso de suporte ventilatório ou nutricional) e do processo judicial (tipo de serviço advocatício) não foram associadas com o deferimento das ações judiciais. Apenas o uso prévio de medicamento para AME (nusinersena ou ridisplam) foi associado com o indeferimento dos processos judiciais. A AME I foi o subtipo mais frequente nos processos judiciais, totalizando 118 processos (86,7%) (Tabela 1).

Ao analisar apenas os casos de deferimento das ações judiciais, 97,3% dos pacientes tinham idade de até 2 anos quando do início do processo judicial, estando convergentes com as recomendações de bula do fabricante do medicamento. No entanto, esse percentual cai para 84,5% ao se analisar a idade do paciente quando do cumprimento da ação judicial (pagamento ou entrega do medicamento). Levando em consideração o limite de até seis meses de idade para obtenção do onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME, estabelecido em recomendação pela Conitec e outras agências internacionais (CADTH e NICE), esses percentuais reduzem-se a 27,4% e 9,2%, respectivamente (Tabela 1).

Ressalta-se que dos 113 processos com ações deferidas, em apenas 109 deles havia informações do custo e idade no cumprimento. Quatro processos deferidos ainda não tinham sido atendidos com a entrega do medicamento ou depósito judicial. No período do estudo, o Ministério da Saúde desembolsou R\$ 944,8 milhões para atender 109 demandas judiciais do medicamento onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME, com um gasto médio de R\$ 8,67 milhões por paciente. Em 43 processos judiciais, foram solicitados recursos adicionais para pagamento de honorários médicos, hospitalizações e transporte dos pacientes ao local onde ocorreria a aplicação do medicamento, totalizando R\$ 3,2 milhões no período investigado (Tabela 2).

A Tabela 3 relaciona os gastos da judicialização do medicamento onasemnogene abeparvoveque com os critérios definidos em recomendações de diferentes países, incluindo o Brasil. Das 113 ações judiciais concedidas em favor dos pacientes, apenas 6 (5,3%) atenderiam os critérios estabelecidos pela Conitec (crianças com até seis meses sem suporte ventilatório e

nutricional). Dessa forma, R\$ 891 milhões despedidos com ações judiciais não atenderiam os critérios estabelecidos na recomendação.

Tabela 1 - Informações das demandas judiciais do medicamento onasemnogene abeparvoveque no âmbito do Ministério da Saúde entre janeiro de 2019 e setembro de 2022, Brasil.

Características	Demanda judicial deferida ^a		Demanda judicial indeferida		p valor
	nº demandantes	%	nº demandantes	%	
Sexo					0,590
Feminino	52	46,0	12	52,2	
Masculino	61	54,0	11	47,8	
Idade do paciente no peticionamento					0,323
0 - 6 meses	31	27,4	4	17,4	
7 - 12 meses	33	29,2	9	39,1	
13 - 18 meses	27	23,9	5	21,7	
19 - 24 meses	19	16,8	3	13,0	
Igual ou acima de 25 meses	3	2,7	2	8,7	
Idade do paciente no cumprimento judicial					
0-6 meses	10	9,2			
7 - 12 meses	16	14,7			
13 - 18 meses	33	30,3			
19 - 24 meses	32	29,4			
Igual ou acima de 25 meses	18	16,5			
Tipo de AME					0,438
Tipo 1	99	87,6	19	82,6	
Tipo 2	13	11,5	3	13,0	
Tipo 3	1	0,9	1	4,3	
Tipo de representação					0,161
Privada	110	97,3	21	91,3	
Pública	3	2,7	2	8,7	
Uso de outros medicamentos(*)					0,025
Sim	45	39,8	15	65,2	
Não	68	60,2	8	34,8	
Suporte ventilatório					0,701
Sim	54	47,8	12	52,2	
Não	59	52,2	11	47,8	
Suporte nutricional					0,974
Sim	34	30,1	7	30,4	
Não	79	69,9	16	69,6	

AME: Atrofia Muscular Espinhal

Nota: ^a Dos 113 processos deferidos, 4 ainda não tinham a data de atendimento do cumprimento judicial.

*- Uso de outros medicamentos para o manejo da AME: nusinersena ou risdiplam.

Tabela 2 - Gasto total despendido pelo Ministério da Saúde com demandas judiciais do medicamento onasemnogene abeparvoveque por tipo de AME no período de janeiro de 2019 a setembro de 2022, Brasil.

Tipo de AME	Custo com medicamento		Custos adicionais		Custo total
	Quantidade	Custo (R\$)	Quantidade	Custo (R\$)	
Tipo I	99 ^a	833.386.445,27	37	2.950.690,29	836.337.135,56
Tipo II	13 ^b	99.377.369,67	6	271.240,14	99.648.609,81
Tipo III	1	8.812.225,00	0	0,00	8.812.225,00
Custo total					944.797.970,37

AME: Atrofia Muscular Espinhal

Notas: ^a 3 ações judiciais deferidas ainda não haviam sido atendidas e, portanto, não foram considerados seus custos. ^b 1 ação judicial deferida ainda não havia sido atendida e, portanto, não foram considerados seus custos.

Outro ponto que vale ressaltar é o dispêndio de R\$ 146 milhões com fornecimento do onasemnogene abeparvoveque para crianças com idade superior a 2 anos, que está fora da recomendação contida na bula do medicamento, estabelecida pelo fabricante (Tabela 3).

Tabela 3 - Quantidade e gasto incorrido pelo Ministério da Saúde para atender a demanda judicial do onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME, estratificado por critérios clínicos adotados por agências internacionais de avaliação de tecnologias em saúde.

Grupo	AME tipo I		AME tipo II		AME tipo III	
	n	Custo (R\$)	n	Custo (R\$)	n	Custo (R\$)
Crianças até 6 meses sem suporte ventilatório e nutricional	6	53.782.491,83	0	0,00	0	0,00
Crianças até 6 meses com suporte ventilatório e nutricional	4	36.731.461,25	0	0,00	0	0,00
Crianças > 6 meses e ≤ 24 meses com suporte ventilatório e nutricional	42	384.831.441,21	0	0,00	0	0,00
Crianças > 6 meses e ≤ 24 meses sem suporte ventilatório e nutricional	30	247.183.951,57	9	76.249.872,02	0	0,00
Crianças > 24 meses	17 ^a	113.807.789,70	4 ^b	23.398.737,79	1	8.812.225,00
Total	99	836.337.135,56	13	99.648.609,81	1	8.812.225,00

AME: Atrofia Muscular Espinhal

Notas: ^a 3 ações judiciais deferidas ainda não haviam sido atendidas e, portanto, não foram considerados seus custos. ^b 1 ação judicial deferida ainda não havia sido atendida e, portanto, não foram considerados seus custos.

6. DISCUSSÃO

Durante o período analisado, o Ministério da Saúde desembolsou R\$ 944,8 milhões para o cumprimento dos processos judiciais do medicamento onasemnogene abeparvoveque para o tratamento da AME. A média anual foi de R\$ 251,9 milhões para o atendimento de aproximadamente 29 pacientes, configurando-se a maior despesa com judicialização em âmbito federal. Excluindo-se os gastos com o onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME, o Ministério da Saúde desembolsou R\$ 802,6 milhões com o atendimento de outras ações judiciais em 2019, atendendo mais de 3.000 beneficiários⁸⁸. A comparação torna-se mais dispare quando é considerado o gasto total com medicamentos no sistema público de saúde (SUS), que totalizou R\$ 10,29 bilhões no mesmo ano⁸⁹, incluindo o atendimento de todas as doenças e agravos de saúde no país pela via das políticas de saúde, o que em tese representa o atendimento a mais de 200 milhões de habitantes.

