



**UNIVERSIDADE FEDERAL DE CIÊNCIAS DA SAÚDE DE PORTO ALEGRE GESTÃO
EM SAÚDE**

Anna Paula Santanna Moraes

**DECISÕES JUDICIAIS EM SAÚDE E AS AVALIAÇÕES DE TECNOLOGIAS EM
SAÚDE PARA O MEDICAMENTO ZOLGENSMA®**

PORTO ALEGRE

2022



Anna Paula Santanna Moraes

Decisões judiciais em saúde e as avaliações de tecnologias em saúde para o medicamento

Zolgensma®

Trabalho de Conclusão de Curso de graduação apresentado ao Departamento de Gestão em Saúde da Fundação Universidade Federal de Ciências da Saúde de Porto Alegre, como requisito parcial para a obtenção do grau de Bacharel em Gestão em Saúde.

Orientador: Prof. Dr. Paulo Gilberto Cogo Leivas



PORTO ALEGRE

2022

Catálogo na Publicação

Santanna Moraes, Anna Paula
DECISÕES JUDICIAIS EM SAÚDE E AS AVALIAÇÕES DE
TECNOLOGIAS EM SAÚDE PARA O MEDICAMENTO ZOLGENSMA® /
Anna Paula Santanna Moraes. -- 2022.
33 p. : tab. ; 30 cm.

Monografia (trabalho de conclusão de curso) --
Universidade Federal de Ciências da Saúde de Porto
Alegre, Curso de Gestão em Saúde, 2022.

Orientador(a): Paulo Gilberto Côgo Leivas .

1. Tabela 1 - Decisões relacionadas ao medicamento
Zolgensma® . 2. Tabela 2 - Aspectos considerados pelos
magistrados no embasamento de sua decisão . I. Título.

Sistema de Geração de Ficha Catalográfica da UFCSPA com os dados
fornecidos pelo(a) autor(a).



CURSO DE GESTÃO EM SAÚDE

ATA DE APRESENTAÇÃO DE TRABALHO DE CONCLUSÃO DE CURSO (TCC)

Aos onze dias do mês de agosto do ano de 2022, estiveram reunidos os professores Paulo Gilberto Cogo Leivas (Orientador), Mônica Concha Amin (Membro da Banca) e Francisco Donizete (Membro da Banca), em reunião virtual, para avaliação do Trabalho de Conclusão de Curso intitulado "Decisões Judiciais em Saúde e as Avaliações de Tecnologias em Saúde para o Medicamento Zolgensma", apresentado pela aluna Anna Paula Moraes, do curso de Gestão em Saúde, tendo sido o referido TCC:

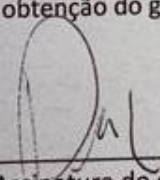
(X) APROVADO () REPROVADO

Os membros da Banca Examinadora do trabalho fizeram a avaliação da versão escrita e da apresentação oral da discente, merecendo destaque os seguintes pontos. O trabalho atingiu os critérios para aprovação e a banca apresenta as seguintes sugestões para aprimoramento: revisão do português, especialmente crases; aprofundamento do tema ATS, da avaliação econômica em saúde e da medicina baseada em evidência MBE; revisão de decisões judiciais importantes (STA 175); mencionar a denominação genérica do medicamento; revisão sobre a história da judicialização; reordenar as referências.

As alterações sugeridas pelos membros da banca deverão ser incorporadas pela estudante ao TCC, ficando a cargo do orientador sua conferência, e o TCC revisado deverá ser postado via SEI em até 15 dias, conforme orientações da Comissão de TCC.

A entrega desta versão final, dentro do prazo solicitado, constitui requisito obrigatório para aprovação na disciplina TCC IV e para obtenção do grau de Bacharel em Gestão em Saúde.

Porto Alegre, 11 de agosto de 2022.


Assinatura do orientador

	Nota atribuída
Membro da banca avaliadora 1	8,0
Membro da banca avaliadora 2	8,0
Avaliação do desempenho discente pelo orientador	8,5



AGRADECIMENTOS

Aos meus pais Paulo e Carolina que sempre estiveram ao meu lado em todos os momentos importantes e nunca deixaram de acreditar em mim e nos meus sonhos.

Aos meus irmãos Fernando e Rafaela por todo amor, carinho e compreensão mesmo nos momentos que não pude estar presente.

Ao meu Amor Eduardo que nunca me deixou desanimar mesmo nos momentos mais difíceis dessa jornada.

Aos meus avós Ely, Odete, Therezinha e Adalto (*in memoriam*).

À Coralina, Marina, Wagner, Priscila, Stephani, Rosi e Vanderlei que igualmente sempre me apoiaram e estiveram ao meu lado durante o processo.

Ao meu amigo Eduardo, por toda ajuda desde que escolhi o tema do meu trabalho e as grandes amigas que a universidade me trouxe, Mariana, Rebecca e Rubia.

E, por último, mas não menos importante, ao meu orientador Prof. Dr. Paulo Leivas.



RESUMO

A judicialização do acesso a medicamentos de alto custo para doenças genéticas raras e que não foram incorporados no Sistema Único de Saúde (SUS) como o Zolgensma®, indicado para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME), é cada vez maior. Realizou-se uma pesquisa exploratória em duas etapas: a primeira foi baseada em uma busca de literatura referente ao tema e a segunda etapa foi feita uma análise de decisões judiciais como objetivo, a pesquisa buscou analisar as decisões do Supremo Tribunal Federal, Superior Tribunal de Justiça e dos Tribunais Federais da 1ª, 2ª, 3ª, 4ª e 5ª região e verificar os motivos para recusa do fornecimento do medicamento Zolgensma®, identificar se os conceitos de eficácia, efetividade e custo-efetividade são usados em conformidade com as diretrizes da avaliação de tecnologia em saúde, analisar as leis e diretrizes referentes aos medicamentos para doenças raras e o sistema único de saúde. Foram identificadas 22 decisões, sendo que 20 negaram o fornecimento do medicamento, 1 concedeu e 1 solicitou nova perícia a fim de atestar a necessidade do uso do medicamento. Por se tratar de um medicamento de alto custo, foi possível averiguar que além do valor, os aspectos de eficácia, efetividade e custo-efetividade foram trazidos pelos magistrados em suas justificativas.

Palavras-chave: Judicialização da saúde; Avaliação de tecnologias em saúde; Doenças raras; Zolgensma; atrofia muscular espinhal;



ABSTRACT

The judicialization of access to high-cost drugs for rare genetic diseases that have not been incorporated into the Unified Health System (SUS) such as Zolgensma®, indicated for the treatment of spinal muscular atrophy (SMA), is increasing. An exploratory research was carried out in two stages: the first was based on a literature search on the subject and the second stage was an analysis of judicial decisions as an objective, the research sought to analyze the decisions of the Federal Supreme Court, Superior Court of Justice and Federal Courts of the 1st, 2nd, 3rd, 4th and 5th region and verify the reasons for refusing to supply the Zolgensma® drug, identify whether the concepts of efficacy, effectiveness and cost-effectiveness are used in accordance with the evaluation guidelines technology in health, analyze the laws and guidelines regarding drugs for rare diseases and the unified health system. 22 decisions were identified, 20 of which denied the supply of the drug, 1 granted and 1 requested a new expertise in order to attest to the need to use the drug. As it is a high-cost drug, it was possible to verify that in addition to the value, the aspects of efficacy, effectiveness and costeffectiveness were brought by the magistrates in their justifications.

Keywords: Judicialization of health; Health technology assessment; Rare disease; Zolgensma; Spinal muscular atrophy;



SUMÁRIO

1 INTRODUÇÃO	8
2 METODOLOGIA	11
3 RESULTADOS	12
4 DISCUSSÃO	17
4.1 AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE PARA DOENÇAS RARAS NO SUS	17
4.2 JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE.....	21
5 CONSIDERAÇÕES FINAIS	24
REFERÊNCIAS	26

1 INTRODUÇÃO

A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença neurodegenerativa com herança genética autossômica recessiva. É causada por uma deleção homozigótica do gene de sobrevivência do moto neurônio. Essa alteração genética resulta na redução dos níveis da proteína de sobrevivência do moto neurônio, levando à degeneração de moto neurônios alfa da medula espinhal, o que resulta em fraqueza e paralisia muscular proximal progressiva simétrica (BAIONI, 2010; AMBIEL, 2010). Sua incidência estimada é de 1:6.000 a 1:10.000 nascimentos. A frequência de indivíduos portadores (heterozigotos) da doença é de um para cada 40 a 60 indivíduos (BAIONI, 2010; AMBIEL, 2010).

