

# ARQUIVO JURÍDICO

REVISTA JURÍDICA ELETRÔNICA DA UFPI



ISSN  
2317-918X

V. 11, N. 1  
JAN./JUN.  
2024

QUALIS  
B2

©PPGD/UFPI

Uma publicação do Programa de Pós-Graduação em Direito da UFPI. Todos os direitos reservados. Proibida a reprodução parcial ou total sem consentimento expresso dos editores. As opiniões emitidas nos artigos assinados são de total responsabilidade de seus autores.

Artigos para possível publicação devem ser encaminhados exclusivamente pelo portal de periódicos da UFPI (<https://revistas.ufpi.br>), com o prévio cadastramento do autor.

Dados Internacionais de Catalogação na Publicação (CIP)

Arquivo Jurídico – Revista Jurídica Eletrônica da Universidade Federal do Piauí / Programa de Pós-Graduação em Direito da UFPI, v. 1, n. 1 (jul./dez. 2011).  
Teresina: Programa de Pós-Graduação em Direito da UFPI, 2011-

Trimestral

ISSN: 2317-918X (versão digital)

1. Direito – periódicos. I. Programa de Pós-Graduação em Direito da UFPI.

## SOBRE A REVISTA

A Arquivo Jurídico – Revista Jurídica Eletrônica da Universidade Federal do Piauí, em circulação desde 2011, é o periódico acadêmico digital semestral do Programa de Pós-Graduação em Direito da UFPI, cujo objetivo é fomentar e difundir o intercâmbio de conhecimentos das áreas jurídicas e afins. Acesso eletrônico livre pelo portal <https://revistas.ufpi.br>. Avaliado no estrato B2 pela Qualis / CAPES (2020).

Solicita-se permuta.  
Pídese canje.  
On demande l'échange.  
Si richiede lo cambio.  
We ask for Exchange.  
Wir bitten um austausch.

**ARQUIVO JURÍDICO**  
Revista Jurídica Eletrônica da  
Universidade Federal do Piauí  
*Periódico acadêmico oficial do Programa de*  
*Pós-Graduação em Direito*  
Semestral  
ISSN 2317-918X  
<https://revistas.ufpi.br/>

# DOENÇAS RARAS E MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO: REPERCUSSÕES DA JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE SOBRE A POLÍTICA NACIONAL DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

RARE DISEASES AND HIGH-COST MEDICINES: REPERCUSSIONS OF HEALTH  
JUDICIALIZATION ON THE NATIONAL PHARMACEUTICAL ASSISTANCE POLICY

**Raul Lopes de Araújo Neto**

*Doutor pela Pontifícia Universidade Católica de São Paulo*

*Professor da Universidade Federal do Piauí*

*<http://lattes.cnpq.br/8629191788212794>*

**Jairo Victor Candeira Braga**

*Mestre pela Universidade Federal do Piauí*

*<http://lattes.cnpq.br/5768351794036389>*

**Resumo:** Esta pesquisa, de metodologia descritiva e exploratória, investiga a judicialização do direito à saúde no sistema de justiça brasileiro e suas repercussões sobre a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. Como se observa, os gastos com aquisição de insumos e medicamentos para atender demandas judiciais têm gerado uma significativa realocação de recursos no orçamento do Ministério da Saúde, comprometendo o desempenho de ações e serviços definidos em políticas públicas intersetoriais, o uso racional de medicamentos, bem como a organização do Sistema Único de Saúde (SUS). Em 2022, as despesas empenhadas com tecnologias, para cumprimento de decisões judiciais, representaram um impacto orçamentário de R\$ 640 milhões. Entre os sete medicamentos abrangidos pelas maiores aquisições, seis não estavam incorporados à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). Ao examinar o perfil dos sete princípios ativos, identificou-se que esses medicamentos são indicados para tratamento de pacientes com doenças congênitas raras, algumas delas sem equivalente terapêutico disponível no SUS. Partindo desse enfoque, a pesquisa teve por objetivo compreender os desafios à efetividade dos princípios da universalidade e da integralidade no campo da assistência farmacêutica, tendo em vista os aspectos

**Abstract:** This descriptive and exploratory research investigates the judicialization of health in the Brazilian justice system and its repercussions on the National Pharmaceutical Assistance Policy. As observed, the acquisition of supplies and medications to comply with judicial demands has generated a significant reallocation of resources in the Ministry of Health budget, compromising the performance of actions and services defined in intersectoral public policies, the rational use of medications, as well as the organization of the Unified Health System (SUS). In 2022, the expenses committed to technologies to comply with judicial decisions represented a budget impact of R\$ 640 million. Of the seven drugs covered by the largest purchases, six were not incorporated into the National List of Essential Medicines (RENAME) or any Clinical Protocol and Therapeutic Guidelines (PCDT). By examining the profile of the seven active pharmaceutical ingredients, we identified that these drugs are recommended for the treatment of patients with rare congenital diseases, many of them with no therapeutic equivalent available at SUS. Based on this approach, the research aimed to understand the challenges to the effectiveness of the principles of universality and integrality in the field of pharmaceutical assistance, given the dialogic aspects

dialógicos que afetam a formulação e a execução das políticas de saúde pública no Brasil. Os resultados sugerem que é preciso haver um equacionamento entre a tutela individual do direito à saúde e a razão custo-efetividade da tecnologia pleiteada, reforçando a cooperação entre os integrantes do sistema de justiça, os Núcleos de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NAT-Jus) e os Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS).

**Palavras-chave:** assistência farmacêutica; judicialização do direito à saúde; doenças raras; medicamentos de alto custo; Sistema Único de Saúde.

that affect the formulation and implementation of public health policies in Brazil. The results suggest that there needs to be an equation between the individual protection of the right to health and the cost-effectiveness ratio of the given technology, reinforcing cooperation between the justice system, the Technical Support Centres of the Judiciary (NAT-Jus) and the Health Technology Assessment Centres (NATS).

**Keywords:** pharmaceutical assistance; judicialization of the right to health; rare diseases; high cost drugs; Unified Health System.

*Submetido em 2 de abril de 2024. Aprovado em maio de 2024.*

# 1 INTRODUÇÃO

A Constituição da República de 1988 atribui fundamentalidade à saúde, direito social a todos assegurado e dever do Estado, compreendido na estrutura triádica do sistema de seguridade social (art. 194), tendo por referência a redução do risco de doença e de outros agravos, bem como o acesso universal e igualitário às ações e serviços de saúde para sua promoção, proteção e recuperação (art. 196). O enunciado constitucional alinha-se ao segundo princípio da Constituição da Organização Mundial da Saúde (OMS), que considera o benefício do mais alto padrão de saúde atingível um dos direitos fundamentais de todo ser humano, sem distinção de raça, religião, crença política ou condição socioeconômica<sup>1</sup>.

Visando à consolidação desse direito, a Constituição da República previu a criação de um sistema de saúde com acesso universal e gratuito, constituído pelo conjunto de ações e serviços de saúde, prestados por órgãos e instituições públicas das três esferas de governo e por serviços privados contratados ou conveniados. O Sistema Único de Saúde (SUS) é uma estratégia constitucional para a atenção e o cuidado à saúde da população brasileira, em todos os níveis de assistência, sendo organizado de forma regionalizada, hierarquizada e tripartite. De acordo com o art. 6º, inciso I, da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, o campo de atuação do SUS contempla a execução de ações de assistência terapêutica integral, inclusive farmacêutica, em todo o território.

Conforme definido na Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF), aprovada pela Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 338, de 06 de maio de 2004, a assistência farmacêutica tem como principais objetivos a ampliação do acesso aos medicamentos e seu uso racional, garantindo a qualidade, efetividade e segurança das tecnologias ofertadas pela rede pública de saúde, bem como o desenvolvimento de políticas setoriais e a melhoria da qualidade de vida da população. Constituem princípios norteadores da assistência farmacêutica a universalidade, a integralidade e a equidade, nos termos do art. 1º, I, da Resolução CNS nº 388/2004.

Apesar de reconhecer o direito fundamental à saúde, o Estado brasileiro ainda não reúne condições operacionais e financeiras para atender à crescente demanda por ações e serviços de interesse para a assistência farmacêutica<sup>2</sup>. Como se observa, os gastos com aquisição de medicamentos e insumos estratégicos voltados ao cumprimento de demandas judiciais têm gerado uma

---

<sup>1</sup> ORGANIZAÇÃO MUNDIAL DA SAÚDE. Constitution of the World Health Organization. In: ORGANIZAÇÃO MUNDIAL DA SAÚDE. Basic Documents: forty-ninth edition (including amendments adopted up to 31 May 2019). Genebra: 2020. Disponível em: [https://apps.who.int/gb/bd/pdf\\_files/BD\\_49th-en.pdf#page=6](https://apps.who.int/gb/bd/pdf_files/BD_49th-en.pdf#page=6)

<sup>2</sup> AITH, Fernando et al. Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. Revista de Direito Sanitário, São Paulo, v. 15, n. 1, p. 10-39, 2014.

significativa realocação de recursos orçamentários, no âmbito do Ministério da Saúde, comprometendo o desempenho de ações e serviços definidos em políticas públicas intersetoriais, o uso racional de medicamentos, bem como a organização do SUS. Em 2022, as despesas empenhadas com fármacos, para atender decisões do Poder Judiciário, representaram um impacto orçamentário de 640 milhões de reais no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)<sup>1</sup>.

Diante da expressiva demanda por substâncias não incorporadas à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), de que forma o sistema de justiça pode garantir a efetividade dos princípios da universalidade e da integralidade no campo da assistência farmacêutica? Esta pesquisa, de metodologia descritiva e exploratória, pretende investigar o impacto da judicialização da saúde sobre o financiamento dos serviços farmacêuticos do SUS. Trata-se de um estudo quali-quantitativo, baseado em revisão bibliográfica e levantamento documental. Para concepção do referencial teórico, foram selecionados artigos em língua portuguesa mediante busca nas plataformas SciELO e Google Acadêmico, utilizando os descritores “judicialização da saúde”, “assistência farmacêutica” e “medicamentos de alto custo”. Em seguida, foram obtidos dados relativos ao orçamento no Portal da Transparência e no relatório de gestão do Ministério da Saúde, bem como informações sobre o quantitativo financeiro despedido para cumprimento de sentenças judiciais, durante o exercício de 2022.

A fim de compreender as possíveis causas da judicialização, o estudo está centrado em três eixos. No primeiro, delinea-se o alcance da assistência farmacêutica como política de cuidado integral e continuado ao paciente. No segundo, apresenta-se o perfil terapêutico de sete medicamentos com elevado impacto financeiro no Ministério da Saúde, considerando as maiores aquisições por demanda judicial em 2022. Para avaliação dos princípios ativos e das respectivas linhas de cuidado a que se filiam, foi realizada consulta às bases de dados da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), à lista de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e aos relatórios da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do SUS (CONITEC).