O gasto da judicialização do onasemnogene abeparvoveque para AME representaria 2,45% do gasto total com medicamentos no SUS, incluindo gastos das três esferas administrativas (Ministério da Saúde, estados e municípios). Cabe ressaltar ainda que, do gasto total com a judicialização do onasemnogene abeparvoveque para AME (R\$ 944,8 milhões), apenas R\$ 53,8 milhões (5,7%) atenderiam os critérios estabelecidos pela Conitec e R\$ 798,7 milhões (84,5%) em relação à bula do fabricante do medicamento. Contudo, considerando que a própria bula não garante eficácia e segurança em pacientes com paralisia total dos membros e dependência permanente de ventilação, este gasto pode ser maior, pois não se sabe se o uso de suporte ventilatório informado era permanente, nem se houve piora dos quadros informados durante o período de tramitação dos processos.

O valor desembolsado também variou em termos de forma de pagamento. De 109 processos atendidos, em apenas 18 deles, a compra do medicamento ocorreu diretamente pelo Ministério da Saúde, com o valor unitário do kit de R\$ 5.722.712,79. Para os casos em que houve depósito para compra direta pelo beneficiário ou responsável pela ação, a média do valor do medicamento foi de R\$ 9.215.849,51 (variando de R\$ 4.179.008,39 a R\$ 12.105.487,50). Em 23 processos de depósito, o kit do medicamento ultrapassou R\$ 11.000.000,00, chegando a R\$ 12.105.487,50. O valor pago via depósito é superior ao valor regulado pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), estabelecido em R\$ 6,5 milhões¹⁷.

Os tipos de AME encontrados neste estudo encontram semelhanças com os dados publicados a respeito da doença. A maior parte dos processos deferidos correspondem a

pacientes portadores de AME tipo I, provavelmente por ser o subtipo mais grave, que demanda maiores cuidados, e com maior prevalência no Brasil^{90,91}.

A ausência de tratamento medicamentoso previamente contribuiu para a decisão de conceder o onasemnogene abeparvoveque nos processos judiciais no contexto do Ministério da Saúde. Esse padrão está em consonância com as evidências disponíveis, visto que a exposição a tratamentos prévios foi um dos critérios de exclusão nos ensaios clínicos^{92,93}. O mesmo não ocorreu em termos de idade do início do tratamento (até seis meses) e uso de suporte ventilatório e nutricional. Os ensaios clínicos disponíveis incluíram apenas pacientes com idade até 6 meses e portadores de duas cópias do gene SMN2; entre os critérios de exclusão desses estudos, estavam o uso de suporte ventilatório invasivo (traqueostomia) ou suporte ventilatório não invasivo com média ≥ 6 horas diárias, bem como pacientes que apresentavam problemas de deglutição (sinais de aspiração/incapacidade de tolerar líquido)⁹⁴⁻⁹⁶. A idade das crianças é um fator bastante relevante para o tratamento, pois uma vez instalado os danos motores, não há como revertê-lo⁹⁷.

No *Clinical Trials*, existem 13 estudos do medicamento onasemnogene abeparvoveque para o tratamento da AME (busca feita em 01/10/2023). Contudo, apenas cinco desses estudos possuem resultados publicados (NCT03837184, NCT03306277, NCT03461289, NCT03505099, NCT03381729). Em todos os estudos com resultados publicados, as crianças possuíam idade igual ou inferior a seis meses, apresentavam até duas cópias do gene SMN2, não estavam em suporte ventilatório invasivo ou não invasivo por mais de ≥ 6 horas diárias e em suporte nutricional^{92,93,95,96,98}. Na maioria dos processos judiciais deferidos, ao considerar a data de peticionamento, 72,6% das crianças já possuíam idade superior a seis meses. Ainda, é válido mencionar que a própria bula do medicamento indica o tratamento para pacientes pediátricos até dois anos de idade⁷⁸. Ao total, 16,5% das crianças aplicaram o medicamento acima de dois anos de idade.

Outras agências internacionais também restringiram o uso do onasemnogene abeparvoveque para tratamento da AME a determinadas condições clínicas e idade do início do tratamento. A Agência Canadense e o NICE da Inglaterra limitaram o uso do medicamento a pacientes de até seis meses de idade, com AME tipo I, sem necessidade de suporte alimentar ou suporte ventilatório (invasivo ou não invasivo)^{84,85}. Essas recomendações são semelhantes às adotadas no Brasil, recomendadas pela Conitec. Na Escócia, o medicamento foi aprovado para reembolso apenas para pacientes menores de 1 ano que estiverem em fase pré-sintomática,

ou seja para aqueles que ainda não apresentaram sintomas da doença⁸³. O *Institute for Clinical and Economical Review* (ICER) avaliou o medicamento e comparou a custo-efetividade com nusinersena, concluindo que o onasemnogene abeparvoveque é mais custo-efetivo se aplicado na fase pré-sintomática de pacientes sem sintomas ou em crianças menores que 2 ou 3 meses⁹⁹.

A grande quantidade de ações judiciais para obtenção do onasemnogene abeparvoveque fora dos parâmetros recomendados pela Conitec (idade de até seis meses e ausência de suporte ventilatório e nutricional)¹⁴ pode estar relacionada à dificuldade de obtenção de diagnóstico precoce da AME no Brasil. Por ser uma condição de saúde de baixa incidência e que evolui progressivamente, o diagnóstico da AME pode se tornar um desafio, visto que sinais da AME podem ser confundidos com outras neuropatologias¹⁰⁰. Além disso, há dificuldades para conhecer os sinais clínicos, a falta de especialistas e a ausência de teste genético para confirmação do diagnóstico. A pesquisa “Retrato da AME no Brasil” mostrou que apenas 1% dos pacientes haviam sido diagnosticados antes do nascimento e 11% até um ano de idade. Ademais, cerca de 33% dos indivíduos relatam que o diagnóstico só foi possível após consultar cinco médicos ou mais¹⁰¹. Um estudo em grupos de pacientes da Europa, Austrália, Estados Unidos e Ásia comparou a idade de aparecimento dos primeiros sintomas da AME e a idade de confirmação do diagnóstico. Os resultados mostraram que atrasos de diagnóstico podem levar meses ou anos¹⁰².

Mesmo com os benefícios apresentados pelos estudos de eficácia do medicamento onasemnogene abeparvoveque para a população com até seis meses de idade, sem algumas comorbidades definidas (como o uso de suporte ventilatório), ainda existe uma discussão sobre a relevância clínica dos desfechos publicados. Até o momento, os estudos mostram que o marco motor atingido pelos pacientes foi o alcance de posição independente por 30 segundos aos 18 meses de idade. Inclusive, alguns marcos foram redefinidos ao longo dos estudos, o que diminui a confiabilidade da análise dos dados¹⁰³. Por se tratar de um tratamento novo, muitos estudos ainda estão em andamento, e não há dados publicados sobre os reais benefícios com a terapia a longo prazo.

