

UNIVERSIDADE PRESBITERIANA MACKENZIE

ANA PAULA DA MATA CALEGARI

**A JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A SAÚDE: É DEVER DO ESTADO FORNECER
MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO?**

**SÃO PAULO
2022**

ANA PAULA DA MATA CALEGARI

**A JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A SAÚDE: É DEVER DO ESTADO FORNECER
MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO?**

Trabalho de Graduação Interdisciplinar apresentado
como requisito para obtenção do título de Bacharel no
Curso de Direito da Universidade Presbiteriana
Mackenzie.

ORIENTADOR: LOURENÇO DE MIRANDA FREIRE NETO

SÃO PAULO
2022

ANA PAULA DA MATA CALEGARI

**A JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A SAÚDE: É DEVER DO ESTADO FORNECER
MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO?**

Trabalho de Graduação Interdisciplinar apresentado
como requisito para obtenção do título de Bacharel no
Curso de Direito da Universidade Presbiteriana
Mackenzie.

Aprovado em:

BANCA EXAMINADORA

Examinador(a):

Examinador(a):

Examinador(a)

RESUMO

No trabalho proposto, analisa-se o problema da oferta de medicamentos de alto custo e a judicialização da saúde no Brasil, que é ocasionada pela inércia do Estado na garantia constitucional do direito à saúde. Dessa forma, busca-se analisar o fenômeno da judicialização como manifestação do acesso à proteção da saúde, principalmente para os portadores de doenças raras como a Atrofia Muscular Espinhal - AME, doença genética e degenerativa que leva gradativamente ao atrofiamento da musculatura, que possui uma possibilidade de cura milionária, que não consta na lista de medicamentos fornecidos pelo Sistema Único de Saúde - SUS, a terapia gênica por Zolgensma (onasemnogen abeparvoveque). Para o desenvolvimento do presente trabalho utilizou-se como metodologia de pesquisa a revisão bibliográfica de abordagem qualitativa, cujo método foi o analítico-normativo, com a análise de artigos científicos, notícias, doutrinas e jurisprudências; além de buscas no banco de dados da Justiça Federal de todas as regiões. A partir disso, abordou-se o princípio da igualdade de tratamento, onde a Constituição Federal de 1988 estabelece que todos terão um tratamento igualitário e isonômico quanto ao direito à saúde. Assim, questionou-se as decisões judiciais em ações individuais condenando o Estado a fornecer medicamentos de alto custo em detrimento aos demais cidadãos da população, discutindo a escassez de recursos para atender a essas demandas e o ativismo judicial. Ao final, entendeu-se que, considerando a previsão Constitucional do direito à saúde como um dever do Estado, que deve efetivá-lo através de políticas públicas, faz-se necessário pensar em ideias para solucionar o impasse, como a implementação do pagamento de impostos por toda a população para aumentar o orçamento disponível no SUS, a negociação direta com a farmacêutica para diminuição dos custos do medicamento e a moderação judicial.

Palavras-chave: Direito. Saúde. Ativismo Judicial. Políticas Públicas. AME.

ABSTRACT

In the proposed study, we analyze the problem of the supply of high-cost medicines and the judicialization of health in Brazil, which is caused by the inertia of the State in the constitutional guarantee of the right to health. In this way, we seek to analyze the phenomenon of judicialization as a manifestation of access to health protection, especially for patients with rare diseases such as Spinal Muscular Atrophy - SMA, a genetic and degenerative disease that gradually leads to atrophy of the musculature, which has a possibility of a millionaire cure, which is not on the list of drugs provided by the “Sistema Único de Saúde” - SUS, gene therapy by Zolgensma (onasemnogen abeparvoveque). For the development of the present work, the bibliographic review of a qualitative approach was used as a research methodology, whose method was analytical-normative, with the analysis of scientific articles, news, doctrines and jurisprudence; in addition to searches in the Federal Justice database of all regions. From this, the principle of equal treatment was approached, where the Federal Constitution of 1988 establishes that everyone will have an equal and isonomic treatment regarding the right to health. Thus, judicial decisions in individual actions were questioned, condemning the State to provide high-cost medicines to the detriment of other citizens in the population, discussing the scarcity of resources to meet these demands and judicial activism. In the end, it was understood that, considering the Constitutional provision of the right to health as a duty of the State, which must implement it through public policies, it is necessary to think of ideas to solve the impasse, such as the implementation of payment of imposed by the entire population to increase the budget available in the SUS, direct negotiation with the pharmaceutical company to reduce drug costs and judicial moderation.