No Brasil, em 2020, existiam cerca de 7 mil casos com o diagnóstico de AME (ROCHE, 2020). Atualmente, existem três medicamentos aprovados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA, 2020) para o tratamento da atrofia muscular espinhal, conforme quadro abaixo:

Quadro 1- Medicamentos para AME



Medicamento	Tipos	Idade	Atuação no Organismo	Método e Duração do Tratamento
Spinraza (Nusinersena)	IA, I, II, III e IV	Crianças a partir de 2 meses	É uma terapia que aumenta a produção pelo gene SMN2 da proteína SMN funcional. Spinraza é um utilizado para corrigir defeitos em genes como o SMN2.	Administração intratecal. São duas fases: 1º: 4 doses por 2 meses. 2º (manutenção): A partir da quinta dose, a aplicação é feita a cada 4 meses, pelo resto da vida.
Zolgensma	IA e I	Crianças com até 2 anos	É um tratamento que melhora os níveis de proteína SMN funcional através da introdução na célula do paciente de um novo gene SMN1.	Perfusão Intravenosa de dose única.
Evrysdi (Risdiplam)	IA, I, II e III	Adultos e crianças > 2 meses	Terapia que atua no gene SMN2. É uma molécula pequena que faz com que esse gene produza uma proteína SMN mais completa.	Medicação oral de uso diário.

Fonte: SOUZA (2021)

Embora seja aprovado o uso de três medicamentos pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), há apenas um tratamento disponível pelo Sistema Único de Saúde. Desde junho de 2019, há possibilidade do tratamento da AME pelo SUS com o medicamento Spinraza® (Nusinersena), por meio da Portaria nº 1.297, que institui projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde, para oferecer acesso ao medicamento Spinraza® para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do SUS (BRASIL, 2019).

O medicamento Zolgensma® (Onasemnogene abeparvovec), foi lançado em 2019 pela farmacêutica Novartis e atua fornecendo uma cópia totalmente funcional do gene SMN, que ajuda na produção da proteína essencial para a sobrevivência do neurônio motor em quantidade suficiente para o corpo. O gene é entregue nas células alvo, usando um vírus modificado, também chamado de vetor viral, que não causa doenças em seres humanos (NOVARTIS, 2019). Os resultados alcançados a partir dessa terapia são consideravelmente melhores se comparado ao medicamento Spinraza® ofertado pelo SUS (RIERA *et al.*, 2019). Um dos problemas levantados é o valor dessa terapia que custa em média 10 milhões de reais e não é disponibilizada pelo SUS. Além disso, tem o fato de que o tratamento só é aplicável às crianças com idade menor a dois anos, necessitando que todo esse



processo desde a compra do medicamento até sua manipulação seja realizado de forma muito rápida (SOUZA, 2021).

Quando um medicamento é incorporado pelo SUS, ele passa por uma avaliação na Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (BRASIL, 2021), que envolve dois fatores: o primeiro a comparação entre tecnologias -duas ou mais-; o segundo a avaliação entre custo e desfecho, sendo que essa última análise envolve o custo-efetividade e o custo-utilidade (BRASIL, 2021). O custo-efetividade é a comparação entre os custos da tecnologia e suas consequências e é em cima dele que são tomadas as decisões de provimento ou não do medicamento em questão.

No Brasil, foi na promulgação da Constituição Federal de 1988 que a saúde foi considerada um direito através do art. 6º, considerado como um direito fundamental social (JUNIOR; LEIVAS, 2011). No art. 196 encontra-se o dever do Estado na efetivação deste direito constitucional através do Sistema Único de Saúde que foi criado e regulamentado através da Lei nº 8080 de 1990 reafirmando os princípios constitucionais da universalidade, integralidade, igualdade, descentralização e participação social. Por meio desses princípios, fundamenta-se a procura judicial por medicamentos para as doenças raras (JUNIOR; LEIVAS, 2011).

Por ser a lei que dispõe sobre as condições para a proteção, promoção e recuperação da saúde, da organização e do funcionamento dos serviços competentes à área da saúde, a Lei nº 8080/90, trata também da assistência terapêutica e da incorporação de tecnologias em saúde no SUS, ou seja, ela discorre sobre as condições para uma tecnologia em saúde (medicamentos, equipamentos, entre outros) seja incorporada às tecnologias ofertadas de forma gratuita pelo SUS (JUNIOR *et al.*, 2012).

Falando especificamente do tratamento com o Zolgensma®, por ser considerado um medicamento mais eficaz quando comparado às outras possibilidades (VALENCIO, 2019), houve um aumento muito grande na prescrição do Zolgensma® para o tratamento da AME e, por não ser ofertado pelo SUS, notou-se a busca pela via judicial para que o tratamento fosse disponibilizado de forma gratuita pelo governo através do Ministério da Saúde e do SUS.

A judicialização do direito à saúde é quando o cidadão demanda do sistema judiciário que seu direito ao acesso à saúde seja garantido. Segundo Barroso (2012) o termo judicialização significa que algumas questões de grande influência política ou social estão sendo determinadas pelos órgãos do Poder Judiciário, e não pelas instâncias políticas tradicionais como o Congresso Nacional e o Poder



Executivo. A judicialização implica em uma transferência de poder para juízes e tribunais, com impacto significativo na linguagem e na forma de participação da sociedade.

Desde a publicação da Portaria n° 1.297 (BRASIL, 2019) até abril de 2022 é possível encontrar 56 decisões e interpretações do tipo de solicitações da providência do medicamento Zolgensma® analisadas pelo Supremo Tribunal Federal (STF), Superior Tribunal Justiça (STJ) e pelos Tribunais Regionais Federais (TRFs) da 1ª, 2ª, 3ª, 4ª e 5ª região (JUSBRASIL, 2021).

Pretende-se, com esta pesquisa, identificar se as decisões judiciais estão considerando o conceito de custo-efetividade para o fornecimento ou não do medicamento Zolgensma® no Brasil, analisar as decisões do Supremo Tribunal Federal, Superior Tribunal de Justiça e dos Tribunais Regionais Federais (TRF1, TRF2, TRF3, TRF4 e TRF5) e verificar os motivos para recusa do fornecimento do medicamento Zolgensma®, identificar se os conceitos de eficácia, efetividade e custo-efetividade são usados em conformidade com as diretrizes da avaliação de tecnologia em saúde, analisar as leis e diretrizes referentes aos medicamentos para doenças raras e o sistema único de saúde e analisar os laudos NAT-JUS disponibilizados nas sentenças públicas.

Com isso, procura-se compreender melhor o fenômeno da judicialização do acesso ao tratamento da atrofia muscular espinhal e contribuir para a melhoria da assistência de pessoas portadoras da doença.

2 METODOLOGIA

A presente pesquisa caracteriza-se como uma pesquisa exploratória por buscar explorar um problema, procurando uma forma de fornecer informações necessárias para uma futura investigação sobre o tema. Esse tipo de pesquisa refere-se à dados qualitativos e tem como coleta desses dados a pesquisa bibliográfica sobre o tema, além da possibilidade de análises de decisões jurídicas, notas técnicas e realização de estudos de caso (MINAYO, 2013).

Para responder à questão de pesquisa deste artigo: “As decisões judiciais em saúde estão levando em consideração as diretrizes das avaliações de tecnologia em saúde para o tratamento com o medicamento Zolgensma®?”, o estudo foi realizado em duas etapas: a primeira foi baseada em uma pesquisa de literatura sobre o tema e a segunda etapa foi realizada uma análise de decisões judiciais sobre o tema. A coleta de dados para a formulação do referencial teórico e discussão, foi realizada



uma pesquisa, a partir de fontes secundárias, através de levantamento bibliográfico, nas bases de dados “BVS” e “SciELO” que buscou por textos que tivessem no seu título, resumo e/ou assunto algum dos seguintes descritores: “Zolgensma”; “Doenças Raras”; “Diretrizes de Avaliação de Tecnologia”; “Jurisprudência” e “SUS”.

Na segunda etapa, foi realizada a pesquisa exploratória de jurisprudência, onde foram selecionadas decisões, tanto no Supremo Tribunal Federal, Superior Tribunal de Justiça quanto nos Tribunais Regionais Federais 1^a, 2^a, 3^a, 4^a e 5^a região. Como critérios de inclusão se enquadram decisões relacionadas ao fornecimento do medicamento Zolgensma® entre os anos de 2019 e 2022 que tenham sido tomadas pelo colegiado, que são as decisões proferidas por pelo menos 3 magistrados, chamada de acórdão. Em regra, ocorre nos tribunais, seja em decisão de recursos ou ações originárias (Tribunal de Justiça do Distrito Federal e dos Territórios, 2018).