Partindo dessa análise comparativa, o terceiro segmento discute os resultados obtidos, relacionando-os com outros estudos sobre a atuação do Judiciário na tutela individual do direito à saúde. Ressalta-se que os atos normativos e notas técnicas a serem trabalhados neste estudo foram elaborados no âmbito do Ministério da Saúde, dos Núcleos de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NAT-Jus) e dos Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS).

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de gestão 2022. [https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2022.pdf](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2022.pdf)

## 2 A ESTRUTURAÇÃO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA E O FLUXO DE INCORPORAÇÃO TECNOLÓGICA NO SUS

As ações e os serviços que compõem o Sistema Único de Saúde (SUS) encontram-se fundamentalmente regulados na Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. O art. 7º desta Lei Orgânica refere-se aos princípios e diretrizes aplicáveis aos macroprocessos desenvolvidos pelo SUS de forma tripartite, por meio da formulação e implementação de políticas públicas de saúde. Em particular, devem obedecer aos seguintes princípios: (i) universalidade de acesso aos serviços de saúde, e (ii) integralidade de assistência, englobando ações e serviços preventivos e curativos, individuais e coletivos, exigidos para cada caso clínico em todos os níveis de complexidade.

Considera-se assistência terapêutica integral, nos termos do art. 19-M (inserido pela Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011), a dispensação de medicamentos e insumos estratégicos para a saúde, cuja prescrição esteja em conformidade com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) definido para a doença ou o agravo à saúde a ser tratado, assim como a oferta de procedimentos terapêuticos, em regime domiciliar, ambulatorial e hospitalar, independentemente se a prestação ocorre por serviço próprio, conveniado ou contratado.

Nesse contexto, a Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 388, de 06 de maio de 2004, institui a Política Nacional de Assistência Farmacêutica, tendo o objetivo de garantir o acesso da população a medicamentos, promover o seu uso racional, distribuição, dispensação e qualidade. Pacientes da rede pública podem obter medicamentos adequados para suas condições clínicas por meio dos três Componentes da Assistência Farmacêutica: Básico, Estratégico e Especializado, ou, complementarmente, pelo Programa Farmácia Popular do Brasil (PFPPB). Cada um dos Componentes se especifica quanto à forma de organização e financiamento, critérios de acesso e elenco de medicamentos que constituem as linhas de cuidado no SUS<sup>1</sup>.

O Componente Básico (CBAF) é constituído por uma relação de medicamentos e insumos de aquisição descentralizada, sendo de responsabilidade dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios, e por uma relação de tecnologias financiadas e adquiridas diretamente pelo Ministério da Saúde, incluindo as insulinas humanas NPH 100 UI/ml e Regular 100 UI/ml, clindamicina 300 mg, rifampicina 300 mg e medicamentos do Programa Saúde da Mulher. Sua cobertura ambulatorial estende-se ao tratamento das principais doenças e agravos da população brasileira na Atenção Primária à Saúde (APS). Em 2022, houve repasse de R\$ 1.249.816.086,96 aos Fundos Estaduais e

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Componente Especializado da Assistência Farmacêutica. Brasília: Ministério da Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sectics/daf/ceaf>

Municipais de Saúde para aquisição descentralizada de unidades farmacêuticas desse Componente<sup>1</sup>.

Regulamentado por meio do Anexo XXVIII da Portaria de Consolidação nº 2, de 28 de setembro de 2017, e da Portaria nº 4.114, de 30 de dezembro de 2021, ambas do Ministério da Saúde, o Componente Estratégico (CESAF) promove o acesso a medicamentos contemplados em 27 programas estratégicos do SUS, relativos a doenças e agravos de perfil endêmico ou que acometem populações vulneráveis. Os 71 fármacos deste Componente são adquiridos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes gestores o recebimento, o armazenamento e a distribuição. Entre as linhas de cuidado do CESAF, destacam-se as de prevenção, diagnóstico, tratamento e controle da tuberculose, hanseníase, cólera, lúpus, leishmaniose, doença de Chagas, influenza, malária, meningite, Covid-19, sífilis, hepatites virais B e C, HIV e raiva humana<sup>2</sup>.

Com foco em doenças crônico-degenerativas, o Componente Especializado (CEAF) adquire, financia e dispensa 174 medicamentos em 335 apresentações farmacêuticas, sendo construído para aperfeiçoamento das linhas de cuidado já existentes ou para inclusão de novas doenças nos Protocolos Clínicos. Abrange um grupo de medicamentos centralizados, sob a responsabilidade financeira exclusiva do Ministério da Saúde, um grupo cujo financiamento e aquisição competem às Secretarias de Saúde dos Estados e do Distrito Federal, e um grupo gerido de forma comum pelas Secretarias de Saúde do Distrito Federal e dos Municípios<sup>3</sup>.

O elenco de medicamentos padronizados nos três Componentes obedece à Classificação Anatômica Terapêutica Química (*Anatomical Therapeutic Chemical Classification System – ATC*), conforme descrito nos Anexos da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), uma publicação bianual do Ministério da Saúde, que contempla as tecnologias em saúde oferecidas em todos os níveis de atenção e nas linhas de cuidado do SUS. Considerando o que estabelece o art. 2º, VII, da Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 338/2004, a RENAME tem por escopo regulamentar o princípio da integralidade, constituindo um dos eixos estratégicos da Política Nacional de Assistência Farmacêutica. Deve ser atualizada periodicamente a fim de assegurar a seleção de tecnologias efetivas e seguras, como instrumento para

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de gestão 2022.

[https://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2022.pdf](https://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2022.pdf)

<sup>2</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica. Brasília: Ministério da Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sectics/daf/cesaf>

<sup>3</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Componente Especializado da Assistência Farmacêutica: Grupos de Medicamentos. Brasília: Ministério da Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica. Disponível em <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sectics/daf/ceaf/grupos-de-medicamentos>

promoção do uso racional de medicamentos e orientação das políticas públicas setoriais<sup>1</sup>.

Como visto, o fornecimento de fármacos e insumos padronizados condiciona-se à observância de parâmetros definidos em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Os PCDT são documentos técnico-científicos de abrangência nacional, elaborados pelo Ministério da Saúde com base em avaliação técnica de seus departamentos e rigorosos parâmetros de qualidade e precisão. Estabelecem condutas diagnósticas e terapêuticas, critérios de inclusão e exclusão de pacientes, tratamentos disponíveis e mecanismos de regulação, controle e avaliação, relativos a doenças ou agravos em saúde<sup>2</sup>. Nos termos do art. 4º, II, do Decreto n.º 7.646, de 21 de dezembro de 2011, e do art. 19-Q da Lei n.º 8.080/1990, compete à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), órgão colegiado de caráter permanente, a responsabilidade de propor a atualização da RENAME.

Assistida pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS), a CONITEC também assessora o Ministério da Saúde nas atribuições relativas ao fluxo de incorporação, exclusão ou alteração tecnológica no SUS. A estrutura da CONITEC é composta por uma Secretaria-Executiva e três comitês temáticos (Medicamentos, Produtos e Procedimentos, Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas). Todas as recomendações emitidas pelos Comitês são precedidas de processo administrativo, no qual se deve apresentar número e validade do registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), evidências científicas sobre a eficácia, efetividade e segurança da tecnologia, bem como estudo de avaliação econômica comparativa de custos e benefícios em relação aos tratamentos já incorporados no SUS.

Em análise de impacto orçamentário (AIO), as estimativas adotadas pela CONITEC consideram os recursos financeiros necessários para viabilizar a incorporação de uso da tecnologia, tendo em referência um horizonte temporal de cinco anos. Posteriormente, a recomendação segue para consulta pública pelo prazo de vinte dias, retorna ao Comitê para avaliação e deliberação final, sendo enfim remetida ao Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde, responsável por publicar a portaria decisória<sup>3</sup>.

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais 2022 [recurso eletrônico]. Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Brasília: Ministério da Saúde, 2022. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sectics/daf/renome/20210367-renome-2022\\_final.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sectics/daf/renome/20210367-renome-2022_final.pdf)

<sup>2</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Brasília: Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC, maio 2023. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>

<sup>3</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Conheça a CONITEC. Brasília: Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC, abr. 2023. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/a-comissao/conheca-a-conitec>

Nesse contexto, o orçamento autorizado para a saúde em 2023 foi de 179,89 bilhões de reais. Segundo dados da Controladoria-Geral da União, a Assistência Farmacêutica no SUS figura entre os cinco programas orçamentários com maior aplicação de recursos, respondendo por 9,11% do orçamento em 2023. Integram as despesas da Assistência Farmacêutica: disponibilização de medicamentos do componente especializado (44,68%), atendimento à população para prevenção, controle e tratamento de HIV/AIDS, outras infecções sexualmente transmissíveis e hepatites virais (15,35%), manutenção e funcionamento do Programa Farmácia Popular do Brasil pelo sistema de gratuidade (11,78%), promoção da assistência farmacêutica e insumos estratégicos na atenção básica em saúde (11,96%), atenção aos pacientes portadores de doenças hematológicas (11,78%), entre outros programas (6,69%)<sup>1</sup>.

### **3 AVALIAÇÃO DE IMPACTO ORÇAMENTÁRIO DA JUDICIALIZAÇÃO DO DIREITO À SAÚDE SOBRE A ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA**

Ao longo da última década, os aspectos fundamentais que constituem a judicialização da saúde foram amplamente explorados por estudos no campo do direito e das políticas públicas. Em resumo, o conceito compreende o acionamento do Poder Judiciário para efetivação do direito à saúde, de forma individual ou coletiva, por aqueles que não têm acesso a alguma tecnologia na área de saúde ou encontram dificuldades de obtê-la por outras vias<sup>2</sup>. Grande parte da literatura jurídica opõe-se à judicialização da saúde pública, sendo oportuno aceder brevemente aos pontos centrais da crítica.

De início, sustenta-se que ações judiciais impactam negativamente o acesso aos medicamentos incorporados em normativos do SUS<sup>3</sup>. Ao proferirem decisões para obrigar o Estado a fornecer medicamentos não abrangidos pelos Componentes da Assistência Farmacêutica, sobretudo em sede de cognição sumária, os magistrados desconsideram análises de impacto orçamentário (AIO) e a legislação do SUS. Em 2019, as ações judiciais consumiram 25,2% dos recursos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, sendo 21% para apenas 10 medicamentos<sup>4</sup>. Despesas com demandas judiciais realocam recursos destinados ao financiamento dos fármacos previstos nas

---

<sup>1</sup> CONTROLADORIA-GERAL DA UNIÃO. Portal da Transparência, Despesas, Áreas de Atuação (Funções) do Governo, Função Específica: Saúde. Disponível em: <https://portaldatransparencia.gov.br/funcoes/10-saude?ano=2023>

<sup>2</sup> ALVES, Alba da Cunha; SILVA, Thalita Oliveira da. Judicialização da saúde no acesso a medicamentos no SUS em uma Secretaria Estadual da Saúde. Revista baiana de Saúde Pública, v. 43, jan./mar. 2019, p. 45-56.