Keywords: Law. Health. Judicial Activism. Public policy. AME.

LISTA DE ABREVIATURAS E SIGLAS

AME- Atrofia Muscular Espinhal

ANVISA- Agência Nacional de Vigilância Sanitária

CF- Constituição Federal

INAME- Instituto Nacional de Atrofia Muscular Espinhal

RENAME- Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

SUS- Sistema Único de Saúde

SUMÁRIO

1. INTRODUÇÃO	8
2. O DIREITO A SAÚDE	11
2.1. O DIREITO A SAÚDE NO BRASIL – O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE	11
2.2. O DIREITO FUNDAMENTAL A SAÚDE	14
3. ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL – ENTENDENDO A DOENÇA.....	18
3.1. O QUE É A ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL – AME?	18
3.2. DIAGNÓSTICO E TRATAMENTO DA DOENÇA	21
4. ZOLGENSMA – A POLÊMICA NA DISPONIBILIZAÇÃO DO MEDICAMENTO..	24
4.1. JUDICIALIZAÇÃO DE MEDICAMENTOS	25
4.2. O CASO ZOLGENSMA.....	27
4.2.1. INDISPONIBILIDADE NO SUS EM RAZÃO DO CUSTO	27
4.2.2. LIMITE DE IDADE PARA APLICAÇÃO EM DETRIMENTO DAS CONSEQUÊNCIAS DA DOENÇA.....	33
4.2.3. A NOVA TECNOLOGIA POSSUI EFICÁCIA E SEGURANÇA?	37
5. O CUSTO DOS DIREITOS.....	39
5.1. IMPLEMENTAÇÃO DOS DIREITOS SOCIAIS – PRINCÍPIO DA RESERVA DO POSSÍVEL X ESCASSEZ DE RECURSOS.....	39
5.2. A ATUAÇÃO INEQUÍVOCA DO PODER JUDICIÁRIO.....	41
6. ESTRATÉGIAS DE ACESSO A SAÚDE POR OUTROS MEIOS – ALOCAÇÃO DE RECURSOS E MODERAÇÃO JUDICIAL.....	51
7. CONSIDERAÇÕES FINAIS.....	54
8. REFERÊNCIAS.....	56

1. INTRODUÇÃO

A Judicialização do direito à saúde, pode ser entendida como um mecanismo legal utilizado pelos cidadãos, que ingressam com ações judiciais contra o Estado para garantir o direito à saúde e o direito a determinados tratamentos ou medicamentos não protegidos pelo Sistema Único de Saúde – SUS. Trata-se da abordagem de questões com amplas ramificações sociais e políticas que estão sendo decididas pelo Judiciário e não pelos poderes convencionais, neste caso o Poder Executivo e o Poder Legislativo.

Discutir a judicialização da saúde significa, portanto, analisar como se dá cada vez mais o acesso à saúde, principalmente no que se refere ao acesso a tratamento e medicamentos.

No tema proposto para o presente trabalho de conclusão de curso, o fenômeno da judicialização direciona-se, especificamente, para que seja esclarecido o responsável competente por fornecer medicamentos de alto custo não disponibilizados pelo Sistema Único de Saúde (SUS) para pacientes de doenças raras que não detêm de condição socioeconômica para custeá-los.

Dentre esses fármacos de alto custo, destacaremos o *Zolgensma* (onasemnogeno abeparvoveque), conhecido por ser o medicamento com a dose mais cara do mundo (cerca de 12 milhões de reais) que é uma terapia gênica, em dose única, com a finalidade de carrear o gene SMN1 para o interior dos neurônios, com base na incorporação desse gene em um adenovírus atenuado, corrigindo a informação genética que causa a doença.

O fármaco é utilizado de forma precoce (até os dois anos de idade do paciente) para neutralizar os efeitos da Atrofia Muscular Espinhal tipo I, um distúrbio neuro genético (defeito molecular) causado por perda ou mutação no gene do neurônio motor 1 de sobrevivência (SMN1) no cromossomo 5q13, que leva a níveis reduzidos de proteína funcional SMN e uma disfunção seletiva dos neurônios motores (morte gradativa), afetando todos os músculos do corpo, especialmente os respiratórios e os da deglutição e da sucção, é uma doença rara, grave, de progressão evolutiva acelerada fatal.