A partir da análise da literatura e das decisões, a temática será discutida em três categorias: análise das decisões do Supremo Tribunal Federal, Superior Tribunal de Justiça e Tribunais Regionais Federais (TRF1, TRF2, TRF3, TRF4 e TRF5), identificação dos conceitos de eficácia, efetividade e custo-efetividade frente à avaliação de tecnologia de saúde e as decisões e análise das leis e diretrizes referentes aos medicamentos para doenças raras e o sistema único de saúde.

3 RESULTADOS

A partir da pesquisa, foram encontradas 56 decisões entre os Supremo Tribunal Federal, Superior Tribunal de Justiça e Tribunais Federais Regionais da 1^a, 3^a, 4^a, e 5^a região, não sendo encontradas decisões relacionadas ao tema no Tribunal Federal da 2^a região para a análise. Como o foco deste trabalho são decisões tomadas pelo colegiado, o número final de decisões que estavam dentro do critério definido foram 22, transcritas na tabela 1 abaixo:

Tabela 1 – Decisões relacionadas ao medicamento Zolgensma®

Nº	Órgão Publicação	Tipo de decisão	Data da	Número processo	Acórdão Julgador
1	TRF1	Agravo de Instrumento	23/11/2021	10310806220214010000	Negou
2	TRF1	Apelação Cível	25/08/2021	10458906120204013400	Concedeu



3	TRF1	Agravo de Instrumento	09/07/2021	10310806220214010000	Negou
4	TRF3	Agravo de Instrumento	03/07/2020	50008609020204030000	Solicita perícia médica
5	TRF3	Agravo de Instrumento	29/12/2021	50341535120204030000	Negou
6	TRF3	Agravo de Instrumento	18/10/2021	50121272520214030000	Negou
7	TRF4	Agravo de Instrumento	15/12/2021	50329534520214040000	Negou
8	TRF4	Apelação Cível	23/06/2021	50108800920184047009	Negou
9	TRF4	Apelação Cível	05/10/2021	0549133420204047100	Negou
10	TRF4	Apelação Cível	14/09/2021	50037188220214047000	Negou
11	TRF4	Agravo de Instrumento	29/06/2021	50535567620204040000	Negou
12	TRF4	Agravo de Instrumento	11/05/2021	50079800420194047111	Negou
13	TRF4	Agravo de Instrumento	17/11/2020	50408661520204040000	Negou
14	TRF4	Apelação/Remessa Necessária	30/06/2020	50191580620204040000	Negou
15	TRF5	Agravo de Instrumento	08/02/2022	0809233742021450000	Negou
16	TRF5	Agravo de Instrumento	09/12/2021	08093994320204050000	Negou
17	TRF5	Apelação Cível	31/08/2021	08165404520204058300	Negou
18	TRF5	Apelação Cível	12/08/2021	08010733820204058102	Negou
19	TRF5	Agravo de Instrumento	15/12/2020	08053886820204050000	Negou
20	TRF5	Agravo de Instrumento	26/04/2022	08147696620214050000	Negou



Foram analisadas 3 decisões do TRF1, 3 decisões do TRF3, 8 decisões do TRF4 e 6 decisões do TRF5, sendo que das 20 decisões analisadas, 1 decisão concedeu o medicamento Zolgensma®, 18 negaram e 1 solicitou nova perícia para averiguar se há a necessidade do uso do medicamento. Os recursos julgados pelos órgãos colegiados dos tribunais, cujos acórdãos foram analisados, foram propostos tanto pelas partes responsáveis pelas crianças quanto pelos Estados ou pela União Federal. Os recursos foram interpostos contra decisões que concederam ou não concederam pedido do fornecimento do medicamento.

O número de decisões que negaram o fornecimento do medicamento (n=18/20) é expressivamente maior que as que concedem o mesmo (n=1/20). A fim de compreender os motivos que levaram à recusa do fornecimento, elaborou-se então a tabela 2 com os aspectos mais utilizados pelos magistrados nas promulgações das decisões:

Tabela 2 - Aspectos considerados pelos magistrados no embasamento de sua decisão

Aspectos usados pelos magistrados	Decisões desfavoráveis	Decisões favoráveis
Aspectos legais e constitucionais:		
Direito à vida	6	1
Artigo 196 CF	5	0
Tema 106 STJ	4	0
Tema 793 STF	1	0
Aspectos técnico-científicos:		
Eficácia	9	1
Falta de segurança da terapia	2	0
Consideram a terapia segura	0	1
Relatório médico favorável	4	1
Relatório médico desfavorável	3	0
Nota técnica Nat-Jus favorável	0	0
Nota técnica Nat-Jus desfavorável	1	0



Existência de uma terapia disponível no SUS	9	0
Falta de relatório de incorporação da CONITEC	5	0
Falta de evidência da superioridade da medicação em relação ao fornecimento pelo SUS	7	0
Aspectos de indicação do uso:		
Idade e Peso acima do indicado da bula	3	0
Idade e peso indicados na bula	0	1
Influência na ordem financeira ou impacto no orçamento público	19	1
Custo-efetividade	2	0

Fonte: Adaptado de JUNIOR *et al.* (2012)

A partir da tabela, foi possível averiguar que o aspecto do alto custo e o impacto financeiro do medicamento no orçamento público aparece como argumento em 17 das 18 decisões (n=17/18) que não concederam o medicamento. Como dito anteriormente, o Zolgensma® é uma terapia que custa em média 10 milhões de reais, o alto preço do medicamento torna o tratamento inviável para os bebês menores de dois anos acometidos pela AME, mesmo que esses tenham boas condições financeiras (AMORIM, 2020).

O segundo argumento mais utilizado foi a falta de eficácia comprovada da tecnologia (n=9/18). Este argumento tem respaldo em documento da CONITEC, segundo o qual o grupo de terapias avançadas, que o Zolgensma® se enquadra, são tecnologias que, por serem inovadoras, oferecem possibilidades de tratamento para doenças graves. Todavia, as evidências que indicam essas vantagens inovadoras são limitadas. Pois observa-se que há uma certa flexibilidade no rigor metodológico aceito pelas agências regulatórias para o registro dos produtos de terapias avançadas em comparação com outros produtos biológicos, especialmente em relação ao desenho do estudo e aos desfechos clínicos. Tal flexibilidade, gera insegurança nos dados coletados e, conseqüentemente, limita a qualidade dos dados como desfecho esperado e eficácia do medicamento (CONITEC, 2021). Por desfecho clínico, entende-se que é o resultado medido no final do estudo, dado de suma importância para ser calculada a eficácia, efetividade e o custo-efetividade de uma tecnologia, que acaba se tornando uma



barreira quando falamos de tecnologias avançadas de saúde. Aqui, conforme os argumentos trazidos na tabela 2, embora três magistrados (n=3/18) tenham trazido a questão do custo-efetividade, a falta de estudos que corroborem um desfecho esperado no tratamento da AME com Zolgensma®, torna inviável a aplicação do conceito de custo-efetividade em conformidade com a concepção do termo pela CONITEC, pois ao não ter certeza do desfecho esperado, não é possível medir o custo frente a isso, o que responde à questão principal dessa pesquisa (CONITEC, 2021). Como já foi citado anteriormente, o medicamento Spinraza® está disponível pelo Sistema Único de Saúde desde o ano de 2019 como alternativa para o tratamento da atrofia muscular espinhal com diagnóstico até os dois anos de idade. A aprovação da incorporação deste medicamento tanto na ANVISA quanto na CONITEC, gera o questionamento da superioridade do Zolgensma® em relação a ele, sendo esse outro argumento utilizado nas decisões (n=7/18).

O direito à vida, presente no Art. 5º da CF, aparece em 6 das 18 (n=6/18) decisões que negaram. Já o Art. 196 da CF aparece em 5 das 18 (n=5/18) decisões. Ele dispõe que a saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação. A fim de negar com base nos dois artigos, a quinta turma do TRF4 (2021), decisão número 14 da tabela 1, levanta que não se trata de direitos absolutos, uma vez que é descabido exigir do Estado custear todo e qualquer tratamento de saúde aos cidadãos, sob pena de instaurar uma desordem administrativa e inviabilizar o funcionamento do SUS, considerando o altíssimo custo do medicamento.