Algumas limitações do estudo precisam ser mencionadas. Primeiro, grande parte do período analisado ocorreu durante a pandemia de Covid-19, o que pode ter reduzido a procura por petições relativas à AME e aumentado as demandas relativas à Covid-19. Segundo, a ausência de informações mais detalhadas sobre o uso de suporte ventilatório nos documentos médicos. Acredita-se que o número de crianças em suporte ventilatório pode ser maior, pois

considerando a morosidade em realizar o cumprimento da ação judicial deferida, muitas crianças podem ter necessitado de maiores cuidados devido à progressão da doença. Somente um estudo mais detalhado desta coorte poderá conhecer o perfil dos pacientes durante a aplicação do medicamento e fornecer as respostas quanto aos benefícios do tratamento com o onasemnogene abeparvoveque.

Por fim, ressalta-se que não foi foco deste estudo avaliar se estão corretos os critérios usados pelas agências de avaliação de tecnologias em saúde, incluindo a Conitec, sobre a incorporação do Zolgensma nos sistemas de saúde. Assim, recomendam-se pesquisas futuras nesta direção.

7. CONSIDERAÇÕES FINAIS

Este estudo contribuiu com a sumarização de dados administrativos sobre os processos judiciais contra o Ministério da Saúde para a obtenção do medicamento onasemnogene abeparvoveque para AME. O desenho censitário em âmbito federal permitiu identificar os custos e a convergência do deferimento judicial aos critérios clínicos estabelecidos por agências internacionais de avaliação de tecnologias em saúde, incluindo a Conitec.

Os dados encontrados corroboram a importância do diagnóstico precoce da AME e, consequentemente, sua distribuição no SUS, visto que mais da metade das crianças que judicializou o medicamento estava fora dos parâmetros indicados pela Conitec. Além disso, verifica-se que a aplicação do medicamento ocorreu em crianças com perfil distinto ao indicado pelas evidências da literatura (estudos publicados e a própria bula do fabricante) e dos protocolos de recomendação elaborados por agências de avaliação de tecnologias em saúde.

Por ser uma condição de saúde de baixa incidência e que evolui progressivamente, o diagnóstico da AME pode se tornar um desafio e levar meses ou anos, devido à similaridade dos sintomas iniciais com outras neuropatologias, a falta de especialistas e a ausência de teste genético para confirmação do diagnóstico. Estes fatores podem implicar, por exemplo, no acesso do medicamento pelo SUS, conforme os critérios recomendados pela Conitec. As políticas públicas de saúde precisam fomentar o diagnóstico precoce da AME.

Destaca-se também a importância dos Núcleos de Apoio Técnico do Judiciário (NAT-JUS) na elaboração de pareceres fundamentados na medicina baseada em evidências e do Fórum de Saúde do Conselho Nacional de Justiça (CNJ) no monitoramento das demandas em saúde. A jurisprudência necessita deste apoio técnico para a realização de uma análise minuciosa do caso concreto, sendo primordial adotar a medicina baseada em evidências para a tomada de decisão. Os custos crescentes em saúde, o reconhecimento da limitação dos recursos, a necessidade de garantir os direitos constitucionais e a crescente intervenção do Poder Judiciário faz com que a ATS seja peça fundamental no processo de decisão.

Deve-se ampliar a discussão sobre a forma de cumprimento da ação judicial, visto que o pagamento direto pelo Ministério da Saúde obteve menores custos na aquisição do medicamento comparado ao depósito judicial. Obter-se-ia uma economia R\$ 332 milhões no período investigado caso os 95 processos judiciais cumpridos pelo meio de depósito judicial fossem feitos por meio de pagamento direto.

Devido às incertezas sobre os efeitos do medicamento a longo prazo e preocupações com a sustentabilidade orçamentária do SUS, ressalta-se a importância de implementação de acordos de compartilhamento de risco para medicamentos de alto custo utilizados em doenças raras, até mesmo para o cenário judicial. É importante que o judiciário tenha visão técnica adequada na análise das postulações e evitem proferir decisões contrárias ao sistema de saúde e à ciência.

REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Araújo LC de, Moita MP, Silva LCC da, Mesquita KO de, Vasconcelos FJL de, Dias MS de A. JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A MEDICAMENTOS NO BRASIL: REVISÃO INTEGRATIVA DA LITERATURA. SANARE - Revista de Políticas Públicas. 2021 Jul 2;20(1).
2. Oliveira LCF de, Assis MMA, Barboni AR. Assistência Farmacêutica no Sistema Único de Saúde: da Política Nacional de Medicamentos à Atenção Básica à Saúde. Cien Saude Colet. 2010 Nov;15(suppl 3):3561–7.
3. Oliveira YM da C, Braga BSF, Pereira SPD, Ferreira MAF. Judicialização de medicamentos: efetivação de direitos ou ruptura das políticas públicas? Rev Saude Publica. 2020 Dec 12;54:130.
4. Garcia Do Carmo T. A IMPORTÂNCIA DA AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS DE SAÚDE E O PAPEL DA CONITEC NESTE CONTEXTO. Revista Saúde e Desenvolvimento. 2020;12(20).
5. Souza KA de O, Souza LEF de, Lisboa ES. Ações judiciais e incorporação de medicamentos ao SUS: a atuação da Conitec. Saúde em Debate. 2018 Oct;42(119):837–48.
6. Novaes HMD, Soárez PC De. A Avaliação das Tecnologias em Saúde: origem, desenvolvimento e desafios atuais. Panorama internacional e Brasil. Cad Saude Publica. 2020;36(9).
7. Silva EN da, Sousa TRV. Economic evaluation in the context of rare diseases: is it possible? Cad Saude Publica. 2015 Mar;31(3):496–506.
8. Biglia LV, Mendes SJ, Lima T de M, Aguiar PM. Incorporações de medicamentos para doenças raras no Brasil: é possível acesso integral a estes pacientes? Cien Saude Colet. 2021 Nov;26(11):5547–60.
9. CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, Ministério da Saúde. PORTARIA CONJUNTA Nº06, DE 15 DE MAIO DE 2023. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. 2022.
10. CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, Ministério da Saúde. Relatório de Recomendação Nº 449 - Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal 5q [Internet]. 2019 [cited 2023 Sep 6]. Available from: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2019/relatorio_nusinersena_ame5q.pdf
11. CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, Ministério da Saúde. Relatório de Recomendação Nº 595 - Nusinersena para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo II e III (início tardio). [Internet]. 2021 [cited 2023 Sep 6]. Available from: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210602_relatorio_595_nusinersena_ame5q_2e3_p_26.pdf

12. CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, Ministério da Saúde. Relatório de Recomendação Nº 709 - Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo I. [Internet]. 2022 Feb [cited 2023 Sep 6]. Available from: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314_relatorio_709_risdiplam_ametipoi.pdf
13. CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, Ministério da Saúde. Relatório de Recomendação Nº 710 - Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo II e III. [Internet]. 2022 [cited 2023 Sep 6]. Available from: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314_relatorio_710_risdiplam_ametipoieiii.pdf
14. CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Relatório de Recomendação Nº 793 - Onasemnogênio abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME). [Internet]. 2022 [cited 2023 Sep 6]. Available from: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf
15. Caetano R, Hauegen RC, Osorio-de-Castro CGS. A incorporação do nusinersena no Sistema Único de Saúde: uma reflexão crítica sobre a institucionalização da avaliação de tecnologias em saúde no Brasil. *Cad Saude Publica*. 2019;35(8).
16. Edais Pepe VL, Aragão Figueiredo de T, Simas L, Garcia Serpa Osorio-de-Castro C, Ventura M. A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. *Ciênc saúde coletiva*. 2010;15(5).
17. Guimarães R. Novos desafios na avaliação de tecnologias em saúde (ATS): o caso Zolgensma. *Cien Saude Colet*. 2023 Jul 1;28(7):1881–9.
18. Chieffi AL, Barata R de CB. Ações judiciais: estratégia da indústria farmacêutica para introdução de novos medicamentos. *Rev Saúde Pública*. 2010;44(3):421–9.
19. Forattini OP. A saúde pública no século XX. *Rev Saude Publica*. 2000 Jun;34(3):211–3.
20. Barboza NAS, Rêgo TD de M, Barros T de MRRP. A HISTÓRIA DO SUS NO BRASIL E A POLÍTICA DE SAÚDE / SUS HISTORY IN BRAZIL AND HEALTH POLICY. *Brazilian Journal of Development*. 2020;6(11):84966–85.
21. Carvalho G. A saúde pública no Brasil. *Estudos Avançados*. 2013;27(78):7–26.
22. Souza LEPF de, Paim JS, Teixeira CF, Bahia L, Guimarães R, Almeida-Filho N de, et al. Os desafios atuais da luta pelo direito universal à saúde no Brasil. *Cien Saude Colet*. 2019 Aug;24(8):2783–92.
23. Santos NR dos. SUS 30 anos: o início, a caminhada e o rumo. *Cien Saude Colet*. 2018 Jun;23(6):1729–36.
24. Wahhab Kucharski K, Battisti IDE, Fernandes DMM, Anastácio ZFC. POLÍTICAS PÚBLICAS DE SAÚDE NO BRASIL: UMA TRAJETÓRIA DO IMPÉRIO A CRIAÇÃO DO SUS. *Revista Contexto & Educação*. 2022 Apr 8;37(117):38–49.

25. Dantas C de C, Dantas F de C. JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE NO BRASIL: DA HISTÓRIA À CONTEMPORANEIDADE / JUDICIALIZATION OF HEALTH IN BRAZIL: FROM HISTORY TO CONTEMPORARY TIMES. Brazilian Journal of Development. 2020;6(12):99759–77.
26. Araújo LC de, Moita MP, Silva LCC da, Mesquita KO de, Vasconcelos FJL de, Dias MS de A. JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A MEDICAMENTOS NO BRASIL: REVISÃO INTEGRATIVA DA LITERATURA. SANARE - Revista de Políticas Públicas. 2021 Jul 2;20(1).
27. Vieira FS. Judicialização e direito à saúde no Brasil: uma trajetória de encontros e desencontros. Rev Saude Publica. 2023 Feb 17;57(1):1.
28. Conselho Nacional de Justiça (CNJ). Justiça em número: 2019 [Internet]. Brasília ; 2019 [cited 2023 Nov 12]. Available from: https://www.cnj.jus.br/wp-content/uploads/conteudo/arquivo/2019/08/justica_em_numeros20190919.pdf
29. Balestra Neto O. A jurisprudência dos tribunais superiores e o direito à saúde – evolução rumo à racionalidade. Revista de Direito Sanitário. 2015 Jul 3;16(1):87.
30. Santos L. Judicialização da saúde: as teses do STF. Saúde em Debate. 2021 Sep;45(130):807–18.
31. Mariano CM, Albuquerque FB, Furtado ET, Pereira FHL. Diálogos sanitários interinstitucionais e a experiência de implantação do NAT-JUS. Revista de Investigações Constitucionais. 2018 Jan 1;5(1):169.
32. Ferraz OLM. Para equacionar a judicialização da saúde no Brasil. Revista Direito GV. 2019;15(3).
33. CONASS - Conselho Nacional de Secretários de Saúde. O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE E A QUALIFICAÇÃO DO ACESSO [Internet]. Brasília; 2009 [cited 2023 Oct 29]. Available from: https://www.conass.org.br/conassdocumenta/cd_19.pdf
34. Ferreira GA, Ferreira CA. O Sistema Único de Saúde (SUS) brasileiro: trajetória e perspectivas. Revista Direito em Debate [Internet]. 2022 Jun 15;32(59). Available from: <https://www.revistas.unijui.edu.br/index.php/revistadireitoemdebate/article/view/11861>
35. Asensi F. RESPONSABILIDADE SOLIDÁRIA DOS ENTES DA FEDERAÇÃO E “EFEITOS COLATERAIS” NO DIREITO À SAÚDE. Revista de Direito Sanitário. 2015 Dec 30;16(3):145–56.
36. Justiça Federal da 4ª região. TRU unifica entendimento sobre direito de ressarcimento de despesas médicas particulares pelo Poder Público [Internet]. 2021 [cited 2023 Nov 12]. Available from: https://www.trf4.jus.br/trf4/controlador.php?acao=noticia_visualizar&id_noticia=15849#:~:text=TRF4%20%7C%20SA%3%9ADE-,TRU%20unifica%20entendimento%20sobre%20direito%20de%20ressarcimento,m%3%9dicas%20particulares%20pelo%20Poder%20P%3%9BAblico&text=A%20Turma%20Regional%20de%20Uniformiza%C3%A7%C3%A3o,uniformiza%C3%A7%C3%A3o%20de%20interpreta%C3%A7%C3%A3o%20de%20lei.

37. Defensoria Publica do Estado do Rio Grande do Sul. Decisão do STJ favorece assistidos da Defensoria Pública que dependem de medicamentos não incorporados ao SUS [Internet]. 2023 [cited 2023 Nov 12]. Available from: <https://www.defensoria.rs.def.br/decisao-do-stj-favorece-assistidos-da-defensoria-publica-que-dependem-de-medicamentos-nao-incorporados-ao-sus>
38. Costa KB, Silva LM e, Ogata MN. A judicialização da saúde e o Sistema Único de Saúde: revisão integrativa. *Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário*. 2020 Jun 30;9(2):149–63.
39. Gomes DF, Souza CR, Silva FL da, Pôrto JA, Moraes I de A, Ramos MC, et al. Judicialization of health and public hearing convened by the Supreme Court in 2009: what has changed since then? *Saúde em Debate*. 2014;38(100).
40. Batistella PMF, Aroni P, Fagundes AL, Haddad M do CFL. Lawsuits in health: an integrative review. *Rev Bras Enferm*. 2019 Jun;72(3):809–17.
41. Costa de Araújo L, Pereira Moita M, Chagas da Silva LC, Oliveira de Mesquita K, Leal de Vasconcelo FJ, de Araújo Dias MS. JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A MEDICAMENTOS NO BRASIL: REVISÃO INTEGRATIVA DA LITERATURA. *SANARE (Sobral, Online)*. 2021;20(1):131–41.
42. Junior Souza Silva R. Limites à Judicialização da Saúde Pública no direito brasileiro. *Biblioteca Virtual em Saúde [Internet]*. 2018 [cited 2023 Nov 12];1. Available from: <https://pesquisa.bvsalud.org/portal/resource/pt/biblio-1119006>
43. SCHROER J, CHERON C, SALVAGNI J, KOCH COLOMBY R. A POLÍTICA DE ASSISTÊNCIA FARMACOLÓGICA E OS CRITÉRIOS DO FORNECIMENTO JUDICIAL DE MEDICAMENTOS NO RIO GRANDE DO SUL. *O SOCIAL EM QUESTÃO*. 2022 Jan 4;4(52).
44. Rodrigues PHA, Costa RDF da, Kiss C. A evolução recente da indústria farmacêutica brasileira nos limites da subordinação econômica. *Physis: Revista de Saúde Coletiva*. 2018 May 24;28(1).
45. Dornelas CR de O, Pederiva JH. Decisões judiciais e representações orçamentárias: o caso das terceirizações. *Revista da CGU*. 2018 Aug 1;10(16):27.
46. Simonetti L. *La scienza in tribunale*. Fandango Libri. 2018.
47. Acosta Vinholes B, Thomasi Jahnke Botton L, Hirdes A. ASPECTOS POSITIVOS E NEGATIVOS DA JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE NO BRASIL. *RECIMA21 - Revista Científica Multidisciplinar - ISSN 2675-6218*. 2021 Aug 24;2(7):e27494.
48. Sulpino Vieira F. Judicialização e direito à saúde no Brasil: uma trajetória de encontros e desencontros. *Rev Saude Publica*. 2023;
49. Jacó de Carvalho A, Alberton L, Martins Dias Maragno L, de Almeida Costa C. Custos da judicialização da saúde no Brasil: Análise do Executivo e Judiciário [Internet]. 2021 [cited 2023 Oct 29]. Available from: https://anpcont.org.br/wp-content/uploads/2022/05/324_merged.pdf