Serão abordados tópicos sob vários aspectos, iniciando-se com o contexto histórico sobre o direito à saúde, delineando suas evoluções até o que se tem hoje como direito à saúde disponibilizado no Brasil e a estruturação do Sistema Único de Saúde – SUS. Em seguida, serão enfatizados os direitos fundamentais focando no campo constitucional e infraconstitucional, abordando a atuação do Poder Judiciário ao longo dos anos, o direito a saúde no Brasil e suas significativas mudanças para que enfim seja possível apurar a possibilidade de se concretizar o princípio da dignidade da pessoa humana.

O capítulo seguinte trata do princípio da dignidade da pessoa humana, que fundamenta todo o ordenamento jurídico brasileiro, e como este é amplamente violado em razão da falta de recursos para auxiliar os diversos grupos de pessoas afetadas pela vulnerabilidade social e econômica, inclusive, os portadores de Atrofia Muscular Espinhal, a AME, que muito embora o direito à saúde seja um direito garantido constitucionalmente, por diversas vezes, as pessoas enfrentam dilemas quanto à sua acessibilidade, principalmente relacionados à falta de políticas governamentais que possam garantir o tratamento adequado da doença.

Após, dissertaremos acerca do medicamento *Zolgensma* e todos os ramos que o englobam e o tornam tão polêmico na sociedade atual. Inicialmente, sob o fenômeno da judicialização do medicamento, para que se compreenda as razões pelas quais os pacientes que necessitam do referido fármaco o pleiteiam por via judicial. Em seguida, será abordado o custo do medicamento no Brasil e o impacto financeiro que gera na receita pública, com uma análise comparativa feita a partir de pesquisas no banco de dados da Justiça Federal da 1ª, 2ª, 3ª, 4ª e 5ª Região, utilizando-se das palavras-chaves “*Zolgensma*”; “AME”; “Atrofia Muscular Espinhal” e “terapia genica”. Conseqüentemente, virão as excepcionalidades do medicamento, como o fator idade do paciente, progressão da doença, segurança e eficácia para que se compreenda por que o fornecimento do medicamento tem que ocorrer de forma ágil e expostos os estudos de viabilidade da tecnologia.

Destarte, o capítulo seguinte tratará acerca dos custos para a implementação da política pública que está sendo discutida no presente trabalho, qual seja, o fornecimento do medicamento *Zolgensma*, conhecido por ser o mais caro do mundo. Será feita uma análise do princípio da reserva do possível em detrimento da escassez de recursos públicos no Brasil. Em seguida, passar-se-á por uma abordagem do ativismo judicial e os motivos pelos quais na presente temática, não poderia o Poder Judiciário intervir diretamente em funções que cabem à Administração Pública. De acordo com dados disponibilizados pelo próprio portal do CNJ, foi possível concluir que, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias ao SUS (CONITEC) e seus respectivos protocolos, responsáveis por indicar ao Ministério da Saúde quais tecnologias e práticas devem ser incorporadas ao SUS, aparecem em menos de 0,51% das decisões judiciais, o que indica que existe um grande distanciamento entre a política pública formulada e o Poder Judiciário. Neste sentido, se discutirá a escassez de recursos para atender as demandas individuais, especificamente para tratamentos de alto custo e verificada a possibilidade de alocação de recursos e escolhas orçamentárias.

Por fim, serão abordadas possíveis sugestões para a solução dos impasses apontados neste estudo, com a implementação de medidas modificativas que beneficiariam a todos os

envolvidos e principalmente, aos pacientes de doenças raras e seus familiares, ao Poder Judiciário que passaria a incumbir-se de suas verdadeiras funções, ao Estado para que gerencie os recursos destinados a saúde de forma equilibrada e igualitária e a população em geral, que receberia assistência à saúde como prevista na Constituição de maneira igualitária e universal.

2. O DIREITO A SAÚDE

O objetivo do presente capítulo é apresentar o contexto histórico da saúde no Brasil, o qual surge também a partir da criação do Sistema Único de Saúde (SUS). Em seguida, será possível enfatizar os direitos fundamentais focando no campo constitucional e infraconstitucional.

Será abordada a atuação do Poder Judiciário ao longo dos anos, o direito a saúde no Brasil e suas significativas mudanças. Por fim, todas as temáticas serão apuradas para que seja verificada a possibilidade de se concretizar o princípio da dignidade da pessoa humana.