O tema 106 do STJ foi usado como justificativa em 4 das 18 decisões (n=4/18) que não concederam o medicamento. A tese trazida pelo tema aborda que a concessão dos medicamentos não incorporados em atos normativos do SUS exige a presença cumulativa dos seguintes requisitos:

I) Comprovação, por meio de laudo médico fundamentado e circunstanciado expedido por médico que assiste o paciente, da imprescindibilidade ou necessidade do medicamento, assim como da ineficácia, para o tratamento da moléstia, dos fármacos fornecidos pelo SUS; II) incapacidade financeira de arcar com o custo do medicamento prescrito; III) existência de registro do medicamento na ANVISA, observados os usos autorizados pela agência. (BRASIL, 2018, p. 5)

Considerando que o Zolgensma® possui registro na ANVISA desde 17 de agosto de 2020 e que seu custo é altíssimo, o uso de tal tema justifica-se principalmente no requisito onde exige um laudo médico atestando a imprescindibilidade do medicamento e a ineficácia do fármaco fornecido pelo



SUS. Cabe aqui ressaltar que, na tomada da decisão, o magistrado apoia-se em relatórios de médicos e da perícia do Núcleo de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NAT-Jus). Tal perícia fornece notas e respostas técnicas com fundamentos científicos que auxiliam na análise de pedidos que envolvem intervenções médicas e fornecimento de medicamentos. Os documentos são emitidos pela equipe técnica formada por profissionais de saúde do Tribunal de Justiça que contam com o auxílio de especialistas que atuam em instituições conveniadas ao NAT-Jus (Tribunal de Justiça do Estado de São Paulo).

A falta relatório médico favorável foi usada como argumento em 3 das 18 (n=3/18) decisões que negaram o fornecimento. Embora 4 decisões tivessem relatório médico favorável, os demais argumentos fizeram com que o magistrado negasse o fornecimento. 1 dos 18 acórdãos 17 (n=1/18) citaram diretamente o relatório desfavorável do NAT-Jus quanto ao fornecimento do medicamento. É considerado também nos argumentos de 1 das 18 decisões (n=1/18), o tema 793 do STF, que dispõe sobre os entes da federação, em decorrência da competência comum, são solidariamente responsáveis nas demandas prestacionais na área da saúde, e diante dos critérios constitucionais de descentralização e hierarquização, compete à autoridade judicial direcionar o cumprimento conforme as regras de repartição de competências e determinar o ressarcimento a quem suportou o ônus financeiro (STF, 2022).

A idade superior à indicada na bula foi justificada em 3 das 18 decisões que negaram (n=3/18), pois, a criança era maior de dois anos, idade indicada na bula brasileira do medicamento. A bula brasileira do medicamento informa que Zolgensma® é indicado para o tratamento de bebês e crianças pequenas (menores de 2 anos) que sejam portadores da doença hereditária rara e grave chamada de atrofia muscular espinhal (AME) (Novartis, 2019). Quando usada como justificativa pelos magistrados, a criança já tinha dois anos de idade ou mais.

4 DISCUSSÃO

4.1 AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIA EM SAÚDE E O SUS (ATS)

Avaliação de tecnologias em saúde (ATS) é a análise e síntese contínuas dos benefícios para a saúde produzidos pela utilização de tecnologias como equipamentos, medicamentos, procedimentos e modelos técnico-assistenciais, na saúde das pessoas, juntamente ao estudo das consequências econômicas e sociais que o uso desta tecnologia produz (Marcelo Eidi Nita et al., 2010).

A Lei 8.080 criada pelo SUS tem como princípio a integralidade, equidade e universalidade, respeitando e visando a Constituição de 1988 a saúde é um direito de todos. A Universalidade define



que a saúde deve ser acessada por todos os cidadãos do país; a Equidade visa oferecer saúde sem diferença entre os pacientes, sem distinguir populações conforme seu grupo social, demográfico, econômico e geográfico; já a Integralidade visa identificar o indivíduo como um ser biopsicossocial a partir de sua essência e humanidade. Esses princípios visam uma prática concreta de forma a oferecer saúde a todos no Brasil.

Dentro desses princípios se inclui a obrigatoriedade do acesso à medicamentos, sendo assegurado pelas seguintes políticas públicas: Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. No entanto, o SUS vem tendo dificuldades para assegurar esses princípios e o seu financiamento. A partir de pesquisas científicas estão sendo produzidas alternativas para detectar a prevenção e o tratamento de doenças, buscando formas mais práticas e baratas para auxiliar nos princípios do SUS, todavia as restrições orçamentárias não permitem que os sistemas de cuidado à saúde ofereçam todas as intervenções para todos os pacientes.

Por conta disso e visando as avaliações de tecnologias em saúde, buscando melhor adequação dos recursos financeiros da saúde, surgiu a CONITEC, que em 2011, definiu os critérios e prazos para a inclusão das tecnologias no SUS a partir da Avaliação Tecnológica em Saúde (ATS), que sintetiza e analisa estudos e conhecimentos produzidos sobre tecnologias médicas e produz subsídios técnicos importantes para a inserção de tecnologias na saúde.

A ATS compreende muitas dimensões, principalmente as de acurácia (de tecnologias diagnósticas), eficácia (probabilidade de benefício de uma tecnologia em condições ideais), segurança (probabilidade de efeitos colaterais e adversos), efetividade (probabilidade de benefício em condições ordinárias, locais), custo-efetividade, custo-utilidade, impacto, equidade e ética.

Segundo o Manual Avaliação de Tecnologias em Saúde Ferramentas para a Gestão do SUS do Ministério da Saúde, eficácia é a probabilidade de que indivíduos de uma população definida obtenham um benefício da aplicação de uma tecnologia a um determinado problema em condições ideais de uso (BRASIL, 2009). Enquanto por efetividade, o Ministério da Saúde, entende que é a probabilidade de que indivíduos de uma população definida obtenham um benefício da aplicação de uma tecnologia a um determinado problema em condições normais de uso (BRASIL, 2009). Efetividade é o que tem a habilidade de ser eficiente e eficaz ao mesmo tempo. Efetividade consiste em fazer o que deve ser feito, com qualidade, utilizando os recursos da melhor maneira possível para atingir o objetivo inicialmente proposto (TRF3, 2020). Quando são medidos os resultados alcançados



pela tecnologia em relação aos benefícios ou mudanças geradas (ANVISA, 2020; SANO; FILHO, 2013).

Já o custo-efetividade é entendido como um indicador econômico da eficiência de uma tecnologia em saúde (CANUTO, 2010).

Segundo Canuto (2010, p. 5):

A análise custo-efetividade (ACE) é uma forma de avaliação econômica completa na qual se examinam tanto os custos como as consequências (desfechos) de programas ou tratamentos de saúde. O resultado da ACE é expresso, por exemplo, em custo por ano de vida ganho.

Em suma, a ACE, é a metodologia de síntese utilizada na produção de uma ATS, é uma avaliação microeconômica, estabelecendo uma análise comparativa de cursos alternativos de ação tanto em termos de custos como de consequências: a diferença de custos (custo incremental) é comparada com a diferença de consequências na forma de razão entre a diferença de custos e a diferença de consequências (CANUTO, 2010, p. 5). A ACE pressupõe uma escolha entre as intervenções, assumindo a escassez de recursos disponíveis. Na ACE em saúde, as consequências das alternativas de procedimentos ou programas sob comparação geralmente se referem a um único efeito de saúde de interesse (mortalidade ou morbidade, mas pode se referir a vários) que é atingido em diferentes graus pelas opções comparadas e é medido em unidades naturais, como número de mortes evitadas, número de anos de vida ganho, número de dias com incapacidade, número de partos prematuros evitados ou número de fraturas evitadas, sendo os custos das alternativas medidos em unidades monetárias (CANUTO, 2010, p. 5).

Uma importante questão analisada na ATS e na CONITEC são os medicamentos e tratamentos para as doenças raras, que tem origem genéticas e na maior parte das vezes incapacitante, que afeta a expectativa de vida e acaba prejudicando as habilidades físicas e mentais. No entanto, essas doenças acabam sendo negligenciadas, tanto pelo sistema de saúde, quanto pelas indústrias farmacêuticas, sendo considerado um grande problema de saúde pública.

Pensando nesses aspectos e na distribuição de medicamentos para os pacientes com essas doenças, foi criada, em 2014, a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para Bligia et al. (2021):

Esta Política apresenta como um dos princípios norteadores a incorporação de medicamentos voltados para as doenças raras e indicados no âmbito do SUS, que devem ser resultado das recomendações formuladas por órgãos governamentais a partir do processo de avaliação e aprovação pela CONITEC.