50. Escola Nacional de Administração Pública - ENAP. Processo Legislativo Orçamentário [Internet]. Brasília ; 2021 [cited 2023 Nov 12]. Available from: <https://repositorio.enap.gov.br/bitstream/1/6309/4/M%C3%B3dulo%201%20-%20Caracter%C3%ADsticas%20do%20processo%20legislativo%20or%C3%A7ament%C3%A1rio.pdf>
51. Brasil, Ministério da Saúde, Fundação Oswaldo Cruz. Contas de saúde na perspectiva da contabilidade internacional : conta SHA para o Brasil, 2015 a 2019 [Internet]. Brasília; 2022 [cited 2023 Nov 17]. Available from: https://repositorio.ipea.gov.br/bitstream/11058/11014/4/Contas_de_saude.pdf
52. Almeida J de C, Gonçalves R de S, Nunes A. Qualidade do gasto e destinação orçamentária à saúde: uma análise na atenção primária em municípios brasileiros. *Revista Gestão & Saúde*. 2021;12(1).
53. Ferreira VEN, Lamarão Neto H, Teixeira EM de SF. A JUDICIALIZAÇÃO PELA DISPENSAÇÃO DE MEDICAMENTOS E A JURISPRUDÊNCIA DO SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. *REI - REVISTA ESTUDOS INSTITUCIONAIS*. 2020 Dec 30;6(3):1332–61.
54. Carvalho EC, Soares SSS, Farias SNP de, Andrade KBS de, Souza PHD de O, Branco VN, et al. JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE: RESERVA DO POSSÍVEL E MÍNIMO EXISTENCIAL. *Cogitare Enfermagem*. 2021 Nov 17;26.
55. Folha de São Paulo. “Não lido com o cofre”, diz ministra do STF sobre judicialização da saúde [Internet]. 2016 [cited 2023 Oct 29]. Available from: <https://www1.folha.uol.com.br/cotidiano/2016/11/1830051-nao-lido-com-o-cofre-diz-ministra-do-stf-sobre-judicializacao-da-saude.shtml>
56. KAZMIRCZUK BL da V, SANTOS DTG dos. ASPECTOS ACERCA DA JUDICIALIZAÇÃO DO DIREITO À SAÚDE [Internet]. 2018 [cited 2023 Oct 29]. Available from: [https://home.unicruz.edu.br/seminario/anais/anais-2018/XXIII%20SEMINARIO%20INTERINSTITUCIONAL/Ciencias%20Sociais%20e%20Humanidades/Mostra%20de%20Iniciacao%20Cientifica%20-%20RESUMO%20EXPANDIDO/ASPECTOS%20ACERCA%20DA%20JUDICIALIZACAO%20DO%20DIREITO%20A%20SAUDE%20\(7053\).pdf](https://home.unicruz.edu.br/seminario/anais/anais-2018/XXIII%20SEMINARIO%20INTERINSTITUCIONAL/Ciencias%20Sociais%20e%20Humanidades/Mostra%20de%20Iniciacao%20Cientifica%20-%20RESUMO%20EXPANDIDO/ASPECTOS%20ACERCA%20DA%20JUDICIALIZACAO%20DO%20DIREITO%20A%20SAUDE%20(7053).pdf)
57. Romero LC. JUDICIALIZAÇÃO DAS POLÍTICAS DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA: O CASO DO DISTRITO FEDERAL. Consultoria Legislativa do Senado Federal. 2008;
58. Ferreira Carneiro D. DIREITO À SAÚDE E JUDICIALIZAÇÃO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA. *Revista de Doutrina e Jurisprudência*. 2017;108(2):242–56.
59. Brasil. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) [Internet]. 2015 [cited 2023 Oct 31]. Available from: https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html
60. Pascarelli DBN, Pereira ÉL. Doenças raras no Congresso Nacional brasileiro: análise da atuação parlamentar. *Cad Saude Publica*. 2022;38(6).

61. Luz G dos S, Silva MRS da, DeMontigny F. Doenças raras: itinerário diagnóstico e terapêutico das famílias de pessoas afetadas. *Acta Paulista de Enfermagem*. 2015 Aug;28(5):395–400.
62. Iriart JAB, Nucci MF, Muniz TP, Viana GB, Aureliano W de A, Gibbon S. Da busca pelo diagnóstico às incertezas do tratamento: desafios do cuidado para as doenças genéticas raras no Brasil. *Cien Saude Colet*. 2019 Oct;24(10):3637–50.
63. Sokei M, Bulgareli J. Os Os desafios do acesso aos medicamentos para o tratamento das doenças raras. *JMPHC | Journal of Management & Primary Health Care | ISSN 2179-6750*. 2021 Mar 17;12(spec):1–2.
64. Blog Mendelics. Genética no tratamento de doenças raras [Internet]. 2023 [cited 2023 Oct 31]. Available from: <https://blog.mendelics.com.br/genetica-no-tratamento-de-doencas-raras/>
65. Piret CNS, De Oliveira Medeiros CR. Doenças Raras, Medicamentos Órfãos: reflexões sobre o Dark Side das organizações da indústria farmacêutica. *Revista Brasileira de Estudos Organizacionais*. 2018 Mar 30;4(2):437–60.
66. Renelo Puopolo G, Vilela Bulgareli J. Implementação de modelos de compartilhamento de risco (risk sharing) no acesso ao tratamento de doenças raras no brasil e no mundo. *JMPHC | Journal of Management & Primary Health Care | ISSN 2179-6750*. 2023 Aug 31;15(spec):e002.
67. ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. RESOLUÇÃO DA DIRETORIA COLEGIADA - RDC Nº 260, DE 21 DE DEZEMBRO DE 2018 [Internet]. 2018 [cited 2023 Nov 1]. Available from: https://antigo.anvisa.gov.br/documents/10181/2718376/RDC_260_2018_.pdf/dd889184-bd4a-40ea-ae1c-b93155b20ea1#:~:text=Disp%C3%B5e%20sobre%20as%20regras%20para,e%20IV%20aliado%20ao%20art.
68. ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. RESOLUÇÃO DE DIRETORIA COLEGIADA – RDC Nº 205, DE 28 DE DEZEMBRO DE 2017 [Internet]. 2017 [cited 2023 Nov 1]. Available from: https://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2017/rdc0205_28_12_2017.pdf
69. ANAHP - Associação Nacional de Hospitais Privados. O cenário das doenças raras no Brasil [Internet]. 2023 [cited 2023 Oct 31]. Available from: <https://www.anahp.com.br/saude-da-saude/o-cenario-das-doencas-raras-no-brasil/>
70. Lithealth. E-book doenças raras no SUS: Conheça melhor o SUS. É direito seu! [Internet]. 2022 [cited 2023 Oct 31]. Available from: <https://lithealth.com.br/wp-content/uploads/2022/02/doencas-raras.pdf>
71. Ministério da Saúde. Centros habilitados para tratamento [Internet]. 2022 [cited 2023 Oct 31]. Available from: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sgtes/educamunicacao-em-doencas-raras/centros-habilitados-para-tratamento-de-doencas-raras>