2.1. O DIREITO A SAÚDE NO BRASIL – O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE

O direito a saúde no Brasil é resultante da forte pressão dos movimentos sociais e civis da década de 80, que também inspiraram um capítulo inteiro à saúde na Carta Magna, prevendo que este direito fosse universal, igualitário, gratuito e acessível. Neste sentido, criou-se a Lei 8.080/90, conhecida como “Lei Orgânica da Saúde” que dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências.

O Sistema Único de Saúde começou como uma organização social que por meio da chamada “Reforma Sanitária”, reuniu profissionais de saúde, sindicatos, assalariados e ativos comunitários para fornecer ferramentas e prestar atendimento de qualidade às comunidades. Portanto, o complexo de saúde não é reflexo de um determinado governo ou partido, mas uma conquista social, pois até sua criação, o atendimento médico era direcionado apenas aos mais favorecidos economicamente. Assim, a inclusão do direito à saúde como direito social básico, disposto no artigo 6º do texto constitucional, foi fruto da luta dos movimentos sociais entre os anos de 1976 e 1988.

Flávia Silva de Oliveira (2015), ensina que a revolta supracitada tinha como principal objetivo a modificação da gestão da saúde contributiva, concentrada e atrelada ao Ministério da Previdência. Ainda, merece destaque a 8ª Conferência Nacional de Saúde, realizada entre 17 e 21 de março de 1986, apresentou o debate para a criação do SUS e o direito do cidadão, contando com mais de quatro mil participantes e 135 grupos de trabalhos.

Em referência às lições trazidas por Flavia Silva Oliveira (2015, p. 81):

Nessa Conferência, realizada em 1986, discutiu-se um novo modelo de saúde para o Brasil, que refletiu na Constituição Federal de 1988. A saúde passou a figurar como

um direito fundamental dos cidadãos e um dever do Estado, que deve assegurar atendimento universal e igualitário.

Nesse sentido, o SUS é concebido a partir da premissa de que todos têm direito à saúde, mesmo que não sejam filiados à previdência social, dependem da filantropia, e se encontram em situações de insuficiência econômica ou mesmo de recursos econômicos insuficientes. O real significado reside na unidade e na democracia, sem qualquer distinção ou privilégio, todos são iguais

No entanto, a compreensão do SUS varia de vários pontos de vista. Para os profissionais de saúde, em geral, este é um sistema de remuneração muito baixa, para a sociedade, pode ser descrito como um sistema ineficiente com longos tempos de espera, já do ponto de vista de um administrador público, o SUS não tem recursos necessários para atender com eficiência e dignidade o elevado número de demandas. E por fim, “para quem possui recursos, o SUS é visto como um serviço disponível para os que não possuem condições para arcar com um plano de saúde privado” (OLIVEIRA, 2015, p. 83).

Nos termos do artigo 198, §1º da CF/88, o SUS tem por objetivo atender às necessidades sociais e promover o bem-estar social, para o qual exercerá verbas previstas no art. O artigo 195 estipula que a previdência social será financiada direta ou indiretamente por toda a população por meio de recursos orçamentários dos governos federal, estadual, distrital e municipal, observada a legislação (Brasil, 1988).

Dessa forma, por meio da ação e dos serviços públicos, os governos federal, estadual e municipal devem atender às necessidades de saúde dos indivíduos de forma holística, pois não há hierarquia entre eles, mas funções e capacidades, com divisão de trabalho responsável pela ação no campo da saúde e do serviço, respondendo solidariamente.

Nesse sentido, foi promulgada a Lei nº 8.080/90, também conhecida como Lei Orgânica da Saúde, e por regulamentar o SUS, é reconhecida como Lei do SUS. Assim, de acordo com os ensinamentos de Luís Roberto Barroso (2006, p. 197), pode-se afirmar que “o SUS consiste em uma série de ações e serviços públicos de saúde, realizados de forma cooperativa por órgãos federais, estaduais e municipais, e até mesmo a iniciativa privada, mas de forma complementar.

Entre os princípios, importante destacar a unicidade, que determina que o SUS é um sistema unificado que proíbe os entes federativos de obter um sistema público de saúde exclusivo. Assim, os serviços e ações de saúde estão subordinados a um único sistema, com uma única diretriz e apenas um programa, ainda que descentralizado em cada nível de governo, ou seja, nacional, estadual e municipal.

No entanto, apesar de sua singularidade, o SUS é regional, ou seja, consegue adequar seus serviços e ações de acordo com o local de atuação. Daí a descentralização do sistema, com repartição regional da atribuição dos entes federativos, de modo que a responsabilidade pelas ações e serviços na área da saúde recaia sobre os estados, especialmente os municípios, enquanto o papel da União é complementar e auxiliar.