<sup>3</sup> VIEIRA, Fabíola Sulpino. Judicialização e direito à saúde no Brasil: uma trajetória de encontros e desencontros. Revista de Saúde Pública, São Paulo, v. 57, n. 1, fev.2023, p. 1-10.

<sup>4</sup> VIEIRA, Fabíola Sulpino. Judicialização e direito à saúde no Brasil: uma trajetória de encontros e desencontros. Revista de Saúde Pública, São Paulo, v. 57, n. 1, fev.2023, p. 1-10.

políticas públicas e, com isso, restam menos recursos para financiar a oferta de insumos para toda a população, comprometendo a sustentabilidade institucional e o acesso equitativo às tecnologias do SUS.

Em segundo lugar, argumenta-se que a tutela individual do direito à saúde é feita por intermédio de um processo de tomada de decisão muito menos sofisticado, transparente e democrático que o da CONITEC<sup>1</sup>. A capacidade institucional dos magistrados, leigos em matéria terapêutica e de saúde pública, não segue a metodologia dos três Comitês deliberativos. E, por fim, a terceira crítica sustenta que a judicialização do direito à saúde privilegia grupos econômicos com maior poder de reivindicação perante o Judiciário, prejudicando a efetividade do direito à saúde dos menos favorecidos<sup>2</sup>. Carlos Portugal Gouvêa, catedrático de Direito Comercial da Universidade de São Paulo (USP), intitula esse fenômeno de *direitos sociais contra os pobres*<sup>3</sup>, e sua tem sido uma das críticas mais contundentes à judicialização da saúde.

De acordo com o Painel de Estatísticas Processuais de Direito da Saúde<sup>4</sup>, ferramenta desenvolvida pelo Conselho Nacional de Justiça (CNJ) a partir da Base Nacional de Dados do Poder Judiciário (DataJud), mais de 523 mil processos judiciais referentes à saúde tramitam na Justiça brasileira. Em 2023, já foram ajuizadas mais de 18 mil novas ações de saúde pública e 14 mil de saúde suplementar. Dentre essas demandas, 7.945 referem-se ao fornecimento de medicamentos.

Na estrutura organizacional do Ministério da Saúde, todos os processos de aquisição de medicamentos e demais insumos estratégicos ocorrem no âmbito do Departamento de Logística em Saúde (DLOG), com base nas demandas apresentadas pelas secretarias finalísticas, sendo posteriormente consolidadas no Plano Anual de Contratações (PAC). Em cumprimento a sentenças judiciais, o DLOG realiza, por meio de processo licitatório ou compra direta, a aquisição de medicamentos e/ou outros insumos centralizados, incluindo produtos raros, de alto custo e não disponíveis no mercado interno. Para fins de dimensionamento da repercussão orçamentária, observa-se que o montante de recursos empenhados, em 2022, com unidades farmacêuticas do Componente Especializado (CEAF) correspondeu a R\$

---

<sup>1</sup> WANG, Daniel Wei Liang. Revisitando dados e argumentos no debate sobre judicialização da saúde. *Revista Estudos Institucionais*, v. 7, n. 2, p. 849-869, maio/ago. 2021.

<sup>2</sup> ARAÚJO DINIZ, M. G. Direito Social em favor dos pobres: perspectivas da adoção de meios alternativos de solução de controvérsias nos conflitos de direito à saúde. *Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário*, /S. I., v. 2, n. 2, p. 472-485, 2013.

<sup>3</sup> PORTUGAL GOUVÊA, Carlos. Social Rights Against the Poor. *Vienna Journal on International Constitutional Law*, v. 7, n. 4, 2013, p. 454-475.

<sup>4</sup> CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. Painel de Estatísticas Processuais de Direito à Saúde. Disponível em: <https://paineisanalytics.cnj.jus.br/single/?appid=a6dfbee4-bcad-4861-98ea-4b5183e29247&sheet=87ff247a-22e0-4a66-ac83-24fa5d92175a&opt=ctxmenu,currsel>

6.010.586.719,69, ao passo que foram contratados cerca de 640 milhões de reais para aquisição de medicamentos por demanda do Poder Judiciário<sup>1</sup>.

Como forma de compreender as possíveis causas de judicialização na Assistência Farmacêutica, realizou-se uma análise dos sete medicamentos relacionados às maiores contratações por demandas judiciais, no âmbito do Ministério da Saúde, em 2022 (representados na Figura 1). As fontes de informação incluíram: (i) a bula do medicamento, disponível para consulta pública no site da ANVISA; (ii) o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da doença, se existente; (iii) notas técnicas elaboradas por Núcleos de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NAT-Jus) e Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS); (iv) Relatório de recomendação da CONITEC, quando publicado; e (v) literatura científica especializada. Os resultados serão discutidos na terceira parte do estudo.

**Figura 1:** Dez maiores aquisições de medicamentos destinados a atender demandas judiciais, no âmbito do Ministério da Saúde (2022).

Aquisições (insumos) por demandas judiciais, dez maiores		
ID		VALOR (R\$)
1	ECULIZUMABE, CONCENTRAÇÃO:10 MG/ML, FORMA FARMACÊUTICA:SOLUÇÃO INJETÁVEL	126.337.566,18
2	METRELEPTINA, CONCENTRAÇÃO:11,3 MG, FORMA FARMACÊUTICA:PÓ LIÓFILO P/ INJETÁVEL	43.631.028,90
3	ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC-XIOI, CONCENTRAÇÃO:2.0 X 10 <sup>13</sup> VG/ML, FORMA FARMACÊUTICA:SUSPENSÃO INJETÁVEL	39.533.316,55
4	NOTERSENA, COMPOSIÇÃO:NONADECASSÓDICA, CONCENTRAÇÃO:200 MG/ML, FORMA FARMACÊUTICA:SOLUÇÃO INJETÁVEL	31.228.643,04
5	ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC-XIOI, CONCENTRAÇÃO:2.0 X 10 <sup>13</sup> VG/ML, FORMA FARMACÊUTICA:SUSPENSÃO INJETÁVEL	28.238.083,25
6	SEBELIPASE, COMPOSIÇÃO:ALFA, CONCENTRAÇÃO:2 MG/ML, FORMA FARMACÊUTICA:SOLUÇÃO INJETÁVEL	27.480.902,32
7	ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC-XIOI, CONCENTRAÇÃO:2.0 X 10 <sup>13</sup> VG/ML, FORMA FARMACÊUTICA:SUSPENSÃO INJETÁVEL	22.590.466,60
8	ELEXACAFITOR, COMPOSIÇÃO:ASSOCIADO AO TEZACAFITOR E IVACAFITOR, CONCENTRAÇÃO:100 MG + 50 MG + 75 MG	22.194.642,12
9	ETEPLIRSEN, CONCENTRAÇÃO:50 MG/ML, FORMA FARMACÊUTICA:SOLUÇÃO INJETÁVEL	21.688.154,28
10	ELEXACAFITOR, COMPOSIÇÃO:ASSOCIADO AO TEZACAFITOR E IVACAFITOR, CONCENTRAÇÃO:100 MG + 50 MG + 75 MG	21.520.975,40
<b>Total Geral</b>		<b>384.443.779,64</b>

Fonte: MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de Gestão 2022. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2022.pdf](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2022.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de gestão 2022. [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2022.pdf](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2022.pdf)

### 3.1 Eculizumabe (Nome comercial: Soliris)

Eculizumabe é um anticorpo monoclonal indicado para tratamento de pacientes com diagnóstico de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (CID-10 D59.5), uma doença rara que atinge as células-tronco hematopoiéticas, com incidência anual estimada de 1,3 novos casos por um milhão de indivíduos. A HPN é causada por um defeito genético adquirido no gene da fosfatidilinositolglicana classe-A (PIG-A), localizado no cromossomo X das células-tronco hematopoiéticas. Mutações inibem ou bloqueiam precocemente a síntese do fosfolípido glicosilfosfatidilinositol (GPI), responsável pela ancoragem de proteínas à superfície celular, e se manifestam clinicamente como hemólise intravascular crônica, dor abdominal, dor torácica, fadiga grave, espasmo esofágico, impotência sexual masculina e aumento do risco de eventos tromboembólicos<sup>1</sup>.

De acordo com as Diretrizes Terapêuticas da HPN, pacientes em idade e condições clínicas compatíveis e com fatores de risco para pior evolução da doença atendem aos critérios de inclusão para o Transplante Alogênico de Células-Tronco Hematopoiéticas (TCTH-AL), único tratamento curativo existente. Há intervenções medicamentosas e não medicamentosas que podem reduzir a hemólise intravascular e suas complicações associadas, repercutindo na qualidade de vida do paciente, tais como corticoides, androgênios, transfusão sanguínea, imunossuppressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina) e anticoagulantes.

No fluxograma de tratamento da HPN, a conduta terapêutica inicial consiste na prescrição de Eculizumabe, administrado por profissionais de saúde em centros de referência e sob a supervisão de um médico ou médica com experiência no acompanhamento de pacientes com doenças hematológicas e/ou renais. O medicamento possui registro na ANVISA (nº 198110001) e está incluído no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Anexo III da RENAME 2022, por disposição da Portaria do Ministério da Saúde nº 77, de 14 de dezembro de 2018). Em agosto de 2021, o Plenário da CONITEC deliberou por unanimidade recomendar a não exclusão do eculizumabe para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna<sup>2</sup>.

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas: Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt\\_hpnpdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt_hpnpdf)

<sup>2</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de recomendação nº 659: Exclusão do eculizumabe para tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Brasília: Ministério da Saúde, 2021. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210909\\_relatorio\\_eculizumabe\\_hpnpdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210909_relatorio_eculizumabe_hpnpdf)

### 3.2 Metreleptina (Nome comercial: Myalept)

Fornecida em frasco-ampola, a metreleptina é um análogo recombinante da leptina humana, hormônio responsável pela homeostase energética e pela modulação do comportamento alimentar. Apesar de haver medicamentos para controle das comorbidades a curto e longo prazo, a metreleptina é a única tecnologia indicada especificamente para o tratamento medicamentoso da Lipodistrofia Congênita Generalizada (Síndrome de Berardinelli-Seip, CID-10 E88.1), um transtorno autossômico recessivo resultante de mutações nos genes AGPAT2, BSCL2, CAV1 ou PTRF, com prevalência estimada de 1 em cada 10 milhões de nascimentos<sup>1</sup>.

Segundo Nota Técnica do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da USP (NATS-HCFMUSP), a lipodistrofia é uma doença progressiva e incurável, com risco de vida para o paciente, caracterizada pela redução extrema da quantidade de tecido adiposo, sem evidência de privação nutricional<sup>2</sup>. Os sinais clínicos derivam da baixa concentração plasmática de leptina, provocando resistência à insulina, armazenamento ectópico de lipídios no fígado, hiperglicemia, hipertrigliceridemia, síndrome do ovário policístico (SOP) e esteatose hepática. Essas complicações metabólicas podem evoluir para diabetes mellitus, pancreatite aguda e cirrose hepática.