A aprovação desses medicamentos para doenças raras deve seguir os principais processos de seleção de prioridades de avaliação:

1) gravidade e prevalência da condição de saúde (magnitude do problema, indicadores de morbimortalidade e de incapacidade, carga de doença e fatores de risco da doença ou agravo para o qual a tecnologia está sendo indicada); 2) custo social da condição de saúde; 3) potencial dos resultados do estudo para melhorar o resultado/benefício para a saúde; 4) potencial dos resultados do estudo para mudar os custos para o sistema de saúde; 5) potencial dos resultados do estudo para contribuir para a melhoria da qualidade da assistência; 6) potencial dos resultados do estudo em reduzir os riscos para a Ciência e Tecnologia em Saúde; 7) custo unitário ou agregado da tecnologia frente à demanda de utilização; 8) controvérsia ou grande interesse entre os profissionais da saúde; 9) exigência de ações do Estado. (BRASIL, 2007)

A Política Nacional de Atenção às Pessoas com Doenças Raras norteou caminhos e metas para que houvesse a priorização de alguns protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT). A partir da necessidade de acelerar a chegada dos medicamentos órfãos criada após essa Política de 2014, a ANVISA, com a RDC 205/17, estipulou um procedimento para registro de medicamentos órfãos: os medicamentos registrados por meio de critérios pré-estabelecidos, seriam priorizados tendo o prazo de até 365 dias para serem comercializado.

Segundo Biglia et al (2020), de julho de 2012 a junho de 2019, foram realizadas 61 avaliações de incorporação de medicamentos para doenças raras no SUS, sendo que apenas 20 apresentaram recomendação inicial pré-consulta pública positiva. Entretanto, após consulta pública, houve uma inversão nestes números, e, desta forma, 32 passaram a ter recomendação positiva, sendo de fato incorporadas ao SUS.

Em outubro de 2020, o Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS-HSL), confeccionou um parecer técnico-científico (PTC), que é o documento inicial para avaliação de incorporação de uma tecnologia em saúde. Tais pareceres podem resultar em conclusões suficientes para indicar e embasar cientificamente a tomada de decisão ou, de modo contrário, apenas identificar que as evidências disponíveis são insuficientes (em termos de quantidade e/ou qualidade) e sugerir que estudos apropriados sejam planejados e desenvolvidos.

Contudo, mesmo que o PTC relacionado à incorporação do Zolgensma® ao SUS tenha sido feito em 2020, somente no dia 24 de maio de 2022, a CONITEC iniciou a avaliação da demanda de incorporação do medicamento no SUS para o tratamento da AME. Entre os dias 22 de junho de 2022 até o dia 03 de julho de 2022, foi realizada a chamada pública nº27/2022 para cadastros de pacientes,



familiares, tutores, cuidadores e representantes de associações de pacientes para que estes possam se inscrever e trazerem suas perspectivas em relação à tecnologia demandada na reunião da CONITEC. Tal chamada, tem por finalidade trazer o ponto de vista da sociedade civil no processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS), pois a CONITEC considera que todos os aspectos ligados à vida real trazem considerações importantes para o processo da avaliação da tecnologia.

Autores como Zenker (2009) afirmaram que poucas foram as medicações já incluídas no SUS, a principal medicação utilizada para doenças raras e o foco deste estudo é o Zolgensma®. Isso se deve porque o SUS, mesmo com a criação Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, não possui políticas farmacêuticas específicas para essas doenças, pois a produção desses medicamentos pelo SUS demanda recursos altos e escassos no sistema. Por conta dessa falta de políticas específicas frente a esses medicamentos, os pacientes com doenças raras acabam tentando acesso a este medicamento de forma judicial.

4.2 JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

Através da criação e do fortalecimento do Estado Moderno passou a predominar o uso da razão e, por consequência, o Estado passou a adotar mecanismos legais e legítimos “para entrar na vida do indivíduo, principalmente, em virtude do fundamento de que a atuação estatal é sempre voltada para o atendimento do interesse comum”. Com isso, é possível compreender que por meio da criação do ordenamento jurídico do estado tornou-se possível o Estado de forma legítima intervir na vida das pessoas e coletividade e, conseqüentemente, o Estado se tornou o responsável pela criação das normas e sua respectiva aplicação, passando a ter a responsabilidade de dirimir todo tipo de conflito. Isto posto, nota-se que foi a partir da incumbência assumida pelo Estado em criar as normas e aplicá-las que houve a supervalorização do Poder Judiciário e desencadeou o fomento ao fenômeno da judicialização (Dantas et al, 2020).

Para Ribeiro (2014) alguns pacientes fazem uso do poder judiciário, Ministério Público e Defensoria Pública para garantir seus direitos ao acesso à saúde. Debater sobre a judicialização da saúde requer uma análise referente ao acesso universal à saúde e ao direito à medicamentos e tratamento. Já Simões (2055), afirma que a judicialização da saúde no Brasil trouxe o tema do efetivo cumprimento do direito fundamental à saúde para o foco do debate nas instituições responsáveis pela gestão das políticas públicas.



É possível identificar cada vez mais pedidos judiciais buscando a solicitação de contribuições estatais frente à tratamentos e medicamentos que não são disponibilizados pelo SUS. Verificou-se que em 2016 as demandas judiciais na saúde atingiram R\$1,3 bilhões de gastos, 90% desse valor por conta da disponibilidade de medicamentos incluídos na lista dos mais caros do mundo. Desse modo Barroso (2012) aponta que um dos principais fatores que motivam a alta da judicialização da saúde no País, origina-se do processo de redemocratização do Estado, diante da promulgação da Constituição de 1988, fazendo-se com que o judiciário tenha se tornado nos últimos anos, um legítimo poder político, atribuindo eficácia às leis e à Constituição Federal.

Segundo Leivas (2012), as inovações constitucionais relativas à previsão da saúde como direito fundamental social e a ausência de uma política pública de saúde capaz de concretizar os princípios da universalidade e da integralidade contribuíram para o desenvolvimento do chamado fenômeno da judicialização da saúde, onde demandas ao Judiciário passaram a buscar a satisfação de necessidades não atendidas pelo Estado, em que pese a sua atribuição para tanto.

O poder judiciário atua como um órgão julgador das demandas ajuizadas pelos cidadãos, em que o pedido pode ser acatado ou não de acordo com as interpretações legais realizadas pelos tribunais. Nesse sentido, importa salientar a previsão Constitucional, trazida pelo artigo 5º, inciso XXXV (BRASIL, 1988):

Art. 5º Todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida, à liberdade, à igualdade, à segurança e à propriedade, nos termos seguintes: XXXV - a lei não excluirá da apreciação do Poder Judiciário lesão ou ameaça a direito;

Está presente na Constituição Federal que os agentes envolvidos Ministério da Saúde, Sistema Único de Saúde, estados e municípios devem seguir as leis, normas e diretrizes brasileiras para o provimento do direito ao cidadão brasileiro. Quando falamos de usuários portadores de doenças raras que exigem o tratamento com medicamentos de alto custo não disponíveis no SUS fica claro que ao se verem impossibilitados de obter esse direito de forma convencional, recorrem à justiça para garantir o tratamento indicado pelo médico.

Como visto anteriormente, o acesso ao Zolgensma® se dá através da judicialização do pedido. Segundo Biglia et al, a participação dos medicamentos órfãos nos gastos em saúde por via judicial já representa 90% do custo total, com metade dos medicamentos mais judicializados em 2016 sendo para tratamento de doenças raras. Desta forma, nota-se que, mesmo com a existência de uma portaria



voltada para o cuidado com as pessoas acometidas por doenças raras, existe um alto gasto com aquisição de medicamentos para esse grupo de doenças por parte da União.

Conforme aponta Barroso (2012) algumas questões que possuem ampla repercussão social e política estão sendo decididas pelo Poder Judiciário, ao invés de serem resolvidas pelos poderes convencionais, no caso o Poder Executivo e o Congresso Nacional. Pode-se compreender a judicialização da saúde como um mecanismo legal do qual o cidadão utiliza para reivindicar ao Estado, detentor do poder/dever de garantir o direito à saúde, o acesso a um tratamento ou medicamento específico que não está resguardado pelo SUS.

Cabe ao Judiciário assumir um papel mais politizado, de forma que não apenas julgue o certo e o errado conforme a lei, mas, sobretudo, examine se o poder discricionário de legislar está cumprindo a sua função de implementar os resultados objetivados pelo Estado Social. Ou seja, não se atribui ao Judiciário o poder de criar políticas públicas, mas sim a responsabilidade de garantir a execução daquelas já estabelecidas nas leis constitucionais ou ordinárias.

Sabemos que há um gasto máximo governamental destinado para cada área, também conhecido como teto de gastos e, no caso da saúde, o valor para o ano de 2022 foi de R\$160,4 bilhões em 2022 (Federação das Santas Casas, 2022). Quando um orçamento é limitado, gastos extras, como o com judicialização, levam a um debate importante que todo gestor em saúde faz: efetivar o direito social constitucional do acesso universal à saúde de um cidadão, mesmo que esse demande um valor altíssimo, como no caso do portador da atrofia muscular espinhal ou usar o valor para garantir o acesso à saúde a uma população maior.