A hierarquia dos serviços de saúde, por sua vez, divide a rede em níveis de complexidade, a saber: básico, médio e avançado, de modo que o acesso aos serviços acima vai do mais simples ao mais complexo, com exceção das emergências.

A Lei Orgânica da Saúde estabelece a finalidade do SUS em seu artigo 5º. Veja-se:

Art. 5º São objetivos do Sistema Único de Saúde SUS: I - a identificação e divulgação dos fatores condicionantes e determinantes da saúde; II - a formulação de política de saúde destinada a promover, nos campos econômico e social, a observância do disposto no § 1º do art. 2º desta lei; III - a assistência às pessoas por intermédio de ações de promoção, proteção e recuperação da saúde, com a realização integrada das ações assistenciais e das atividades preventivas.

Portanto, o objetivo do SUS resume-se em verificar e divulgar condições e determinantes de saúde, reduzindo assim o risco de doenças e outros ônus. Ainda, os indivíduos terão acesso universal e igualitário. A área da saúde deve contar com políticas públicas que visem dar, nos campos social e econômico, o cumprimento do disposto no artigo 1º, § 1º. O artigo 2º da Lei, promove a prevenção, proteção e recuperação da saúde, em conjunto com a implementação de ações assistenciais e preventivas.

O dispositivo legal também engloba a execução de assistência holística de tratamento incluindo a disponibilização de medicamentos; ações e serviços de saúde pública contratados ou conveniados com o SUS e serviços privados, que serão conduzidos de acordo com as diretrizes estabelecidas no art. Artigo 198 da Constituição Federal.

A saúde é uma condição necessária para a proteção da vida humana, vinculada à dignidade, e como é de grande relevância, o próprio texto constitucional estabelece um contexto organizacional para garantir o direito à saúde por meio da institucionalização do SUS.

Em setembro de 2021 o SUS completou 31 anos, em comento à data, o Ministério da Saúde esclareceu que se trata do único sistema de saúde pública do mundo que atende mais de 190 milhões de pessoas - 80% delas que dependem, exclusivamente, dos serviços públicos para qualquer atendimento de saúde. Apesar da quantidade expressiva, é garantido que todos podem usar o SUS, gratuitamente, porque seus princípios são a integralidade, a igualdade e a universalidade. Neste sentido, pode-se afirmar que 100% dos brasileiros desfruta, desfrutou ou

desfrutará dos serviços do sistema, que é essencial para a população. (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2021).

Assim, tendo em vista a situação-problema discutida no presente trabalho, mostra-se que o SUS é a via de acesso à saúde para milhões de brasileiros, que por diversas vezes enfrentam a falta de medicamentos essenciais para tratar a sua enfermidade, como o caso dos pacientes que possuem AME, em razão da escassez de recursos públicos.

2.2. O DIREITO FUNDAMENTAL A SAÚDE

Define-se direitos fundamentais como um conjunto de normas jurídicas que dizem respeito à dignidade da pessoa humana e a limitações do poder, ambos amparados na estrutura constitucional dos Estados democráticos de direito e, por sua relevância valorativa, são legitimados em todo o ordenamento jurídico nacional. A doutrina de Alexandre de Moraes (2013, p. 21) estabelece o conceito de direitos fundamentais da seguinte forma:

[...] o conjunto institucionalizado de direitos e garantias do ser humano que tem por finalidade básica o respeito a sua dignidade, por meio de sua proteção contra o arbítrio do poder estatal e o estabelecimento de condições mínimas de vida e desenvolvimento da personalidade humana.

Os direitos sociais são compreendidos das conquistas dos movimentos populares, reconhecidos mundialmente e no âmbito constitucional. Eles exigem ação positiva do poder público e do Estado para alcançar a igualdade social para os menos favorecidos. Desta vez, fica clara a relevância desses direitos, visto que o desenvolvimento de benefícios positivos visa atingir os setores mais vulneráveis da sociedade. Os direitos sociais tendem a promover o bem-estar social e econômico e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, especialmente as mais vulneráveis, para fazer as correções necessárias à distribuição desigual de riqueza e renda.

Portanto, pode-se verificar que os direitos sociais são importantes para o bem-estar social, pois protegem as pessoas de experiências adversas e lhes permitem viver uma vida digna. Esses direitos incluem o direito ao trabalho, educação, saúde, proteção social etc. Garantir que as pessoas tenham acesso a esses direitos fundamentais é, portanto, essencial para uma sociedade justa e coesa.