Atualmente, não existe estratégia de cuidado medicamentoso no SUS para tratar a doença, apenas mudanças no estilo de vida, exercícios físicos, dieta com baixo teor de gordura e controle das comorbidades metabólicas, devendo seguir as diretrizes nacionais no tratamento de diabetes, dislipidemia, hipertensão e doença renal e hepática<sup>3</sup>. Em março de 2023, a ANVISA emitiu o registro do medicamento Myalept como terapia de reposição de leptina em pacientes adultos e pediátricos com idade igual ou superior a dois anos<sup>4</sup>, mas a tecnologia ainda não foi incorporada ao SUS.

---

<sup>1</sup> LIMA-MARTINEZ, Marcos M. Metreleptina: Tratamiento para las complicaciones metabólicas de la lipodistrofia generalizada. *Rev Venez Endocrinol Metab* 2016; v. 14, n. 1, pp. 16-28. Disponível em: <http://ve.scielo.org/pdf/rvdem/v14n1/art03.pdf>

<sup>2</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Nota Técnica: Metreleptina. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo - NATS-HCFMUSP. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20221220\\_nt\\_metreleptina.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20221220_nt_metreleptina.pdf)

<sup>3</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Nota Técnica: Metreleptina. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo - NATS-HCFMUSP. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20221220\\_nt\\_metreleptina.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20221220_nt_metreleptina.pdf)

<sup>4</sup> AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. Bulário Myalept (metreleptina), AMRYT BRASIL COMERCIO E IMPORTAÇÃO DE MEDICAMENTOS LTDA, pó liofilizado para solução injetável, 3,0 mg, 5,8 mg e 11,3 mg. 2023. Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=175040002>

### 3.3 Onasemnogeno Abeparvoveque (Nome comercial: Zolgensma)

Zolgensma é uma terapia gênica baseada em vetor viral adeno-associado sintético, usada para tratamento de pacientes pediátricos abaixo de dois anos de idade com Atrofia Muscular Espinhal tipo 1 (CID10: G12.0), uma doença neuromuscular autossômica recessiva, rara e grave, causada por mutações bialélicas no gene que codifica a proteína de sobrevivência do neurônio motor, localizado na região 5q11.2-13.3 do cromossomo 5. A doença provoca degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e no tronco encefálico, possuindo incidência mundial aproximada de 12 entre 100.000 pessoas<sup>1</sup>. Pacientes com AME tipo 1, forma mais grave da doença, têm alta probabilidade de não sobreviver à primeira infância devido à insuficiência respiratória.

No âmbito do SUS, os fármacos Nusinersena (Spiranza) e Risdiplam são as alternativas medicamentosas disponíveis. Ambos modulam a decodificação e a transcrição do DNA, conforme preconiza o Protocolo Clínico da AME 5q tipos 1 e 2<sup>2</sup>. Entretanto, nos casos de eventos adversos graves ou de ausência de efetividade do tratamento com Nusinersena e Risdiplam, o Zolgensma pode ser a única opção terapêutica elegível. Essa tecnologia foi elaborada com a proposta de ser uma terapêutica curativa definitiva para AME 5q. Consiste em um vetor de adenovírus geneticamente modificado (AAV9), recombinante autocomplementar, que atua inserindo uma codificação transgênica correta da proteína SMN no núcleo celular do neurônio motor. O custo da dose única de Zolgensma corresponde a 2,125 milhões de dólares, representando aproximadamente R\$ 10.625.000,00 (cotação do dólar em 29 de maio de 2023 – 1 dólar americano igual a 5,00 reais brasileiros)<sup>3</sup>.

Registrado na ANVISA desde agosto de 2020 (nº 100681174), o onasemnogeno abeparvoveque foi incorporado ao SUS por intermédio da Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro de 2022, para o tratamento de pacientes pediátricos até seis meses de idade com AME 5q do tipo I, não submetidos ao uso de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. Nos termos do Relatório de Recomendação nº 793, a CONITEC considerou adequada a análise de custo-efetividade da terapia, resultando em menor custo em relação aos seus comparadores (terapia de suporte, nusinersena e risdiplam), ao longo do tempo. Além disso, foi deliberado que a evidência clínica disponível sugere

<sup>1</sup> AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. Bulário Zolgensma (onasemnogeno abeparvoveque), Novartis Biociências S.A., suspensão injetável 2,0 x 10<sup>13</sup> GV/ML, Bula profissional. Disponível em: [file:///C:/Users/WIN%207/Downloads/bula\\_1685224553653.pdf](file:///C:/Users/WIN%207/Downloads/bula_1685224553653.pdf)

<sup>2</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Protocolo Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: Atrofia muscular espinhal 5q tipos 1 e 2. Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Brasília: Ministério da Saúde, maio 2023. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912\\_PCDT\\_AME\\_CP\\_57.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912_PCDT_AME_CP_57.pdf)

<sup>3</sup> NÚCLEO DE APOIO TÉCNICO AO JUDICIÁRIO – NATJUS/DF. Nota Técnica: Zolgensma (Onasemnogene Abeparvovec-XIOI)/Atrofia muscular espinhal tipo 1. Tribunal de Justiça do Distrito Federal e Territórios. Disponível em: <https://www.tjdft.jus.br/informacoes/notas-laudos-e-pareceres/natjus-df/1145.pdf>

sucesso do tratamento em pacientes de até seis meses de idade, que estejam fora de ventilação invasiva permanente. Com isso, o medicamento encontra-se incorporado aos normativos do SUS<sup>1</sup>.

### 3.4 Inotersena Nonadecassódica (Nome comercial: Tegsedí)

A Inotersena, princípio ativo do Tegsedí, é um inibidor oligonucleotídico *antisense* fosforotioato da transtirretina (TTR) molecular alvo, utilizado para tratamento de Polineuropatia Amiloidótica Familiar relacionada à transtirretina (PAF-TTR, CID-10 E85.1), em paciente adultos em estágio 2, ou pacientes não respondedores a Tafamidis Meglumina. A PAF-TTR consiste em uma doença rara, multissistêmica, progressiva e potencialmente fatal, causada por mutações no gene TTR. Essas mutações desencadeiam a produção da proteína TTR em conformação instável, formando fibrilas de amiloides que se depositam no interstício tecidual de diversos órgãos<sup>2</sup>.

A sintomatologia sugestiva de polineuropatia compreende o declínio na capacidade funcional e motora, hipertrofia cardíaca, arritmia, alterações na motilidade gastrointestinal, emagrecimento constante, anormalidades renais e opacidades do cristalino e do vítreo. Na elaboração das diretrizes terapêuticas vigentes, aprovadas em outubro de 2018, a CONITEC recomendou a prescrição de tratamento farmacológico com Tafamidis Meglumina, bem como o transplante hepático no intuito de prevenir a formação de depósitos amiloides adicionais<sup>3</sup>.

Prescritores indicam Inotersena Nonadecassódica para pacientes não atendidos pelas terapias disponíveis no SUS, por reduzir níveis de mRNA TTR hepático, retardar a progressão da doença e melhorar a qualidade de vida. O medicamento tem registro sanitário pela ANVISA (nº 157700002). Contudo, em 10 de maio de 2023, foi tornada pública a decisão da CONITEC de não incorporá-la. Para essa decisão, o Comitê de Medicamentos considerou o alto custo da tecnologia em relação ao efeito obtido, a falta de dados precisos sobre prevalência de PAF-TTR no Brasil e a restrição orçamentária no SUS<sup>4</sup>.

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de Recomendação Medicamento nº 793: Onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME). Brasília: Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, dez. 2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207\\_relatorio\\_zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_793\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf)

<sup>2</sup> PEREIRA, Ana Carolina Padula Ribeiro et al. Condutas clínicas e barreiras no tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar associada à transtirretina (PAF-TTR) no Brasil. *Jornal Brasileiro de Economia da Saúde*, v. 13, n. 1, ago.2021, pp. 128-135. Disponível em: <https://jbes.com.br/images/v13n2/128.pdf>

<sup>3</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Portaria Conjunta nº 22, de 2 de outubro de 2018: aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar. Brasília: Ministério da Saúde, out. 2019. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2018/pcdt\\_polineuropatia\\_amiloidotica\\_familiar\\_2018.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2018/pcdt_polineuropatia_amiloidotica_familiar_2018.pdf)

<sup>4</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de Recomendação Medicamento nº 799: Inotersena para o tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à transtirretina em pacientes adultos não atendidos pela terapia com estabilizadores da proteína TTR no SUS. Brasília: Ministério da Saúde, Comissão

### 3.5 Alfassebelipase (Nome comercial: Kanuma)

Alfassebelipase é uma terapia de reposição enzimática prolongada em pacientes com deficiência de lipase ácida lisossomal (LAL-D), doença autossômica recessiva provocada por uma mutação no gene LIPA, codificador da enzima lipase A. O defeito genético estimula o acúmulo lisossomal de ésteres do colesterol e triglicérides em tecidos e órgãos, provocando hepatomegalia, lesão crônica do fígado, esplenomegalia, anemia, trombocitopenia, falha no crescimento e risco aumentado de doença cardiovascular e aterosclerose. Sintomas clínicos decorrentes da deficiência de LAL são tipicamente fatais nos primeiros seis meses de vida. Se, entretanto, a manifestação inicial ocorrer em indivíduos adultos, sua progressão normalmente resultará em cirrose, complicações de doença hepática em fase terminal e dislipidemia grave<sup>1</sup>.

Até a data de encerramento desta pesquisa, a CONITEC não havia publicado PCDT para a LAL-D, sendo essa a causa provável da judicialização do medicamento Kanuma (registro ANVISA nº 198110003), uma vez que o Ministério da Saúde não padroniza condutas para diagnóstico e tratamento dos indivíduos com essa doença. A Alfassebelipase, substância ativa do Kanuma, age substituindo a atividade da enzima LAL e conduz a reduções do teor de gordura no fígado, do colesterol de lipoproteínas de baixa densidade (LDL), das triglicérides e lesões hepáticas<sup>2</sup>.

### 3.6 Eteplirsén

Eteplirsén é um oligômero Morfolino Fosforodiamidato de 30 nucleotídeos, associado ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD, CID-10 G71.0). Mutações no gene codificador da proteína distrofina, o mais longo gene em seres humanos, com 79 exons, causam um distúrbio neuromuscular incurável e fatal, que afeta aproximadamente um em cada 3.500 – 5.000 nascimentos do sexo masculino. Meninos acometidos por DMD sofrem de deterioração muscular progressiva e perdem a capacidade de locomoção aos 12 anos de idade. Em quadros mais avançados, complicações cardiorrespiratórias podem provocar a morte<sup>3</sup>.