Leivas (2006) trabalha o conceito de direito *prima facie* com o significado de que o fato de um princípio valer para uma situação, não faz com que ele valha como resultado definitivo, ou seja, que os princípios apresentam razões que podem ser transpostas por outras razões opostas. Com isso, o direito à saúde previsto na Constituição brasileira é considerado um direito *prima facie*, que vale como razão a favor da realização do seu conteúdo normativo, que pode ser o mais amplo possível, mas que pode ser deslocada por princípios opostos. Segundo Sarlet e Figueiredo (2008), a reserva do possível não impede o poder Judiciário de “zelar pela efetivação dos direitos sociais”, mas deve fazê-lo com cautela e responsabilidade, considerando o problema da escassez de recursos.

Para Sarlet e Figueiredo (2008) os direitos sociais possuem uma limitação para que ocorra sua efetivação, que está nos recursos disponíveis pelo Estado para o cumprimento com suas obrigações. Para além dessa limitação, mesmo que o Estado tenha os recursos disponíveis, esbarra na



possibilidade jurídica do Estado de usufruir deles. Essas duas limitações chamamos de “reserva do possível”.

Tal conceito teórico foi criado na doutrina alemã e propagou-se por volta dos anos 1970, e compreende como “àquilo que o indivíduo pode razoavelmente exigir da sociedade”. Partindo disso, o texto apresenta uma dimensão tríplice da reserva do possível: a primeira é a efetiva existência de recursos para garantia dos direitos fundamentais; a segunda está na liberdade jurídica para dispor desses recursos, quando pensado na distribuição de receitas, orçamentos, entre outros e, por fim, se há razoabilidade no que está sendo pedido.

Um possível solução para que seja viabilizado o atendimento do usuário que necessita de medicamentos de alto custo está na tramitação do projeto de Lei 179/21, onde há a intenção de instituir o Programa de Apoio às Campanhas de Doações para Aquisição de Medicamentos de Alto Custo (PACMAC), com a finalidade de incentivar as doações para compra de medicamentos de alto custo que ainda não tenham sido incorporados ao Sistema Único de Saúde (SUS), com essa regulamentação, será possível arrecadar fundos para compra dos medicamentos. Os recursos das doações vão formar um fundo que será administrado pelo Ministério da Saúde. A distribuição do dinheiro acontecerá através de projetos destinados à oferta de medicamentos de alto custo, visando atender todo o País (AGÊNCIA CÂMARA DE NOTÍCIAS, 2021).

É natural que um medicamento de altíssimo custo e que não seja fornecido pelo SUS, como o Zolgensma® gere uma grande procura através da via judicial para o recebimento dele. Conforme trazido ao longo da discussão, o Estado é responsável por promover políticas públicas de saúde bem como garantir que as já existentes funcionem e garantam o acesso do usuário. Todavia, nota-se que, embora existam inúmeras dificuldades no que tange a assistência de portadores de doenças raras no SUS, há um movimento por parte dos legisladores e governantes para ampliar e qualificar tal atendimento no SUS através da criação de normas regulamentadoras e políticas públicas para isso. Garantir o funcionamento do atendimento desses pacientes reflete não só no cumprimento dos direitos, mas também na redução do uso da judicialização como via para garantir o direito à saúde constitucionalmente previsto.



5 CONSIDERAÇÕES FINAIS

Considerando a limitação trazida por estudos clínicos de tecnologias avançadas em seu desfecho, é natural que os magistrados questionem a eficácia do tratamento com o Zolgesma®, bem como não consigam discutir sobre a análise do custo-efetividade em conformidade com o conceito utilizado para avaliação de tecnologias em saúde pela CONITEC em suas decisões. Ao analisar os acórdãos, foi possível verificar que os magistrados se apoiam em pareceres técnicos dos médicos que, em sua grande maioria, sugerem o não fornecimento pela falta de evidência da eficácia do medicamento.

Conforme trazido no decorrer do trabalho, o direito à saúde é uma garantia constitucional prevista no Art.º 196 da CF. É sabido também que, em muitos casos, a ação do judiciário é imprescindível para resolver algumas questões e garantias constitucionais no âmbito da saúde. Notase que a judicialização do direito à saúde ocorre quando não há efetividade no cumprimento das políticas estabelecidas pelo Estado.

É notória a busca por melhoria no atendimento dessa população por meio de Políticas e Resoluções, embora ainda não sejam contemplados pelos três princípios do SUS: equidade, universalidade e integralidade. Sendo o último, o mais distante de alcançar, pois há dificuldade de organizar um sistema que consiga cuidar do paciente portador de uma doença rara em sua totalidade.

O maior dilema do gestor em saúde está justamente no equilíbrio entre a garantia do direito à saúde individual frente ao direito coletivo ao acesso à saúde. Quando usada a via judicial para garantia de um direito como o recebimento de um medicamento de uma doença rara de altíssimo custo como o Zolgensma®, esbarramos não apenas na questão do direito à saúde, mas também na reserva do possível, orçamentos e na separação dos poderes Executivo, Legislativo e Judiciário além da dificuldade de medir o desfecho esperado de uma tecnologia de altíssimo custo.

Infelizmente, a resolução da questão entre a garantia do direito à saúde por parte do SUS e a judicialização de um direito individual não é tão simples quanto aparenta ser. A partir da pesquisa realizada pôde-se identificar que, assim como a incorporação de tecnologias envolve a sociedade civil, cientistas e profissionais da área, a solução mais adequada para resolver a questão das doenças raras no SUS deve incluir todos os entes interessados pelo tema.

Contudo, no final, cabe ao Estado brasileiro a tomada de decisão relacionada à destinação, aplicação e fiscalização do dinheiro destinado ao cumprimento de políticas públicas. Uma gestão



adequada e ampliação do orçamento, possivelmente, aumentariam a probabilidade do cumprimento do direito à saúde a uma porção maior da sociedade brasileira.

REFERÊNCIAS

- ANVISA. Aprovado registro de produto de terapia gênica. **Agência Nacional de Vigilância Sanitária**, 2020. Disponível em: http://antigo.anvisa.gov.br/resultado-debusca?p_p_id=101&p_p_lifecycle=0&p_p_state=maximized&p_p_mode=view&p_p_col_id=column1&p_p_col_count=1&_101_struts_action=%2Fasset_publisher%2Fview_content&_101_assetEntryId=5989035&_101_type=content&_101_groupId=219201&_101_urlTitle=aprovado-registro-deproduto-de-terapia-genica&inheritRedirect=true. Acesso em: 14 abr. 2022.
- BAIONI, M.; AMBIEL, C. Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. **Pediatria**, v. 86, n. 4, p. 261-270, 2010. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/jped/a/wfPCsMcS4z6xcRVNxct8btf/?lang=pt>. Acesso em: 3 abr. 2022.



BARROSO, L. Judicialização, ativismo judicial e legitimidade democrática. **Revista do Tribunal Regional Eleitoral do Ceará**, v. 5, n. 1, 2012. Disponível em: <https://bibliotecadigital.tse.jus.br/xmlui/handle/bdtse/5498>. Acesso em: 22 mar. 2022.

BIOGEN. **Bula Spinraza®**. 2017. Disponível em: [https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt_BR/PDF_products/2020/SPINRAZA\(nusinersena\)_Bula_Profissionalde_saude.pdf](https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt_BR/PDF_products/2020/SPINRAZA(nusinersena)_Bula_Profissionalde_saude.pdf). Acesso em: 20 mar. 2022.

BLIGIA, L. *et al.* Incorporações de medicamentos para doenças raras no Brasil: é possível acesso integral a estes pacientes? **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 26, n. 11, p. 547-5560, 2021. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/csc/a/FwmJkgYLBjC9sBc4mTsXTFM/abstract/?lang=pt>. Acesso em: 3 mar. 2022.

BRASIL. **Constituição da República Federativa do Brasil**, de 1988. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao.html. Acesso em: 15 mar. 2022.

BRASIL. Código de Processo Penal. **Decreto Lei N° 8.080**, de 19 de setembro de 1990. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/18080.htm. Acesso em: 18 abr. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria-Executiva. Área de Economia da Saúde e Desenvolvimento. **Avaliação de tecnologias em saúde: ferramentas para a gestão do SUS** / Ministério da Saúde, Secretaria-Executiva, Área de Economia da Saúde e Desenvolvimento. – Brasília: Ministério da Saúde, 2009. 110f. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/avaliacao_tecnologias_saude_ferramentas_gestao.pdf. Acesso em: 28 mar. 2022.