No entanto, é importante destacar que, na prática, nem todas as pessoas têm direitos sociais garantidos de forma igualitária. Muitas pessoas não têm acesso a esses direitos porque não têm condições financeiras ou porque vivem em lugares onde esses direitos não existem. Por essa razão, é importante trabalhar para garantir a igualdade de acesso aos direitos sociais

para todos.

Moraes conceituou os direitos fundamentais no sentido material como privilégios e instituições consolidadas pelo ordenamento jurídico pátrio para garantir efetiva dignidade, liberdade e igual convivência de todos os indivíduos, tendo como principal objetivo o respeito à dignidade humana contra a vontade do Estado e a determinação de condições mínimas de vida e desenvolvimento da personalidade (MORAES, 2013). Nesse diapasão, José Afonso da Silva (2012, p. 160) afirma:

A Constituição estrutura um regime democrático consubstanciando esses objetivos de equalização por via dos direitos sociais e da universalização de prestação sociais (segurança, saúde, previdência e assistência sociais, educação e cultura). A democratização 15 destas prestações, constitui fundamento do Estado Democrático de Direito, instituído no art. 1º.

No contexto histórico do Brasil, é possível observar que o direito à saúde pública se interliga como um todo. Isto pois a saúde pública brasileira tem suas origens nos tempos coloniais, quando a saúde era vista como um bem particular e os governantes coloniais eram responsáveis apenas pela saúde dos seus cidadãos. Apenas no início das reformas sanitárias com a vinda do século XIX, que a saúde pública no Brasil começou a se desenvolver sistematicamente.

Neste contexto, o Estado passou a se responsabilizar pela saúde da população, que passou a ser vista como um bem público. Durante o período da ditadura militar, o progresso foi interrompido, retornando apenas a partir da década de 1980, com o estabelecimento do Sistema Único de Saúde.

O surgimento da CF/88 empoderou a sociedade civil e provocou uma notável revolução ao dispor em seu texto sobre direitos fundamentais como saúde, assistência social, etc., pois em um país democrático de direito, o objetivo dos direitos fundamentais é a melhoria de vida e do bem-estar social na sociedade.

Os artigos 196 a 200 dispõem acerca do direito à saúde em nível constitucional, estabelecendo os seguintes fundamentos para sua realização: a saúde é direito de todo indivíduo e dever do Estado, garantido por meio de políticas sociais e econômicas que visem o fornecimento de tratamentos para a diminuição de enfermidades e a oportunidade de acessar de forma universal e igualitária às ações e serviços de promoção, proteção e reabilitação.

A defesa do princípio da dignidade humana é uma vitória do movimento popular, que garantiu a efetivação do direito fundamental como um direito social reconhecido internacionalmente, possibilitando a todos a concretização das políticas públicas.

Neste sentido, José Murilo de Carvalho (2013, p. 20) destacou que a Assembleia Constituinte trabalhou por mais de um ano na redação da Constituição, com amplas consultas a especialistas e setores organizados e representativos da sociedade até que finalmente, em 1988, foi ocorreu a promulgação de um documento longo e detalhado em que a garantia dos direitos civis era uma questão central.

Conforme pesquisa realizada por Mariana Filchtiner Figueiredo (2007, p. 194), com relação ao direito à saúde, mesmo que este não esteja consagrado na CF/88, o papel da provisão estará direcionado ao Estado, por se tratar de um direito do indivíduo e dever fundamental imposto. Portanto, segundo a autora, pode-se verificar que o direito à saúde é um ramo do direito básico à vida. No mesmo sentido, Sarlet (2011, p. 61):

É espantoso como um bem extraordinariamente relevante à vida humana só agora é elevado à condição de direito fundamental do homem. E há de informar-se pelo princípio de que o direito igual à vida de todos os seres humanos significa também que, nos casos de doença, cada um tem o direito a um tratamento condigno de acordo com a situação econômica, sob pena de não ter muito valor sua consagração em normas constitucionais.

Sarlet afirmou em seu livro *Dignidade Humana e Direitos Fundamentais na Constituição Federal de 1988* que o direito à saúde é indispensável, quer o texto constitucional o declare ou não, pois será um direito humano essencial à vida. Dessa forma, é possível apontar a situação econômica de todos, pois teoricamente todos têm direito à saúde, mas os indivíduos mais necessitados devem primeiro se beneficiar do poder público, pois não podem arcar com o tratamento pelo setor de saúde privado (SARLET, 2011).