---

Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, mar. 2023. Disponível em:

[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230511\\_relatorio\\_799\\_inotersena\\_paftr.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230511_relatorio_799_inotersena_paftr.pdf)

<sup>1</sup> BURTON, Barbara K. et al. Sebelipase alfa in children and adults with lysosomal acid lipase deficiency:

Final results of the ARISE study. *Journal of Hepatology*, v. 76, n. 3, mar./2022, pp. 577-587. Disponível em:

<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0168827821021711>

<sup>2</sup> AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. Bula do profissional de saúde: Kanuma alfassebelipase, Alexion Serviços e Farmacêutica do Brasil Ltda, solução para Diluição para Infusão 20 mg (2mg/ml). Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Kanuma>

<sup>3</sup> LIM, Kenji Rowel Q; MARUYAMA, Rika; YOKOTA, Toshifumi. Eteplirsén in the treatment of Duchenne muscular dystrophy. *Drug design, development and therapy*, v. 11, fev./ 2017, pp. 533-545. Disponível em:

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28280301/>

Não há diretrizes terapêuticas para a doença na rede pública de saúde. As tecnologias disponibilizadas pelo SUS são, na melhor das hipóteses, somente paliativas ou de tratamento sintomático: corticosteroides, diuréticos, betabloqueadores, anticoagulantes para auxiliar na função cardiovascular, fisioterapia, fornecimento de órteses, cadeiras de rodas e ventiladores mecânicos. De modo mais específico, alguns estudos sugerem que o tratamento com Eteplirsen retarda a progressão da doença, em termos de capacidade ambulatorial, e afeta positivamente a função pulmonar em pacientes. O medicamento atua influenciando o mecanismo de *splicing* a saltar o exon 51 na transcrição do mRNA, o que permite corrigir a tradução da distrofina, resultando na produção de proteínas funcionais encurtadas<sup>1</sup>.

Contudo, em nota técnica datada de 14 de junho de 2022, o NAT-Jus do Tribunal de Justiça do Estado de São Paulo concluiu que o atual estado da arte não permite inferir a eficácia, o tempo de sobrevida ou o custo-efetividade do medicamento<sup>2</sup>. Sem registro na ANVISA, o Eteplirsen não está alocado em nenhum dos componentes da Assistência Farmacêutica no SUS.

### 3.7 Elexacaftor, Tezacaftor, Ivacaftor (Nome comercial: Trikafta)

A fibrose cística (CID-10: E84.0, E84.1 ou E84.8) pode ser compreendida como uma doença genética, autossômica recessiva, de acometimento multissistêmico do epitélio de vários órgãos. Desencadeada por mutações no gene da proteína reguladora da condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR), provoca manifestações clínicas variáveis, incluindo insuficiência pancreática exócrina, desnutrição, lesão pulmonar progressiva, infecções respiratórias, risco de desidratação e redução significativa da expectativa de vida<sup>3</sup>. As condutas terapêuticas que constituem a linha de cuidado para a doença abrangem a indicação de enzimas pancreáticas, dornase alfa, tobramicina inalatória e ivacaftor, bem como fisioterapia, acompanhamento nutricional e tratamento medicamentoso das comorbidades<sup>4</sup>.

De acordo com Nota Técnica do NATS-HCFMUSP, elaborada em março de 2023, foi observado que o Trikafta

---

<sup>1</sup> LIM, Kenji Rowel Q; MARUYAMA, Rika; YOKOTA, Toshifumi. Eteplirsen in the treatment of Duchenne muscular dystrophy. *Drug design, development and therapy*, v. 11, fev./ 2017, pp. 533-545. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28280301/>

<sup>2</sup> NÚCLEO DE APOIO TÉCNICO AO JUDICIÁRIO – NAT-JUS/SP. Nota Técnica nº 1177/2022 – NAT-JUZ/SP. Tribunal de Justiça do Estado de São Paulo. Disponível em: [https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas\\_tecnicas/NT\\_Duchenne\\_Eteplirsen\\_14-06-2022.pdf](https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas_tecnicas/NT_Duchenne_Eteplirsen_14-06-2022.pdf)

<sup>3</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de recomendação, Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: Fibrose Cística. Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Brasília: Ministério da Saúde, ago./2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220812\\_PCDT\\_Fibrose\\_Cistica\\_CP\\_53\\_final.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220812_PCDT_Fibrose_Cistica_CP_53_final.pdf)

<sup>4</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021: aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística. Brasília: Ministério da Saúde, dez. 2021. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2022/portal-portaria-conjunta-no-25\\_pcdt\\_fibrose-cistica.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2022/portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf)

(Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor) tem uma ação farmacológica comparativamente maior em relação aos medicamentos incorporados ao SUS, no que concerne à melhora das funções pulmonar e pancreática, melhora da qualidade de vida e redução de hospitalizações, mesmo em fases avançadas da doença<sup>1</sup>. Trata-se de um modulador da proteína CFTR, recentemente registrado na ANVISA (nº 138230005) para pacientes com seis anos de idade ou mais com pelo menos uma mutação no gene F508del-CFTR da fibrose cística. Porém, não foi incluído na lista orientadora do acesso a medicamentos no âmbito da Assistência Farmacêutica.

#### **4 DESAFIOS À EFETIVIDADE DOS PRINCÍPIOS DA UNIVERSALIDADE E INTEGRALIDADE NO TRATAMENTO DE DOENÇAS RARAS**

Tendo surgido para nortear o acesso a medicamentos, a Política Nacional de Assistência Farmacêutica desenvolve-se mediante execução das ações orçamentárias 4705, 4370, 20AE, 4295 e 4368, com empenhos de 14,1 bilhões de reais (8,5% do total empenhado pelo Ministério da Saúde em 2022)<sup>2</sup>. Esses recursos traduzem a força normativa dos princípios da universalidade e integralidade, ao promover a disponibilização de medicamentos dos Componentes Básico, Estratégico e Especializado, macroprocesso que tem por objetivo suprir as demandas sociodemográficas nas três esferas de governo. Decisões sobre alocação de recursos são complexas e exigem conhecimento técnico daqueles que formulam políticas públicas, uma vez que podem colocar em risco a saúde da coletividade<sup>3</sup>.

Nesse contexto, as frentes de trabalho da CONITEC subsidiam as três instâncias gestoras com dados sobre a qualidade, acurácia, segurança e custo-efetividade de tecnologias em saúde, permitindo gerir racionalmente os recursos destinados aos serviços farmacêuticos. Como já se disse, a incorporação de tecnologias no SUS está condicionada por três fatores: evidências clínicas, avaliação econômica e análise de impacto orçamentário. Para averiguar a

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Nota Técnica Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor. Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo de saúde. Brasília: Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo - NATS-HCFMUSP, 2023. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20230404\\_nt\\_elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20230404_nt_elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor)

<sup>2</sup> Ação 4705 – Apoio Financeiro para Aquisição e Distribuição de medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica. Ação 4370 - Atendimento à População com medicamentos para Tratamento dos Portadores de HIV/AIDS, outras Infecções Sexualmente Transmissíveis e Hepatites Virais. Ação 20AE - Promoção da Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos na Atenção Básica em Saúde. Ação 4295 - Atenção aos Pacientes Portadores de Doenças Hematológicas. Ação 4368 - Promoção da Assistência Farmacêutica por meio da aquisição de medicamentos do Componente Estratégico. (MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de gestão 2022. [https://bvsm.sau.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2022.pdf](https://bvsm.sau.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2022.pdf))

<sup>3</sup> VIEIRA, Fabíola Sulpino. Judicialização e direito à saúde no Brasil: uma trajetória de encontros e desencontros. Revista de Saúde Pública, São Paulo, v. 57, n. 1, fev.2023, p. 1-10.

segurança e eficácia do medicamento, consideram-se ensaios clínicos randomizados e revisões sistemáticas que atendam aos critérios de elegibilidade (estudo multicêntrico, duplo-cego, de grupos paralelos, placebo-controlado). Em seguida, a avaliação econômica toma por base a equação de custo-efetividade do medicamento, a contemplar preço proposto, alternativas terapêuticas comparadas e análise de sensibilidade determinística. Finalmente, o impacto orçamentário investiga cenários variáveis de incremento ou redução no desembolso, de acordo com custos, horizonte temporal, população elegível, características da doença e divisão de mercado.

Incertezas quanto a qualquer dos três aspectos podem resultar em recomendação desfavorável à incorporação da tecnologia. Mesmo com bons resultados clínicos, se a razão de custo-efetividade incremental for extremamente elevada, acarretando impacto orçamentário ao SUS, é improvável que o medicamento seja incorporado. Tal foi o caso da Inotersena para o tratamento de Polineuropatia Amiloidótica Familiar, conforme Relatório de Recomendação da CONITEC nº 799/2023<sup>1</sup>. Não obstante, em 2022 o Ministério da Saúde empenhou R\$ 31.223.643,04 com o fornecimento judicial de Inotersena<sup>2</sup>.

A questão que ressurge nesse ponto, designadamente, é a de saber em que medida a interferência do Judiciário afeta a integralidade, como contraponto às políticas de saúde. A Figura 2 exhibe a avaliação comparativa dos medicamentos analisados no item anterior, considerando as seguintes dimensões: registro na ANVISA<sup>3</sup>, incorporação da tecnologia ao SUS<sup>4</sup> e disponibilidade de alternativa terapêutica definida em protocolo<sup>5</sup>:

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de Recomendação Medicamento nº 799: Inotersena para o tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à transtirretina em pacientes adultos não atendidos pela terapia com estabilizadores da proteína TTR no SUS. Brasília: Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, mar. 2023. Disponível em:

[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230511\\_relatorio\\_799\\_inotersena\\_paftr.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230511_relatorio_799_inotersena_paftr.pdf)

<sup>2</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relatório de gestão 2022.

[https://bvsm.sau.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2022.pdf](https://bvsm.sau.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2022.pdf)

<sup>3</sup> AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. Consultas: Bulário eletrônico. Disponível em:

<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/>. Acesso em: 19 maio 2023

<sup>4</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, 2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/20220128\\_rename\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/20220128_rename_2022.pdf). Acesso em: 19 maio 2023.

<sup>5</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas – PCDT. Disponível em:

<https://www.gov.br/sau.gov.br/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt#d>. Acesso em: 19 maio 2023.

**Figura 2:** Medicamentos adquiridos pelo Ministério da Saúde para atender decisões judiciais, considerando as dez maiores aquisições de 2022.