72. Botler J, Camacho LAB, Cruz MM da, George P. Triagem neonatal: o desafio de uma cobertura universal e efetiva. *Cien Saude Colet*. 2010 Mar;15(2):493–508.
73. Perígolo LB da T, Menezes RBS, Oliveira ICD, Veiga SB, Barbosa J de SP. A ampliação do teste do pezinho no Brasil e suas implicações relativas à triagem neonatal, detecção das doenças raras e anormalidades congênitas. *Revista Eletrônica Acervo Médico*. 2022 Sep 17;16:e10861.
74. de Holanda Mendonça R, Matsui C, Polido GJ, Serafim Silva AM, Kulikowski L, Dias AT, et al. Intragenic variants in the SMN1 gene determine the clinical phenotype in 5q spinal muscular atrophy. *Neurol Genet*. 2020;6(5).
75. Verhaart IEC, Robertson A, Wilson IJ, Aartsma-Rus A, Cameron S, Jones CC, et al. Prevalence, incidence and carrier frequency of 5q-linked spinal muscular atrophy – a literature review. *Orphanet J Rare Dis*. 2017 Dec 4;12(1):124.
76. ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Anvisa concede registro ao medicamento Spinraza [Internet]. 2017 [cited 2023 Sep 6]. Available from: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2017/anvisa-concede-registro-ao-medicamento-spinraza>
77. ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. EVRYSDI® (risdiplam): novo registro [Internet]. 2020 [cited 2023 Sep 6]. Available from: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/evrysdi-r-risdiplam-novo-registro>
78. ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Aprovado registro de produto de terapia gênica [Internet]. 2020 [cited 2023 Sep 6]. Available from: http://antigo.anvisa.gov.br/resultado-de-busca?p_p_id=101&p_p_lifecycle=0&p_p_state=maximized&p_p_mode=view&p_p_col_id=column-1&p_p_col_count=1&_101_struts_action=%2Fasset_publisher%2Fview_content&_101_assetEntryId=5989035&_101_type=content&_101_groupId=219201&_101_urlTitle=aprovado-registro-de-produto-de-terapia-genica&inheritRedirect=true
79. Prior TW, Leach ME, Finanger E, Adam MP, Mirzaa GM, Pagon RA. Spinal Muscular Atrophy [Internet]. Seattle; 2020 [cited 2023 Sep 10]. Available from: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/>
80. Oliveira Costa J, Pincela Da Costa CC, Soares De Lima N. Genes de sobrevivência do neurônio motor e a atrofia muscular espinhal 5q. Vol. 16, *Genética na Escola* |. 2021.
81. Pera MC, Coratti G, Berti B, D'Amico A, Sframeli M, Albamonte E, et al. Diagnostic journey in Spinal Muscular Atrophy: Is it still an odyssey? *PLoS One*. 2020;15(3).
82. Prufer de Queiroz Campos Araujo A, Giuliani A, Bonfim D, Loriato D, Zanotelli E, Braga F, et al. Guia de discussão sobre Atrofia Muscular Espinhal no Brasil: Trabalhando hoje para mudar o amanhã [Internet]. 2019 [cited 2023 Sep 29]. Available from: https://www.juntospelaame.com.br/content/dam/intl/latam/brazil/sma/patients/hubtogetherinsma/images/articles/Guia_Discussao_AME_Brasil.pdf

83. SMC - Scottish Medicines Consortium. Decision Explained - Medicine: onasemnogene abeparvovec (brand name: Zolgensma®) [Internet]. 2021. Available from: <http://www.ema.europa.eu>
84. CADTH - Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. CADTH COMMON DRUG REVIEW: ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC. 2021 Mar 24;
85. NICE - National Institute for Health and Care Excellence. Onasemnogene abeparvovec for treating spinal muscular atrophy Highly specialised technologies guidance [Internet]. 2021. Available from: www.nice.org.uk/guidance/hst15
86. Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência T e IE (SCTIE). PORTARIA SCTIE/MS Nº 172, DE 6 DE DEZEMBRO DE 2022. Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o onasemnogeno abeparvovec para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco. [Internet]. 2022 Dec [cited 2023 Sep 6]. Available from: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_portaria_sctie_ms_n172.pdf
87. Brasil. DECRETO Nº 11.391, DE 20 DE JANEIRO DE 2023 [Internet]. Altera o Decreto nº 11.358, de 1º de janeiro de 2023, que aprova a Estrutura Regimental e o Quadro Demonstrativo dos Cargos em Comissão e das Funções de Confiança do Ministério da Saúde. 2023. Available from: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2023-2026/2023/decreto/D11391.htm
88. De Almeida Costa C. Gastos com a Judicialização de Tecnologias de Saúde: Um Estudo Empírico no Executivo Federal do Brasil [Internet]. Florianópolis; 2022 Apr [cited 2023 Sep 26]. Available from: <https://repositorio.ufsc.br/bitstream/handle/123456789/235886/PGCG0014-D.pdf?sequence=-1&isAllowed=y>
89. Ministério da Saúde, Fundação Oswaldo Cruz, Instituto de Pesquisa Econômica Aplicada. Contas de saúde na perspectiva da contabilidade internacional : conta SHA para o Brasil, 2015 a 2019. Brasília; 2022.
90. Suzaine da Silva F, Prada Rodrigues JM, Nolasco de Brito R, Cardoso Macedo T, Delfino Borgmann A. Intervenção Fisioterapêutica na Atrofia Muscular Espinhal: revisão de literatura. Rev Neurocienc. 2021;29:1–22.
91. INAME - Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal. Comentários ao Relatório de Recomendação da CONITEC: “NUSINERSENA PARA TRATAMENTO DA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL 5q TIPO II E TIPO III (INÍCIO TARDIO)” [Internet]. 2020 [cited 2023 Sep 29]. Available from: <https://iname.org.br/wp-content/uploads/2021/03/UTF-8Contribuic%CC%A7a%CC%83o-INAME-Consulta-Pu%CC%81blica-Ame-Tipo-2-e-3-Dez-2020-1.pdf>
92. Strauss KA, Farrar MA, Muntoni F, Saito K, Mendell JR, Servais L, et al. Onasemnogene abeparvovec for presymptomatic infants with two copies of SMN2 at risk for spinal