BRASIL. Código de Processo Penal. **Decreto Lei N° 12.401**, de 28 de abril de 2011. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/lei/112401.htm. Acesso em: 5 mar. 2022.

BRASIL. Tribunal Regional do Rio de Janeiro **REsp 1657156/RJ, 2018**. Disponível em: https://processo.stj.jus.br/repetitivos/temas_repetitivos/pesquisa.jsp?novaConsulta=true&tipo_pesquisa=T&cod_tema_inicial=106&cod_tema_final=106. Acesso em: 14 mai. 2022.

BRASIL. Diário Oficial da Nação. **Portaria N° 1.297**, de 11 de junho de 2019. Disponível em: <https://www.in.gov.br/web/dou/-/portaria-n-1.297-de-11-de-junho-de-2019-163114948>. Acesso em: 22 abr. 2022.

BRASIL. Tribunal de Justiça. **Tema 500 – STF – Trânsito em Julgado**. Rondônia: Tribunal de Justiça, 2020a. Disponível em: <https://www.tjro.jus.br/nugep-conteudo-atualizacoes/item/13704tema-500-stf-transito-em-julgado, 2020a>. Acesso em: 3 jun. 2022.



BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde. **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5Q**. Brasília: Ministério da Saúde, 2020b. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Publicacoes_MS/PCDT_Atrofia-Muscular-Espinhal-5qtipo-I-ISBN_final.pdf. Acesso em: 14 abr. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde. **Relatório de recomendação: Nusinersena para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo II e III (início tardio)**. Brasília: Ministério da Saúde, 2021a. 94f. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2021/20210602_Relatorio_595_nusinersena_AME5Q_2e3_P_26.pdf. Acesso em: 20 jun. 2022.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde. **Diretrizes metodológicas: elaboração de pareceres técnico-científicos**. Brasília: Ministério da Saúde, 2021b. 122f. Disponível em: https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes_metodologicas_elaboracao_parecer_tecnico.pdf. Acesso em: 7 abr. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 5ª região (3ª turma)**. Agravo de instrumento nº 0809399-43.2020.4.05.0000. Disponível em: <https://pje.trf5.jus.br/pjeconsulta/ConsultaPublica/DetalleProcessoConsultaPublica/listView.seam?signedIdProcessoTrf=08f80c6987d669c2115d9f925c5a28eb>. Acesso em: 20 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 5ª região**. Apelação cível nº 0816540-45.2020.4.05.8300. Disponível em: <https://pje.trf5.jus.br/pjeconsulta/ConsultaPublica/DetalleProcessoConsultaPublica/listView.seam?signedIdProcessoTrf=22d7a4ebb1ed7b53633c8901bcf07b2b>. Acesso em: 20 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 5ª região**. Apelação cível nº 0801073-38.2020.4.05.8102. Disponível em: <https://pje.trf5.jus.br/pjeconsulta/ConsultaPublica/DetalleProcessoConsultaPublica/listView.seam?signedIdProcessoTrf=f139ddc12ddd7d4f355786c7b0151c6b>. Acesso em: Acesso em: 20 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 5ª região (4ª turma)**. Agravo de instrumento nº 0805388-68.2020.4.05.0000. Disponível em: <https://pje.trf5.jus.br/pjeconsulta/ConsultaPublica/DetalleProcessoConsultaPublica/listView.seam?signedIdProcessoTrf=dc07bbd29609ecf4d75be07b405c6d8a>. Acesso em: 20 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 5ª região (4ª turma)**. Agravo de instrumento nº 0814769-66.2021.4.05.0000. Disponível em:



<https://pje.trf5.jus.br/pjeconsulta/ConsultaPublica/DetalheProcessoConsultaPublica/listView.seam?signedIdProcessoTrf=b5cab049ae6fc9f03934e78e6663be53>. Acesso em: 20 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 4ª região** (6ª turma). Agravo de instrumento nº 5032953-45.2021.4.04.0000/RS. Disponível em: https://jurisprudencia.trf4.jus.br/pesquisa/inteiro_teor.php?orgao=1&numero_gproc=40002941583&versao_gproc=5&crc_gproc=8d37f9a7&termosPesquisados=em9sZ2Vuc21hIA==. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 4ª região** (6ª turma). Agravo de instrumento nº 5032953-45.2021.4.04.0000/RS. Disponível em: https://jurisprudencia.trf4.jus.br/pesquisa/inteiro_teor.php?orgao=1&numero_gproc=40002941583&versao_gproc=5&crc_gproc=8d37f9a7&termosPesquisados=em9sZ2Vuc21hIA==. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 4ª região** (5ª turma). Apelação cível nº 5054913-34.2020.4.04.7100/RS. Disponível em: https://jurisprudencia.trf4.jus.br/pesquisa/inteiro_teor.php?orgao=1&numero_gproc=40002861098&versao_gproc=3&crc_gproc=07f3d46f&termosPesquisados=em9sZ2Vuc21hIA==. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 4ª região** (5ª turma). Pedido de efeito suspensivo à apelação nº 5028540-86.2021.4.04.0000/RS. Disponível em: https://jurisprudencia.trf4.jus.br/pesquisa/inteiro_teor.php?orgao=1&numero_gproc=40002862114&versao_gproc=3&crc_gproc=ebb7432f&termosPesquisados=em9sZ2Vuc21hIA==. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 4ª região**. Apelação cível nº 5003718-82.2021.4.04.7000/PR. Disponível em: https://jurisprudencia.trf4.jus.br/pesquisa/inteiro_teor.php?orgao=1&numero_gproc=40002761260&versao_gproc=5&crc_gproc=dcd92ab7&termosPesquisados=em9sZ2Vuc21hIA==. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 4ª região**. Agravo de instrumento nº 5053556-76.2020.4.04.0000/PR. Disponível em: https://jurisprudencia.trf4.jus.br/pesquisa/inteiro_teor.php?orgao=1&numero_gproc=40002493862&versao_gproc=7&crc_gproc=61f6ee16&termosPesquisados=em9sZ2Vuc21hIA==. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 4ª região** (5ª turma). Apelação/remessa necessária nº 5007980-04.2019.4.04.7111/RS. Disponível em:



https://jurisprudencia.trf4.jus.br/pesquisa/inteiro_teor.php?orgao=1&numero_gproc=40002587263&versao_gproc=3&crc_gproc=8933d915&termosPesquisados=em9sZ2Vuc21hIA== Acesso em: 20 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 3ª região.** Agravo de instrumento nº 500086090.2020.4.03.0000. Disponível em: <https://trf-3.jusbrasil.com.br/jurisprudencia/884242345/agravode-instrumento-ai-50008609020204030000-sp/inteiro-teor-884242355>. Acesso em: 22 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 3ª região (4ª turma).** Agravo de instrumento nº 503415351.2020.4.03.0000. Disponível em: <https://trf-3.jusbrasil.com.br/jurisprudencia/1347369688/agravode-instrumento-ai-50341535120204030000-sp/inteiro-teor-1347369695>. Acesso em: 22 mai. 2022.

BRASIL. **Tribunal Regional Federal 3ª região (3ª turma).** Agravo de instrumento nº 501212725.2021.4.03.0000. Disponível em: <https://trf-3.jusbrasil.com.br/jurisprudencia>. Acesso em: 22 mai. 2022.

BRASÍLIA. **Tribunal Regional Federal 1ª região (6ª turma).** Agravo de instrumento nº 1031080-62.2021.4.01.0000. Disponível em: <https://pje2g.trf1.jus.br/consultapublica/ConsultaPublica/DetalheProcessoConsultaPublica/listView.seam?ca=a51cf7ce4f59b4619dd260fbb1fccee9225137455151a48e>. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASÍLIA. **Tribunal Regional Federal 1ª região (5ª turma).** Apelação cível nº 1045890-61.2020.4.01.3400. Disponível em: <https://pje2g.trf1.jus.br/consultapublica/ConsultaPublica/DetalheProcessoConsultaPublica/listView.seam?ca=30a827589ef251149dd260fbb1fccee9225137455151a48e>. Acesso em: 19 mai. 2022.

BRASÍLIA. **Tribunal Regional Federal 1ª região (6ª turma).** Agravo de instrumento nº 1031080-62.2021.4.01.0000. Disponível em: <https://pje2g.trf1.jus.br/consultapublica/ConsultaPublica/DetalheProcessoConsultaPublica/listView.seam?ca=a51cf7ce4f59b4619dd260fbb1fccee9225137455151a48e>. Acesso em: 19 mai. 2022.