Tecnologia (princípio ativo)	Registro ANVISA	Dispensação pelo SUS	Outras tecnologias disponíveis no SUS
Eculizumabe, concentração 10 mg/ml, forma farmacêutica: solução injetável	198110001	RENAME 2022: Código ATC L04AA25 – Componente Especializado	Transfusão sanguínea e Transplante alogênico de células- tronco hematopoiéticas (TCTH)
Metreleptina, concentração: 11,3 mg, forma farmacêutica: pó líofilo p/ injetável	175040002	-	Mudanças no estilo de vida e tratamento das comorbidades.
Onasemnogeno abeparvoeque-XIOI, concentração: 2.0x10 <sup>13</sup> vg/ml, forma farmacêutica: suspensão injetável	100681174	Incorporado por meio da Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro de 2022	Tratamento medicamentoso com Nusinersena (Spiranza) ou Risdiplam.
Inotersena, composição: nonadecassódica, concentração: 200 mg/ml, forma farmacêutica: solução injetável	157700002	-	Transplante de fígado ou Tratamento medicamentoso com Tafamidis meglumina.
Alfassebelipase, composição: alfa, concentração: 2 mg/ml, forma farmacêutica: solução injetável	198110003	-	-
Eteplirsén, concentração: 50 mg/ml, forma farmacêutica: solução injetável	-	-	Fisioterapia, fornecimento de órteses, cadeiras de rodas e ventiladores mecânicos, e tratamentos com corticosteroides, diuréticos e anticoagulantes.
<b>Elexacaftor, composição: associado ao Tezacaftor e Ivacaftor, concentração: 100 mg + 50 mg + 75 mg</b>	<b>138230005</b>	-	<b>Enzimas pancreáticas, dornase alfa, tobramicina inalatória, ivacaftor, fisioterapia, acompanhamento nutricional e tratamento farmacológico das comorbidades.</b>

Fonte: elaboração dos autores.

No ano de 2022, o Ministério da Saúde gastou R\$ 384.443.779,64 em dez aquisições de medicamentos de alto custo, destinadas a atender demandas judiciais. Conforme demonstra a Figura 1, os medicamentos sem registro na ANVISA representaram 16,9% do valor total contratado, sendo R\$ 65.319.183,18 relativos a despesas com aquisição de Metreleptina 11,3 mg e Eteplirsén 50 mg/ml. Em consulta à base de dados da ANVISA, observou-se que a emissão do registro do Myalept (Metreleptina) ocorreu somente após o exercício de referência, em março de 2023<sup>1</sup>. No plano normativo, os resultados evidenciam ter havido uma mitigação judicial do art. 19-T, *caput*, II, da Lei nº 8.080/1990, que veda, em todas as esferas de gestão do SUS, a dispensação, o

<sup>1</sup> AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. Bulário Myalept (metreleptina), AMRYT BRASIL COMERCIO E IMPORTAÇÃO DE MEDICAMENTOS LTDA, pó liofilizado para solução injetável, 3,0 mg, 5,8 mg e 11,3 mg. 2023. Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=175040002>

pagamento, o ressarcimento ou o reembolso de medicamento sem registro sanitário.

Dos sete princípios ativos, seis não prefiguravam em algum Componente da Assistência Farmacêutica quando foram judicializados. Sendo assim, 67,2% das despesas correspondem ao fornecimento de tecnologias não incorporadas (R\$ 258.106.213,46), uma vez que apenas o Eculizumabe 10 mg/ml já havia sido formalmente incluído na RENAME, considerando-se o exercício de 2022. Nesse mesmo período, merece destaque a recomendação da CONITEC para incorporar o Zolgensma, consoante Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro de 2022. Porém, nos termos da Portaria de Consolidação GM/MS nº 2/2017, Anexo XXVIII, o fármaco ainda teria de passar por pactuação de financiamento no âmbito da Comissão Intergestores Tripartite (art. 61, § 2º), e ser publicado no Protocolo Clínico da AME 5q tipo 1, antes de sua inclusão efetiva no Componente Especializado (art. 62).

Quanto à disponibilidade de alternativa terapêutica no SUS, o Ministério da Saúde aprovou PCDTs para quatro das doenças mencionadas: Hemoglobinúria Paroxística Noturna<sup>1</sup>, Atrofia Muscular Espinhal tipo 1<sup>2</sup>, Polineuropatia Amiloidótica Familiar<sup>3</sup> e Fibrose Cística<sup>4</sup>. Embora existam terapias disponíveis no SUS para o controle das comorbidades associadas à Lipodistrofia Congênita Generalizada, à Distrofia Muscular de Duchenne e à Deficiência de lipase ácida lisossomal, é importante notar, como anteriormente descrito, que essas intervenções podem ser insuficientes para produzir uma resposta clínica satisfatória a curto ou longo prazo. Consequentemente, entre as despesas totais da Figura 1, 24,1% (R\$ 92.800.085,50) referem-se a medicamentos indicados para o tratamento de doenças e agravos sem estratégia de cuidado preconizada em PCDT. Os resultados sugerem que esse fator exerce

---

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Portaria Conjunta nº 18, de 20 de novembro de 2019: Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, nov. 2019. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2019/pcdt\\_hpn.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2019/pcdt_hpn.pdf)

<sup>2</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Portaria Conjunta nº 6, de 15 de maio de 2023: Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e Complexo da Saúde, maio 2023. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2023/portaria-conjunta-no-6-atrofia-muscular-espinhal-5q-tipos-1-e-2-docx.pdf>

<sup>3</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Portaria Conjunta nº 22, de 02 de outubro de 2018: Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, out. 2019. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2018/pcdt\\_polineuropatia\\_amiloidotica\\_familiar\\_2018.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2018/pcdt_polineuropatia_amiloidotica_familiar_2018.pdf)

<sup>4</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021: Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, dez. 2021. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2022/portal-portaria-conjunta-no-25\\_pcdt\\_fibrose-cistica.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2022/portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf)

influência significativa sobre a judicialização dos fármacos Metreleptina, Eteplirsen e Alfassebelipase.

Em uma análise desse fenômeno, o Grupo de Pesquisa em Economia da Saúde da Universidade Federal de Minas Gerais investigou se os critérios de integralidade e acesso universal à assistência farmacêutica, instituídos pela Lei nº 12.401/2011 e pelo Decreto nº 7.508/2011, teriam a capacidade de racionalizar a judicialização da saúde no Brasil. Nessa pesquisa, foram selecionados os registros de 6.112 processos judiciais deferidos contra a Secretaria Estadual de Saúde de Minas Gerais (SES/MG), de 1999 a 2009. O trabalho dos pesquisadores consistiu em aferir, segundo a classificação de adequação aos parâmetros normativos, se o usuário estava assistido por ações e serviços de saúde do SUS, bem como se o medicamento demandado constava na RENAME. Dessa forma, de 10.051 medicamentos, 773 (7,69%) foram considerados adequados aos critérios de acesso à assistência farmacêutica, 6.919 (68,84%) inadequados, e 2.359 (23,47%) impossíveis de classificar. Em resumo, se os atos normativos que regulamentam o princípio da integralidade fossem observados pelo Poder Judiciário, entre 68,84% e 85,77% dos medicamentos teriam sido indeferidos<sup>1</sup>.

No Estado da Bahia, Alves e Silva mapearam as demandas de usuários atendidos pelo Serviço de Orientação ao Paciente da Assistência Farmacêutica, da Secretaria Estadual de Saúde, no ano de 2016. O estudo demonstrou que 70,5% dos medicamentos solicitados por meio de ação judicial não estavam previstos na RENAME, exigindo que o gestor realocasse recursos destinados a outras ações e serviços de saúde a fim de atender à demanda<sup>2</sup>. Em relação aos medicamentos inclusos em programas de assistência farmacêutica, observou-se a prevalência de fármacos do Componente Especializado (86,96%) e, em menor quantidade, do Componente Básico (13,04%). Nessa visão, as pesquisadoras também identificaram que 60% das solicitações relativas a medicamentos do CEAF poderiam ser atendidas por via administrativa, uma vez que as doenças e agravos desses pacientes estavam contemplados em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas do SUS.

Finalmente, Oliveira *et al* conduziram um estudo retrospectivo de 987 ações judiciais que pleiteavam medicamentos no Estado do Rio Grande do Norte, entre janeiro de 2013 e dezembro de 2017<sup>3</sup>. Partindo de uma amostragem de 1.517 medicamentos, foi possível verificar que os pedidos de concessão de liminar foram atendidos pelo Judiciário em 95,6% dos casos, com percentual de sentença favorável ao autor de 90,2%. Mais que isso, os

---

<sup>1</sup> LOPES, Luciana de Melo Nunes et al. Integralidade e universalidade da assistência farmacêutica em tempos de judicialização da saúde. *Saúde e Sociedade*. São Paulo, v. 28, n. 2, pp.124-131, 2019

<sup>2</sup> ALVES, Alba da Cunha; SILVA, Thalita Oliveira da. Judicialização da saúde no acesso a medicamentos no SUS em uma Secretaria Estadual da Saúde. *Revista baiana de Saúde Pública*, v. 43, jan./mar. 2019, pp. 45-56.

<sup>3</sup> OLIVEIRA, Yonara Monique da Costa. Judicialização no acesso a medicamentos: análise das demandas judiciais no Estado do Rio Grande do Norte, Brasil. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 37, n. 1, 2021.

pesquisadores ressaltam que o critério determinante para a antecipação da tutela consiste na “constatação da necessidade urgente do autor de acesso a determinado medicamento, tendo como respaldo os documentos apresentados pelo próprio demandante, baseados, geralmente, em receituário e laudos médicos”<sup>1</sup>.

Sob esse enfoque, Daniel Wei Liang Wang<sup>2</sup> afirma que “a decisão judicial que manda fornecer tratamento não incorporado é uma escolha institucional do Judiciário de atribuir a si a decisão final sobre o que o sistema de saúde deve ou não custear”. Compreendendo que o impacto econômico da judicialização sobre o orçamento é suportado pelos outros usuários do SUS, o autor argumenta que “os tribunais têm sido utilizados para forçar gastos e fazer escolhas alocativas que a legislação não prevê ou mesmo veda”<sup>3</sup>. Ao garantir o acesso de um número reduzido de pessoas a insumos e procedimentos não previstos em listas oficiais, as prestações deferidas pelo Poder Judiciário inevitavelmente criam assimetrias dentro das políticas públicas de saúde.

Em contraposição, Fernando Aith *et al*, do Núcleo de Pesquisa em Direito Sanitário da Universidade de São Paulo, sustentam que a judicialização do direito à saúde constitui uma importante via de acesso a tecnologias específicas para pacientes com doenças raras ou não contempladas em Diretrizes Terapêuticas do SUS<sup>4</sup>:

imagine-se uma hipótese na qual o sistema público somente oferecerá de forma universal os serviços que constarem dos protocolos clínicos aprovados pelo Ministério da Saúde. Nesses casos, os pacientes com demandas que não estão contempladas pelos protocolos oficiais ficariam à margem do sistema público de saúde e teriam negados os seus pedidos de tratamento pelo poder público. Nessa hipótese, o princípio da integralidade deixa de ser cumprido, já que o SUS estará deixando de atender uma pessoa com necessidades comprovadas de saúde.