- muscular atrophy type 1: the Phase III SPR1NT trial. *Nat Med*. 2022 Jul 17;28(7):1381–9.
93. Novartis. Phase I, Open-Label, Dose Comparison Study of AVXS-101 for Sitting But Non-ambulatory Patients With Spinal Muscular Atrophy (NCT03381729) [Internet]. 2017 [cited 2023 Sep 29]. Available from: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03381729>
 94. Novartis. Phase I Gene Transfer Clinical Trial for Spinal Muscular Atrophy Type 1 Delivering AVXS-101 (NCT02122952) [Internet]. Estados Unidos, Ohio; 2017 [cited 2023 Sep 29]. Available from: <https://classic.clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02122952>
 95. Day JW, Finkel RS, Chiriboga CA, Connolly AM, Crawford TO, Darras BT, et al. Onasemnogene abeparvovec gene therapy for symptomatic infantile-onset spinal muscular atrophy in patients with two copies of SMN2 (STRIVE): an open-label, single-arm, multicentre, phase 3 trial. *Lancet Neurol*. 2021 Apr;20(4):284–93.
 96. Mercuri E, Muntoni F, Baranello G, Masson R, Boespflug-Tanguy O, Bruno C, et al. Onasemnogene abeparvovec gene therapy for symptomatic infantile-onset spinal muscular atrophy type 1 (STRIVE-EU): an open-label, single-arm, multicentre, phase 3 trial. *Lancet Neurol*. 2021 Oct;20(10):832–41.
 97. Maria Prates Sales C, Cristina Brito Guzzo Soliani F, Cláudia Soncini Sanches A. Farmacoterapia da atrofia muscular espinhal Pharmacotherapy of spinal muscular atrophy. Vol. 40, *J Health Sci Inst*. 2022.
 98. Novartis. Phase 3, Open-Label, Single-Arm, Single-Dose Gene Replacement Therapy Clinical Trial for Patients With Spinal Muscular Atrophy Type 1 With One or Two SMN2 Copies Delivering AVXS-101 by Intravenous Infusion (NCT03837184) [Internet]. 2019 [cited 2023 Sep 29]. Available from: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03837184>
 99. ICER - Institute for Clinical and Economic Review. Spinraza® and Zolgensma® for Spinal Muscular Atrophy: Effectiveness and Value. Final Evidence Report [Internet]. 2019; 2019 Apr [cited 2023 Sep 29]. Available from: https://icer.org/wp-content/uploads/2020/10/ICER_SMA_Final_Evidence_Report_110220.pdf
 100. Baioni MTC, Ambiel CR. Spinal muscular atrophy: diagnosis, treatment and future prospects. *J Pediatr (Rio J)*. 2010 Aug 11;86(4):261–70.
 101. Roche, INAME. Retrato da AME no Brasil [Internet]. Um mapeamento com 144 respondentes revela o cenário desafiador de pessoas com atrofia muscular espinhal e seus cuidadores, do diagnóstico à assistência. E também aponta caminhos para superar essas barreiras. 2022 [cited 2023 Sep 29]. Available from: <https://assets.roche.com/f/173846/x/58ecc454a0/book-saude-ame-v2.pdf>
 102. Lin CW, Kalb SJ, Yeh WS. Delay in Diagnosis of Spinal Muscular Atrophy: A Systematic Literature Review. *Pediatr Neurol*. 2015 Oct;53(4):293–300.
 103. Riera R, Bagattini ÂM, Pachito D. Eficácia, segurança e aspectos regulatórios dos medicamentos órfãos para doenças raras: o caso Zolgensma®. *CADERNOS IBERO-AMERICANOS DE DIREITO SANITÁRIO*. 2019 Sep 24;8(3):48–59.

ANEXO

Anexo 1 – Comitê de Ética em Pesquisa (CEP)



PARECER CONSUBSTANCIADO DO CEP

DADOS DO PROJETO DE PESQUISA

Título da Pesquisa: Perfil da judicialização do medicamento Zolgensma® e seu impacto no âmbito do Sistema Único de Saúde

Pesquisador: Ana Katheryne Miranda Kretzschmar

Área Temática:

Versão: 2

CAAE: 69455923.0.0000.8093

Instituição Proponente: Faculdade de Ceilândia - FUNDAÇÃO UNIVERSIDADE DE BRASÍLIA

Patrocinador Principal: Financiamento Próprio

DADOS DO PARECER

Número do Parecer: 6.165.949

Apresentação do Projeto:

Título: "Perfil da judicialização do medicamento Zolgensma® e seu impacto no âmbito do Sistema Único de Saúde"

Resumo: Introdução: Não existe cura para a Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q, e atualmente existem três fármacos direcionados ao seu tratamento: Spinraza®, Everyd® e Zolgensma®. O Zolgensma® foi recentemente incorporado no SUS, sendo disponibilizado apenas para pacientes de até 6 meses de idade com AME tipo I que estejam fora de ventilação invasiva 16 horas ou mais por dia. Objetivos: Avaliar o perfil e o impacto da judicialização do medicamento Zolgensma® para tratamento de Atrofia Muscular Espinhal, no Sistema Único de Saúde. Métodos e Técnicas: Trata-se de Pesquisa documental, exploratória, de abordagem qualitativa e quantitativa, envolvendo os pacientes portadores de AME, com ações judiciais no âmbito do Ministério da Saúde. O banco de dados será obtido por meio da Lei de Acesso à Informação (LAI) submetida ao Departamento de Demandas Judiciais em Saúde - DJUD, do Ministério da Saúde. Resultados esperados: Conhecer o perfil dos pacientes portadores de AME que impetraram processos judiciais contra a União para acessar o Zolgensma®. Estima-se avaliar a frequência das decisões favoráveis ao autor e conhecer o embasamento adotado pelo judiciário (consideração das políticas públicas formuladas e das evidências publicadas). Em relação ao impacto, pretende-se realizar o levantamento dos valores empenhados para o tratamento da AME com base nos processos avaliados. Nenhuma pesquisa até

Endereço: UNB - Prédio da Unidade de Ensino e Docência (UED), Centro Metropolitano, conj. A, lote 01, Sala AT07/66
Bairro: CEILÂNDIA SUL (CEILÂNDIA) **CEP:** 72.220-900
UF: DF **Município:** BRASÍLIA
Telefone: (61)3107-8434 **E-mail:** cep.fce@gmail.com

FACULDADE DE CEILÂNDIA
DA UNIVERSIDADE DE
BRASÍLIA - UNB



Continuação do Parecer: 6.165.949

o momento avaliou o impacto da judicialização dos medicamentos para AME no âmbito do SUS."

JUSTIFICATIVA: "Muitos estudos demonstram que os benefícios da terapia de AME com o uso do medicamento Zolgensma®, possuem variáveis a se considerar: como a idade do início dos sintomas, a idade do paciente, o subtipo de AME, a necessidade de suporte ventilatório, dentre outros. Contudo, nenhuma pesquisa até o momento avaliou o perfil dos pacientes que judicializaram este medicamento no âmbito do SUS levando em consideração as orientações científicas para o seu uso racional."

"Desenho: Pesquisa documental, exploratória, de abordagem qualitativa e quantitativa, envolvendo os pacientes portadores de AME, com ações judiciais no âmbito do Ministério da Saúde."

Critério de Inclusão: "São elegíveis todos os pacientes portadores de AME que entraram com ação judicial contra o Ministério da Saúde para obtenção do medicamento Zolgensma ® no período de 2019 a 2022".