CANUTO, V. **As análises econômicas na incorporação de tecnologias em saúde:** reflexões sobre a experiência brasileira. 2010, 50f. Monografia (Dissertação de Mestrado) - Rio de Janeiro: Escola Nacional de Saúde Pública. Fundação Oswaldo Cruz, 2010. Disponível em: https://bvssp.icict.fiocruz.br/pdf/25775_santosvccm.pdf. Acesso em: 14 jun. 2022.

COGO, L. Princípios de direito e de justiça na distribuição de recursos escassos. **Revista Bioética**, v. 14, n. 1, p. 9-15, 2006. Disponível em: https://revistabioetica.cfm.org.br/index.php/revista_bioetica/article/view/2. Acesso em: 21 mar. 2022.

CONITEC. **Monitoramento do Horizonte Tecnológico:** produtos de terapia avançada. CONITEC,



2021. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/banners/2021/2021-02-17_Informe_MHT_terapia_avancada.pdf. Acesso em: 30 abr. 2022.
- CORDOBA, E. **SUS e ESF. Sistema Único de Saúde e Estratégia Saúde da Família**. São Paulo: Rideel, 2013. Acesso em: 28 abr. 2022.
- DANTAS, C C et al. **Judicialização da saúde no Brasil: da história à contemporaneidade**. Brazilian Journal of Development. Rio de Janeiro, 2020. Disponível em: <https://brazilianjournals.com/ojs/index.php/BRJD/article/view/21863/17450> Acesso em: 19 de agosto de 2020.
- FEDERAÇÃO DAS SANTAS CASAS. **Para 2022, Ministério da Saúde perde 20% do orçamento de 2021** [online]. 2022. Disponível em: <https://federacaors.org.br/para-2022-ministerio-da-saudeperde-20-do-orcamento-de-2021/#:~:text=Ainda%20assim%2C%20o%20or%C3%A7amento%20para,bilh%C3%B5es%2C%20conforme%20dados%20da%20pasta>. Acesso em: 15 jun. 2022.
- JUNIOR, D. *et al.* Judicialização do acesso ao tratamento de doenças genéticas raras: a doença de Fabry no Rio Grande do Sul. **Ciência e Saúde Coletiva**, v. 17, n. 10, p. 13-21, 2012. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/csc/a/nxmYBmWxm3JwGfjqNC9YxzG/?lang=pt>. Acesso em: 14 mar. 2022.
- JUNIOR, D.; LEIVAS, P. A judicialização do direito à saúde e a necessidade de políticas públicas específicas para doenças genéticas raras: a doença de Fabry no Rio Grande do Sul. **XII Salão de Iniciação Científica PUCRS**, 2011. Disponível em: <https://ebooks.pucrs.br/edipucrs/anais/SIC/XII/XII/7/6/3/2/2.pdf>. Acesso em: 05 jun. 2022.
- LEVAS, P. Princípios de direito e de justiça na distribuição de recursos escassos. **Revista Bioética**, v. 14, n. 1, p. 9-15, 2006. Disponível em: <https://www.redalyc.org/pdf/3615/361533243002.pdf>. Acesso em: 12 mai. 2022.
- MINAYO, M. **O desafio do conhecimento: pesquisa qualitativa em saúde**. 14ª ed. São Paulo: Hucitec, 2013. Acesso em: 30 mar. 2022.
- NITA, M E et al. **Avaliação de tecnologias em saúde: evidência clínica, análise econômica e análise de decisão**. Porto Alegre, Artmed, 2010. Disponível em: file:///C:/Users/aleri/Downloads/Avaliacao_de_tecnologias_em_saude_evidencia_clinic.pdf. Acesso: 19 de ago. 2022
- NOVARTIS AG. **Bula Zolgensma®**. 2021. Disponível em: <https://portal.novartis.com.br/medicamentos/zolgensma/>. Acesso em: 2 mar. 2022.
- OLIVEIRA, T. A intervenção jurídica na efetivação do direito à saúde: reflexos e consequências da efetivação no fornecimento de medicamentos. **Jus Brasil**, 2020. Disponível em:



<https://taynaraoli.jusbrasil.com.br/artigos/837177988/a-intervencao-juridica-na-efetivacao-dodireito-a-saude-reflexos-e-consequencias-da-efetivacao-no-fornecimento-de-medicamentos>. Acesso em: 07 jun. 2022.

ORTEGA, F. A “teoria das escolhas trágicas” à luz da jurisprudência do STF. **Jus Brasil**, 2016. Disponível em: <https://draflaviaortega.jusbrasil.com.br/noticias/306634652/ateoria-das-escolhas-tragicas-a-luz-da-jurisprudencia-do-stf>. Acesso em: 07 jun. 2022.

PERNAMBUCO. **Tribunal Regional Federal 5ª região** (4ª turma). Agravo de instrumento nº 0809233-74.2021.4.05.0000. Disponível em: <https://pje.trf5.jus.br/pjeconsulta/ConsultaPublica/DetalleProcessoConsultaPublica/listView.seam?signedIdProcessoTrf=d5f473d7edc2eed1a5db3e401f2e73d1>. Acesso em: 20 mai. 2022.

RIERA *et al.* Eficácia, segurança e aspectos regulatórios dos medicamentos órfãos para doenças raras: o caso Zolgensma®. **Cadernos Ibero americanos de Direito Sanitário**, v. 8, n. 3, p. 48-59, 2019. Disponível em: <https://www.cadernos.prodisa.fiocruz.br/index.php/cadernos/article/view/538>. Acesso em: 08 mar. 2022.

ROCHE [online]. **Dia nacional da Atrofia Muscular Espinhal (AME)**. 2020. Disponível em: <https://www.roche.com.br/pt/por-dentro-da-roche/dia-nacional-da-atrofia-muscular-espinhalame.html>. Acesso em: 15 mar. 2022.

SARLET, I.; FIGUEIREDO, M. **Direitos fundamentais: orçamento e reserva do possível**. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2008. Acesso em: 02 mar. 2022.

SANO, H.; FILHO, M. As técnicas de avaliação da eficiência, eficácia e efetividade na gestão pública e sua relevância para o desenvolvimento social e das ações públicas. **Desenvolvimento em Questão**, v. 11, n. 22, p. 35–61, 2013. Disponível em: <https://www.revistas.unijui.edu.br/index.php/desenvolvimentoemquestao/article/view/186>. Acesso em: 14 mar. 2022.

SOUZA, I. **O dilema moral nas políticas públicas sobre o fornecimento de medicamento de alto preço pelo SUS: um estudo de caso**. 2021. 36f. Monografia (Graduação em Administração) - Universidade Federal de Uberlândia, 2021. Disponível em: <https://repositorio.ufu.br/handle/123456789/33110>. Acesso em: 02 mar. 2022.

SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. STF. **Tema 793- Responsabilidade solidária dos entes federados pelo dever de prestar assistência à saúde**. Brasília. 2022. Disponível em: <https://portal.stf.jus.br/jurisprudenciaRepercussao/verAndamentoProcesso.asp?incidente=4678356&numeroProcesso=855178&classeProcesso=RE&numeroTema=793>. Acesso em: 14 abr. 2022.

TRIBUNAL DE CONTAS DA UNIÃO (TCU). **Auditoria operacional sobre judicialização em saúde**. TC: 009.253/2015-7, 2017. Disponível em: <https://portal.tcu.gov.br/bibliotecadigital/auditoria-operacional-sobre-judicializacao-da-saude.htm>. Acesso em: 08 jun. 2022.



VALÊNCIO, M. Medicamento mais caro do mundo agora no Brasil. **ICQT**, 2019. Disponível em: <https://ictq.com.br/assuntos-regulatorios/1924-medicamento-mais-car-do-mundo-agora-no-brasil>. Acesso em: 02 mar. 2022.

VIEIRA, F. **Direito à saúde no Brasil**: seus contornos, judicialização e a necessidade da macro justiça [online]. Brasília: IPEA, 2020. Disponível em: https://www.ipea.gov.br/portal/images/stories/PDFs/TDs/td_2547.pdf. Acesso em: 18 abr. 2022.

ACS, Tribunal de Justiça do Distrito Federal e dos Territórios. **Decisão monocrática X decisão colegiada**. Brasília, 2018. Disponível em:

<https://www.tjdft.jus.br/institucional/imprensa/campanhas-e-produtos/direito-facil/edicaosemanal/decisao-monocratica-x-decisao-colegiada>. Acesso em: 02 mar. 2022.

TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO. **Direito a saúde – apresentação NATJUS**. São Paulo, 2018. Disponível em: <https://www.tjsp.jus.br/NatJus>. Acesso em: 02 mar. 2022.