Como se extrai do levantamento documental, as indicações de uso dos medicamentos Eculizumabe, Metreleptina, Onasemnogeno Abeparvoveque, Inotersena, Alfassebelipase, Eteplirsen e Elexaftor/Texacaftor/Ivacaftor associam-se ao tratamento de pacientes com doenças raras, de origem congênita ou adquirida. No Brasil, seguindo o critério definido pela Organização Mundial

---

<sup>1</sup> OLIVEIRA, Yonara Monique da Costa. Judicialização no acesso a medicamentos: análise das demandas judiciais no Estado do Rio Grande do Norte, Brasil. Cadernos de Saúde Pública, v. 37, n. 1, 2021, p. 8.

<sup>2</sup> WANG, Daniel Wei Liang. Revisitando dados e argumentos no debate sobre judicialização da saúde. Revista Estudos Institucionais, v. 7, n. 2, p. 849-869, maio/ago. 2021, p. 858.

<sup>3</sup> WANG, Daniel Wei Liang. Revisitando dados e argumentos no debate sobre judicialização da saúde. Revista Estudos Institucionais, v. 7, n. 2, p. 849-869, maio/ago. 2021, p. 853.

<sup>4</sup> AITH, Fernando et al. Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. Revista de Direito Sanitário, São Paulo, v. 15, n. 1, p. 10-39, 2014, p. 30.

da Saúde (OMS), consideram-se raras as condições clínicas que afetam até 65 em cada 100 mil indivíduos, e ultrarraras as de incidência estimada de 1 para cada 50 mil<sup>1</sup>. De acordo com Bouwman, Sousa e Pina<sup>2</sup>, devido à baixa prevalência dessas doenças, “o setor farmacêutico tem pouco interesse, em condições normais de mercado, em desenvolver e comercializar medicamentos destinados a apenas um pequeno número de pacientes”. Dessa forma, as tecnologias disponíveis para o tratamento de doenças raras normalmente registram alto custo social e econômico para os sistemas de saúde.

Demandas judiciais relativas ao fornecimento desses medicamentos podem emergir quando: (i) o paciente apresenta-se refratário ou intolerante à primeira e/ou segunda linha de cuidado definida pelo SUS; (ii) a doença ou agravo não consta em Protocolo Clínico; (iii) o médico prescreve fármaco para uso distinto daquele aprovado no registro (uso *off-label*); ou (iv) ocorrem problemas de gestão dos Componentes da Assistência Farmacêutica.

Em alguns desses casos, a falta de estratégia pública adequada às necessidades do paciente resultará na intervenção do Judiciário, com o propósito de garantir o acesso universal e integral à saúde. Porém, à medida que sobrevalorizam laudos médicos em detrimento de avaliações de impacto orçamentário, juízes e tribunais comprometem a governança de políticas públicas, o uso racional de medicamentos e a administração dos recursos destinados a ações e serviços de saúde para toda a coletividade.

## 5 CONSIDERAÇÕES FINAIS

Esta pesquisa explorou os efeitos orçamentários da judicialização da saúde, concentrando-se em compreender seu impacto sobre as ações e serviços de assistência farmacêutica no SUS. Com base em dados do Ministério da Saúde relativos ao exercício de 2022, observou-se que há crescente demanda por medicamentos indicados para o tratamento de doenças raras, com sete fármacos respondendo por R\$ 384.443.779,64 em despesas não previstas. Se, por um lado, a dispensação judicial desses medicamentos assegura a integralidade e o acesso universal à saúde para alguns pacientes, por outro, compromete a execução orçamentária dos recursos destinados às políticas públicas, sobretudo as despesas do Componente Especializado (CEAF).

Para o equacionamento dessas variáveis, o processo de tomada de decisão judicial deve ser contingenciado por critérios científicos, econômicos e normativos. Em primeiro lugar, é preciso que o sistema de justiça trabalhe em

---

<sup>1</sup> WESTARB MOTA, Jefferson et al. Acesso a medicamentos para doenças raras no pós-estudo: revisão integrativa. Revista Bioética, v. 30, n. 3, Brasília, jul./set. 2022. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/bioet/a/tSHcCKVdbY5St4cxXXydvMh/?format=pdf&lang=pt>

<sup>2</sup> BOUWMAN, Maria Luísa; SOUSA, João José Simões; PINA, Maria Eugénia Tavares. Regulatory issues for orphan medicines: A review. Health Policy and Technology, v. 9, n. 1, p. 115-121, mar. 2020. Disponível em: <https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S2211883719300796>

estreita colaboração com os Núcleos de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NAT-Jus) e os Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS). Estruturados pela Resolução do Conselho Nacional de Justiça nº 238, de 06 de setembro de 2016, os NAT-Jus subsidiam as decisões dos Tribunais de Justiça dos Estados e dos Tribunais Regionais Federais nas demandas relativas a prestações de saúde, por meio da elaboração de notas técnicas. Esses documentos apresentam, a partir das evidências científicas disponíveis, dados sobre a eficácia, a segurança e o custo da tecnologia solicitada para um caso clínico específico. O pedido de apoio técnico deve ser formulado mediante acesso ao Sistema e-NatJus<sup>1</sup>.

Da mesma forma, ao emitir pareceres técnico-científicos, os NATS fornecem ao Judiciário conclusões suficientes para indicar ou contraindicar o uso de uma tecnologia em saúde. Existem atualmente 101 NATS distribuídos entre hospitais e universidades em todas as regiões do Brasil, voltados à Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS)<sup>2</sup>. Em setembro de 2022, o Ministério da Saúde formalizou o Acordo de Cooperação Técnica nº 09/2022 com o CNJ e o Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (HCFMUSP), tendo por objetivo o desenvolvimento de 150 notas técnicas pelos pesquisadores do NATS-HCFMUSP<sup>3</sup>.

Entre os critérios normativos, há alguns que oferecem a possibilidade de alinhar decisões judiciais em um contexto de dispensação de medicamentos. Nos termos do art. 19-M da Lei nº 8.080/1990, é de grande importância distinguir se o Protocolo Clínico para a doença ou agravo à saúde padroniza linha de cuidado medicamentoso, ou, na falta deste, se o fármaco integra as relações oficiais instituídas pelos gestores do SUS.

No entanto, a norma que veda o fornecimento de insumos em desconformidade com Protocolo Clínico pode ser atenuada, excepcionalmente, face ao diagnóstico de doenças raras, uma vez que muitas delas não se encontram previstas em PCDT ou em algum programa da Assistência Farmacêutica. Nos casos em que o SUS não estabelece estratégia de cuidado compatível com a condição do paciente, indeferir o acesso judicial a medicamento comprovadamente seguro e eficaz significaria renunciar à diretriz de integralidade.

---

<sup>1</sup> CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. Sistema e-NatJus. Disponível em: <https://www.cnj.jus.br/programas-e-acoos/forum-da-saude-3/e-natjus/>

<sup>2</sup> REDE BRASILEIRA DE AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE. Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde. Disponível em: <https://rebrats.saude.gov.br/10-institucional/110-os-nats>

<sup>3</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Acordo de Cooperação / Ministério da Saúde nº 9/2022. Termo de Cooperação técnica que entre si celebram a União, por intermédio do Ministério da Saúde, o Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo e o Conselho Nacional de Justiça, para os fins que especifica. Brasília: Ministério da Saúde, Gabinete, Coordenação-Geral do Gabinete do Ministro, Coordenação de Atos e Publicações Oficiais, set. 2022. Disponível em: <https://www.cnj.jus.br/wp-content/uploads/2022/09/tcot-047-2022-ms-09-2022.pdf>

Quanto aos fármacos sem registro na ANVISA, sobre eles deverá prevalecer a regra do art. 19-T, *caput*, II, da Lei nº 8.080/1990, em função da ausência de certificação sobre sua segurança, eficácia terapêutica e biodisponibilidade. É equivocado o argumento de que a garantia do acesso universal à saúde autoriza o Poder Judiciário, com base em estudos clínicos e laudos médicos, a ordenar a dispensação de tecnologias sem registro na ANVISA. Magistrados não possuem conhecimento institucional para promover controle sanitário e, quando o fazem, podem por em risco a saúde dos demandantes.

Assim, à medida que esses critérios constituem limites técnico-normativos à atuação do Judiciário, mostra-se possível reconstruir uma posição de garantia da integralidade e do acesso universal à saúde, concebida dialogicamente com a formulação e a execução das políticas de assistência farmacêutica no Brasil.

## REFERÊNCIAS

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. *Consultas*: Bulário eletrônico. Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/>.

Acesso em: 19 maio 2023.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. *Bula do profissional de saúde*: Kanuma alfassebelipase, Alexion Serviços e Farmacêutica do Brasil Ltda, solução para Diluição para Infusão 20 mg (2mg/ml). Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Kanuma>.

Acesso em: 19 maio 2023.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. *Bulário Myalept (metreleptina)*: AMRYT BRASIL COMERCIO E IMPORTAÇÃO DE MEDICAMENTOS LTDA, pó liofilizado para solução injetável, 3,0 mg, 5,8 mg e 11,3 mg. 2023. Disponível em:

<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numero Registro=175040002>.

Acesso em: 15 maio 2023.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. *Bulário Zolgensma (onasemnogeno abeparvoveque)*, Novartis Biociências S.A., suspensão injetável 2,0 x 10<sup>13</sup> GV/ML, *Bula profissional*. Disponível em: [file:///C:/Users/WIN%207/Downloads/bula\\_1685224553653.pdf](file:///C:/Users/WIN%207/Downloads/bula_1685224553653.pdf). Acesso em: 15 maio 2023.

AITH, Fernando *et al.* Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. *Revista de Direito Sanitário*, São Paulo, v. 15, n. 1, p. 10-39, 2014. Disponível em: <https://www.revistas.usp.br/rdisan/article/view/82804>. Acesso em: 15 maio 2023.

ALVES, Alba da Cunha; SILVA, Thalita Oliveira da. Judicialização da saúde no acesso a medicamentos no SUS em uma Secretaria Estadual da Saúde.

*Revista Baiana de Saúde Pública*, v. 43, jan./mar. 2019, p. 45-56. Disponível em: <https://pesquisa.bv.salud.org/portal/resource/pt/biblio-1140214>. Acesso em: 21 maio 2023.

ARAÚJO DINIZ, M. G. Direito Social em favor dos pobres: perspectivas da adoção de meios alternativos de solução de controvérsias nos conflitos de direito à saúde. *Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário*, [S. l.], v. 2, n. 2, p. 472-485, 2013. Disponível em: <https://www.cadernos.prodisa.fiocruz.br/index.php/cadernos/article/view/99>. Acesso em: 10 maio 2023.

BOUWMAN, Maria Luísa; SOUSA, João José Simões; PINA, Maria Eugénia Tavares. Regulatory issues for orphan medicines: A review. *Health Policy and Technology*, v. 9, n. 1, p. 115-121, mar. 2020. Disponível em: <https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S2211883719300796>. Acesso em: 25 maio 2023.