Critério de Exclusão: "Os critérios de exclusão são: i) pacientes com outras doenças, que não a AME; ii) pacientes com AME, mas que demandaram outros medicamentos, que não o Zolgensma ®; iii) ações judiciais impetradas em ano distinto do período de 2019-2022."

Objetivo da Pesquisa:

Geral: "Avaliar o perfil e o impacto da judicialização do medicamento Zolgensma® para tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME), no Sistema Único de Saúde"

Específicos:

- 1 - "Descrever o perfil demográfico e clínico dos pacientes com AME envolvidos nos processos analisados";
- 2 - "Identificar a terapia solicitada nos processos para o tratamento da AME, o que inclui conhecer os serviços de saúde que prescreveram o tratamento e os documentos médicos que embasam os processos";
- 3 - "Estimar o custo do cumprimento judicial para o medicamento solicitado"
- 4 - "Conhecer o perfil dos processos impetrados contra a União para o tratamento de AME".

Endereço: UNB - Prédio da Unidade de Ensino e Docência (UED), Centro Metropolitano, conj. A, lote 01, Sala AT07/66
Bairro: CEILÂNDIA SUL (CEILÂNDIA) **CEP:** 72.220-900
UF: DF **Município:** BRASÍLIA
Telefone: (61)3107-8434 **E-mail:** cep.fce@gmail.com

**FACULDADE DE CEILÂNDIA
DA UNIVERSIDADE DE
BRÁSÍLIA - UNB**



Continuação do Parecer: 6.165.949

Avaliação dos Riscos e Benefícios:

Risco: "O risco deste estudo é a possível perda de anonimato dos autores, e para que isso seja minimizado, não serão solicitados dados que possam identificar as pessoas como nome, cidade de origem e data de nascimento."

Benefícios: "Quanto aos benefícios, estes serão indiretos, pois poderá fomentar o desenvolvimento de políticas públicas que visem o acesso racional ao tratamento de forma que sejam mais eficazes e seguros para as crianças com AME."

Comentários e Considerações sobre a Pesquisa:

Trata-se de um projeto de pesquisa que vai envolver um estudo de mestrado e um trabalho de conclusão de curso apresentados ao PPGCTS e ao Curso de Farmácia, respectivamente, da FCE-UnB. A pesquisadora responsável é Ana Katheryne Miranda Kretzschmar (Autora); o orientador é o Prof. Dr. Everton Nunes. A Co-orientadora Profª Draª Dayani Galato e a aluna de TCC é Ellen Lorrany Ximenes Teixeira (Colaboradora).

Considerações sobre os Termos de apresentação obrigatória:

Conforme descrito na carta de requerimento de dispensa:

- "1- Esta pesquisa empregará apenas informações disponibilizadas por solicitação da Lei de Acesso à Informação (LAI);
- 2 - Todos os dados serão analisados de forma anônima, sem a identificação nominal dos participantes;
- 3 - Os resultados do estudo serão apresentados de forma agregada, não permitindo a identificação individual dos participantes."

Conforme descrito no projeto detalhado:

"Para a realização do estudo será solicitada a dispensa de aplicação do termo de consentimento livre e esclarecido, e tal solicitação se justifica pelo fato de várias crianças pela complexidade da doença terem evoluído a óbito e também pelo fato de que muitos processos não foram deferidos. Estas duas situações poderiam causar danos aos responsáveis pelas crianças na ocasião de um possível contato dos pesquisadores. Além disso, o contato com as famílias poderia quebrar o sigilo e identificar os autores, o que não é a intenção dos pesquisadores."

Recomendações:

Endereço: UNB - Prédio da Unidade de Ensino e Docência (UED), Centro Metropolitano, conj. A, lote 01, Sala AT07/66	
Bairro: CEILÂNDIA SUL (CEILÂNDIA)	CEP: 72.220-900
UF: DF	Município: BRASÍLIA
Telefone: (61)3107-8434	E-mail: cep.fce@gmail.com

**FACULDADE DE CEILÂNDIA
DA UNIVERSIDADE DE
BRASÍLIA - UNB**



Continuação do Parecer: 6.165.949

Não há.

Conclusões ou Pendências e Lista de Inadequações:

Todas as pendências foram atendidas.

Considerações Finais a critério do CEP:

Diante do exposto, o Comitê de Ética em Pesquisa – CEP, de acordo com as atribuições definidas na Resolução CNS n.º 466, de 2012, e na Norma Operacional n.º 001, de 2013, do CNS, manifesta-se pela aprovação do protocolo de pesquisa.

Este parecer foi elaborado baseado nos documentos abaixo relacionados:

Tipo Documento	Arquivo	Postagem	Autor	Situação
Informações Básicas do Projeto	PB_INFORMAÇÕES_BÁSICAS_DO_PROJETO_2085537.pdf	15/06/2023 12:54:57		Aceito
Recurso Anexado pelo Pesquisador	resposta_as_pendencias.pdf	15/06/2023 12:54:46	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Projeto Detalhado / Brochura Investigador	Projeto_de_Pesquisa.pdf	31/05/2023 15:20:38	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Cronograma	Cronograma.pdf	31/05/2023 15:18:25	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Outros	Curriculo_Everton.pdf	04/05/2023 13:16:06	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Outros	Curriculo_Ellen.pdf	04/05/2023 13:15:27	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Outros	Curriculo_Dayani.pdf	04/05/2023 13:14:59	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Outros	Curriculo_Ana.pdf	04/05/2023 13:14:07	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Folha de Rosto	Folha.pdf	04/05/2023 13:12:48	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Orçamento	orcamento.pdf	03/05/2023 19:45:21	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Declaração de concordância	Concordancia_Proponente.pdf	17/04/2023 12:35:11	Ana Katheryne Miranda	Aceito

Endereço: UNB - Prédio da Unidade de Ensino e Docência (UED), Centro Metropolitano, conj. A, lote 01, Sala AT07/66
Bairro: CEILÂNDIA SUL (CEILÂNDIA) **CEP:** 72.220-900
UF: DF **Município:** BRASÍLIA
Telefone: (61)3107-8434 **E-mail:** cep.fce@gmail.com

**FACULDADE DE CEILÂNDIA
DA UNIVERSIDADE DE
BRASÍLIA - UNB**



Continuação do Parecer: 6.165.949

Declaração de concordância	Concordancia_Proponente.pdf	17/04/2023 12:35:11	Kretzschmar	Aceito
Solicitação Assinada pelo Pesquisador Responsável	Termo_compromisso_e_responsabilidade.pdf	17/04/2023 12:33:39	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
TCLE / Termos de Assentimento / Justificativa de Ausência	Dispensa_TCL.pdf	17/04/2023 12:32:08	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito
Declaração de Pesquisadores	Carta_encaminhamento.pdf	17/04/2023 12:31:08	Ana Katheryne Miranda Kretzschmar	Aceito

Situação do Parecer:

Aprovado

Necessita Apreciação da CONEP:

Não

BRASILIA, 06 de Julho de 2023

**Assinado por:
MARIANA SODARIO CRUZ
(Coordenador(a))**

Endereço: UNB - Prédio da Unidade de Ensino e Docência (UED), Centro Metropolitano, conj. A, lote 01, Sala AT07/66
Bairro: CEILÂNDIA SUL (CEILÂNDIA) **CEP:** 72.220-900
UF: DF **Município:** BRASÍLIA
Telefone: (61)3107-8434 **E-mail:** cep.fce@gmail.com