BURTON, Barbara K. et al. Sebelipase alfa in children and adults with lysosomal acid lipase deficiency: Final results of the ARISE study. *Journal of Hepatology*, v. 76, n. 3, mar./2022, pp. 577-587. Disponível em: <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0168827821021711>. Acesso em: 21 maio 2023.

CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. *Painel de Estatísticas Processuais de Direito à Saúde*. Disponível em: <https://paineisanalytics.cnj.jus.br/single/?appid=a6dfbee4-bcad-4861-98ea-4b5183e29247&sheet=87ff247a-22e0-4a66-ae83-24fa5d92175a&opt=ctxmenu,currsel>. Acesso em: 15 maio 2023.

CONTROLADORIA-GERAL DA UNIÃO. *Portal da Transparência, Despesas, Áreas de Atuação (Funções) do Governo, Função Específica: Saúde*. Disponível em: <https://portaldatransparencia.gov.br/funcoes/10-saude?ano=2023>. Acesso em: 10 maio 2023.

LIM, Kenji Rowel Q; MARUYAMA, Rika; YOKOTA, Toshifumi. Eteplirsén in the treatment of Duchenne muscular dystrophy. *Drug design, development and therapy*, v. 11, fev./ 2017, pp. 533-545. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28280301/>. Acesso em: 21 maio 2023.

LIMA-MARTINEZ, Marcos M. Metreleptina: Tratamiento para las complicaciones metabólicas de la lipodistrofia generalizada. *Rev Venez Endocrinol Metab*, v. 14, n. 1, 2016, p. 16-28. Disponível em: <http://ve.scielo.org/pdf/rvdem/v14n1/art03.pdf>. Acesso em: 20 maio 2023.

LOPES, Luciana de Melo Nunes *et al.* Integralidade e universalidade da assistência farmacêutica em tempos de judicialização da saúde. *Saúde e Sociedade*, São Paulo, v. 28, n. 2, pp.124-131, 2019. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/sausoc/a/zg4Jnz5w58m3Hp9d69BYPZJ>. Acesso em: 21 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Acordo de Cooperação / Ministério da Saúde nº 9/2022*. Termo de Cooperação técnica que entre si celebram a União, por intermédio do Ministério da Saúde, o Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo e o Conselho Nacional de Justiça, para os fins que especifica. Brasília: Ministério da Saúde, Gabinete, Coordenação-Geral do Gabinete do Ministro, Coordenação de Atos e Publicações Oficiais, set. 2022. Disponível em: <https://www.cnj.jus.br/wp-content/uploads/2022/09/tcot-047-2022-ms-09-2022.pdf>. Acesso em: 25 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Componente Especializado da Assistência Farmacêutica*. Brasília: Ministério da Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sectics/daf/ceaf>. Acesso em: 27 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica*. Brasília: Ministério da Saúde, Departamento de Assistência Farmacêutica. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/sectics/daf/cesaf>. Acesso em: 27 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Conheça a CONITEC*. Brasília: Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC, abr. 2023. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/a-comissao/conheca-a-conitec>. Acesso em: 23 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Nota Técnica: Metreleptina*. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo - NATS-HCFMUSP [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20221220\\_nt\\_metreleptina.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20221220_nt_metreleptina.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Nota Técnica Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor*. Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo de saúde. Brasília: Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo - NATS-HCFMUSP, 2023. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20230404\\_nt\\_elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/notas-tecnicas/20230404_nt_elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor). Acesso: 21 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Portaria Conjunta nº 6, de 15 de maio de 2023: Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2*. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e Complexo da Saúde, maio 2023. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes->

terapeuticas-pcdt/arquivos/2023/portaria-conjunta-no-6-atrofia-muscular-espinhal-5q-tipos-1-e-2-docx.pdf. Acesso em: 20 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Portaria Conjunta nº 18, de 20 de novembro de 2019*: Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, nov. 2019. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2019/pcdt\\_\\_hpn.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2019/pcdt__hpn.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Portaria Conjunta nº 22, de 2 de outubro de 2018*: aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar. Brasília: Ministério da Saúde, out. 2019. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2018/pcdt\\_polineuropatia\\_amiloidotica\\_familiar\\_2018.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2018/pcdt_polineuropatia_amiloidotica_familiar_2018.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021*: aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística. Brasília: Ministério da Saúde, dez. 2021. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2022/portal-portaria-conjunta-no-25\\_pcdt\\_fibrose-cistica.pdf](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt/arquivos/2022/portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf). Acesso em: 21 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Protocolo Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: Atrofia muscular espinhal 5q tipos 1 e 2*. Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Brasília: Ministério da Saúde, maio 2023. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912\\_PCDT\\_AME\\_CP\\_57.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912_PCDT_AME_CP_57.pdf). Acesso em: 21 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas – PCDT*. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt#d>. Acesso em: 19 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas: Hemoglobinúria Paroxística Noturna*. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt\\_\\_hpn.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt__hpn.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME*. Brasília: Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, 2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/20220128\\_rename\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/20220128_rename_2022.pdf). Acesso em: 19 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relatório de gestão 2021*. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2021.pdf](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2021.pdf). Acesso em: 13 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relatório de gestão 2022*. [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio\\_gestao\\_2022.pdf](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relatorio_gestao_2022.pdf). Disponível em: 13 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relatório de recomendação nº 659: Exclusão do eculizumabe para tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna*. Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Brasília: Ministério da Saúde, 2021. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210909\\_relatorio\\_eculizumabe\\_hpn\\_659\\_2020\\_final.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210909_relatorio_eculizumabe_hpn_659_2020_final.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relatório de Recomendação Medicamento nº 793: Onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME)*. Brasília: Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, dez. 2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207\\_relatorio\\_zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_793\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf). Acesso em: 14 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relatório de Recomendação Medicamento nº 799: Inotersena para o tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à transtirretina em pacientes adultos não atendidos pela terapia com estabilizadores da proteína TTR no SUS*. Brasília: Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, mar. 2023. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230511\\_relatorio\\_799\\_inotersena\\_paftrr.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230511_relatorio_799_inotersena_paftrr.pdf). Acesso em: 21 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relatório de recomendação, Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: Atrofia muscular espinhal 5q tipos I e II*. Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Brasília: Ministério da Saúde, ago./2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912\\_PCDT\\_AME\\_CP\\_57.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912_PCDT_AME_CP_57.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. *Relatório de recomendação, Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: Fibrose Cística*. Ministério da Saúde, Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Brasília: Ministério da Saúde, ago./2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220812\\_PCDT\\_Fibrose\\_Cistica\\_CP\\_53\\_final.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220812_PCDT_Fibrose_Cistica_CP_53_final.pdf). Acesso em: 21 maio 2023.

NÚCLEO DE APOIO TÉCNICO AO JUDICIÁRIO – NATJUS/DF. *Nota Técnica*: Zolgensma (Onasemnogene Abeparvovec-XIOI)/Atrofia muscular espinhal tipo 1. Tribunal de Justiça do Distrito Federal e Territórios.

Disponível em: <https://www.tjdft.jus.br/informacoes/notas-laudos-e-pareceres/natjus-df/1145.pdf>. Acesso em: 20 maio 2023.

NÚCLEO DE APOIO TÉCNICO AO JUDICIÁRIO – NATJUS/SP. *Nota técnica nº 237/2023 – NATJUS/SP*. Tribunal de Justiça do Estado de São Paulo. Disponível em:

[https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas\\_tecnicas/NT\\_237\\_2022\\_Inotersena\\_02-02-2023.pdf](https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas_tecnicas/NT_237_2022_Inotersena_02-02-2023.pdf). Acesso em: 20 maio 2023.

NÚCLEO DE APOIO TÉCNICO AO JUDICIÁRIO – NAT-JUS/SP. *Nota Técnica nº 1177/2022 – NAT-JUS/SP*. Tribunal de Justiça do Estado de São Paulo. Disponível em:

[https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas\\_tecnicas/NT\\_Duchenne\\_Eteplirsen\\_14-06-2022.pdf](https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas_tecnicas/NT_Duchenne_Eteplirsen_14-06-2022.pdf). Acesso em: 21 maio 2023.

OLIVEIRA, Yonara Monique da Costa. Judicialização no acesso a medicamentos: análise das demandas judiciais no Estado do Rio Grande do Norte, Brasil. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 37, n. 1, 2021. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/csp/a/8LMvgpKqDyx5S6Ttpcrryxq/?lang=pt&format=pdf>. Acesso em: 23 maio 2023.

ORGANIZAÇÃO MUNDIAL DA SAÚDE. Constitution of the World Health Organization. In: ORGANIZAÇÃO MUNDIAL DA SAÚDE. *Basic Documents: forty-ninth edition (including amendments adopted up to 31 May 2019)*.

Genebra: 2020. Disponível em:

[https://apps.who.int/gb/bd/pdf\\_files/BD\\_49th-en.pdf#page=6](https://apps.who.int/gb/bd/pdf_files/BD_49th-en.pdf#page=6). Acesso em: 10 maio 2023.

PEREIRA, Ana Carolina Padula Ribeiro *et al.* Conduas clínicas e barreiras no tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar associada à transtirretina (PAF-TTR) no Brasil. *Jornal Brasileiro de Economia da Saúde*, v. 13, n. 1, ago.2021, pp. 128-135. Disponível em:

<https://jbes.com.br/images/v13n2/128.pdf>. Acesso em: 20 maio 2023.

PORTUGAL GOUVÊA, Carlos. Social Rights Against the Poor. *Vienna Journal on International Constitutional Law*, v. 7, n. 4, 2013, p. 454-475. Disponível em:

<https://edisciplinas.usp.br/mod/resource/view.php?id=2257151&forceview=1>. Acesso em: 10 maio 2023.

REDE BRASILEIRA DE AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE. *Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde*. Disponível em:

<https://rebrats.saude.gov.br/10-institucional/110-os-nats>. Acesso em: 25 maio 2023.

VIEIRA, Fabíola Sulpino. Judicialização e direito à saúde no Brasil: uma trajetória de encontros e desencontros. *Revista de Saúde Pública*, São Paulo, v.

57, n. 1, fev.2023, p. 1-10. Disponível em:

<https://rsp.fsp.usp.br/artigo/judicializacao-e-direito-a-saude-no-brasil-uma-trajetoria-de-encontros-e-desencontros/>. Acesso em: 20 maio 2023.

WANG, Daniel Wei Liang. Revisitando dados e argumentos no debate sobre judicialização da saúde. *Revista Estudos Institucionais*, v. 7, n. 2, p. 849-869, maio/ago. 2021. Disponível em:

<https://www.estudosinstitucionais.com/REI/article/view/650>. Acesso em: 15 maio 2023.

WESTARB MOTA, Jefferson et al. Acesso a medicamentos para doenças raras no pós-estudo: revisão integrativa. *Revista Bioética*, v. 30, n. 3, Brasília, jul./set. 2022. Disponível em:

<https://www.scielo.br/j/bioet/a/tSHcCKVdbY5St4cxXXydvMh/?format=pdf&lang=pt>. Acesso em: 25 maio 2023.