Por sua vez, Figueiredo (2007, p. 65) ensina que somente devem ser titulares de direitos econômicos, sociais e culturais os indivíduos necessitados, e não aqueles que não se expressam. Portanto, vale ressaltar que o art.6º prevê o direito à saúde juntamente com outros direitos sociais básicos que têm como finalidade o bem-estar e a justiça social de todos os cidadãos. Vejamos:

Art. 6º São direitos sociais a educação, a saúde, a alimentação, o trabalho, a moradia, o transporte, o lazer, a segurança, a previdência social, a proteção à maternidade e à infância, a assistência aos desamparados, na forma desta Constituição.

Assim, pode-se inferir que o texto Constitucional de 1988 suscitou preocupações centradas nos direitos sociais fundamentais, nos quais o direito à saúde recebeu maior ênfase, que é obrigação estatal de estabelecer condições mínimas para os indivíduos.

Portanto, os direitos sociais básicos dos indivíduos são os direitos garantidos para toda

a sociedade, direitos esses originários da natureza humana, são universais e invioláveis. A CF/88 protege os direitos sociais supracitados em seu rol de garantias básicas no art.º 5. Sobre a temática, Paulo Bonavides (2006, p. 594) ensina que:

A nova hermenêutica constitucional se desataria de seus vínculos com os fundamentos e princípios do Estado Democrático de Direito se os relegasse ao território das chamadas normas programáticas, recusando-lhes concretude negativa sem a qual, ilusória a dignidade da pessoa humana não passaria também de mera abstração.

O panorama da saúde no Brasil mudou significativamente desde a década de 1970, e o debate sobre a crise sanitária do país se intensificou, reunindo profissionais de diferentes áreas, teorias, instituições e políticas para analisá-la, além da participação da população. A Reforma Sanitária é vista como referência para consolidar o uso universal da saúde pública, considerando questões de relevância para a organização da sociedade (BONAVIDES, 2006).

Esse cenário da organização política, econômica e social do país é também palco de diferentes movimentos, como o Movimento Popular da Saúde e o Movimento de Saúde da Zona Leste de São Paulo, que mesmo com suas diferentes origens e características, têm em comum o plano conjunto baseado na ampliação de direitos de uma sociedade democrática (FIGUEIREDO, 2007).

Para alcançar o bem-estar e a justiça social, o direito à saúde foi incorporado ao texto da Constituição de 1988.

Por conseguinte, o artigo 196 da CF/88 estabelece a saúde como direito de todas as pessoas e obrigação do Estado, o que é muito relevante no que diz respeito aos princípios do direito à vida e à dignidade da pessoa humana:

Art. 196. 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.

Dessarte, a saudação da saúde como direito social fundamental estabelece a responsabilidade do Estado em gerar benefícios aos cidadãos por meio de políticas públicas, sociais e econômicas voltadas para a efetivação, promoção e recuperação da saúde, responsabilidade que deve garantir que mesmo que não haja cura para a doença, deve-se garantir uma melhor qualidade de vida aos indivíduos, tornando o tratamento viável e acessível a todos.

Após longa luta e mobilização, a reivindicação pelo direito à saúde pública foi

legalmente garantida através da promulgação da Constituição de 1988, legalizando a saúde como um direito universal. No entanto, sua implementação continua sendo um desafio, agravado principalmente pela crise socioeconômica.

Embora a Constituição preveja o direito à saúde, este nem sempre vigora na realidade do povo brasileiro. Foram identificadas várias fragilidades que dificultam o acesso aos serviços de saúde e a eficácia da prestação de serviços. Um dos principais problemas é a falta de estrutura. O SUS é o maior sistema público de saúde do mundo, mas vem enfrentando superlotação e falta de médicos e equipamentos.

Além disso, as desigualdades regionais são outro obstáculo para a efetivação do direito à saúde, pois grande parte do financiamento do SUS está concentrado nas grandes cidades, tornando mais instável a estrutura das pequenas e médias cidades. Outro problema é a falta de políticas públicas eficazes. Apesar de o SUS ter sido criado como um sistema universal e justo, a realidade é bem diferente. Ainda há muita burocracia e os recursos são muitas vezes mal redistribuídos.

3. ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL – ENTENDENDO A DOENÇA

O princípio da dignidade da pessoa humana, que fundamenta todo o ordenamento jurídico brasileiro, é amplamente violado em razão da falta de recursos para auxiliar os diversos grupos de pessoas afetadas pela vulnerabilidade social e econômica, inclusive os portadores de Atrofia Muscular Espinhal, a AME.

Embora o direito à saúde seja um direito garantido constitucionalmente, muitas vezes, as pessoas enfrentam diversos dilemas quanto à sua acessibilidade, principalmente relacionados à falta de políticas governamentais que possam garantir o tratamento adequado da doença.

Neste capítulo, a AME e seus aspectos serão abordados, para que, em seguida, o caso *Zolgensma* possa ser abordado.

3.1. O QUE É ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL – AME?

O Ministério da Saúde define a Atrofia Muscular Espinhal (AME) como:

[...] uma doença rara, degenerativa, passada de pais para filhos e que interfere na capacidade do corpo de produzir uma proteína essencial para a sobrevivência dos neurônios motores, responsáveis pelos gestos voluntários vitais simples do corpo, como respirar, engolir e se mover. Varia do tipo 0 (antes do nascimento) ao 4 (segunda

ou terceira década de vida), dependendo do grau de comprometimento dos músculos e da idade em que surgem os primeiros sintomas.

A Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) é um distúrbio neuro genético (defeito molecular) causado por perda ou mutação no gene do neurônio motor 1 de sobrevivência (SMN1) no cromossomo 5q13, que leva a níveis reduzidos de proteína funcional SMN e uma disfunção seletiva dos neurônios motores (morte gradativa), afetando todos os músculos do corpo, especialmente os respiratórios e os da deglutição e da sucção, enfim, é uma doença rara, grave, de progressão evolutiva acelerada fatal.

Melhor esclarecendo, a AME Tipos 1 e 2 são uma desordem genética autossômica recessiva fatal, apresentando deformidades musculoesqueléticas secundárias (fraqueza dos músculos do tronco), ocasionando diminuição na amplitude dos movimentos, provocando fraqueza muscular, com significativas alterações, repercutindo em vários órgãos e sistemas, envolvendo o sistema cardiorrespiratório, o osteoarticular e o gastrintestinal, seguida de complicações respiratórias. A fraqueza muscular do tronco influencia por demais a dificuldade da mecânica de sucção, deglutição e respiração, levando os pacientes portadores da doença à incapacidade de tossir e de expelir secreções das vias aéreas.

Essas complicações respiratórias são as principais causas de morbidade e mortalidade em pacientes com a doença. Sem o adequado tratamento, a doença evolui rapidamente, causando insuficiência respiratória e morte precoce do paciente. É a maior causa genética de morte de bebês e crianças de até dois anos de idade.

Nos termos das informações elaboradas pela Consultoria Jurídica do Ministério da Saúde, por meio da Nota Técnica nº4412/2021 CGJUD/COMFAD/CGJUD/SE/GAB/SE/MS:

(...)

A AME pode ser dividida em 4 tipos de acordo com a idade de início dos sintomas:• AME tipo 1 também chamada de Doença de Werding Hoffmann. Responsável por 60% dos casos. Acomete as crianças nas primeiras semanas de vida. Os lactentes com AME do tipo 1, apresentam hipotonia, controle deficiente da cabeça e reflexos tendinosos reduzidos ou ausentes antes dos seis meses de idade. Por definição, eles nunca alcançam a capacidade de se sentar sem ajuda. Desenvolvem fraqueza na língua, fasciculados e graves dificuldades de deglutição. Evoluem com fraqueza facial, embora isso geralmente não se manifeste no início da doença. À medida que a língua e os músculos faríngeos enfraquecem, estes bebês pioram da capacidade de deglutição e vivem com predisposição aumentada a desenvolverem pneumonias bronco aspirativas. Os lactentes com AME do tipo1 geralmente desenvolvem insuficiência respiratória antes de dois anos de vida. A cognição nestes lactentes é normal.

(...)

DO TRATAMENTO

O Tratamento de suporte é o carro chefe na terapia da AME. Além do suporte fisioterápico, fonoaudiológico, nutricional, da abordagem médica das complicações ortopédicas, pulmonares e infecciosas, e suporte psicológico ao paciente e cuidadores, esses pacientes frequentemente têm necessidade de assistência ventilatória parcial ou integral. Os outros tipos de AME recebem estas terapias segundo a necessidade. Nusinersena (Spinraza) é um oligo nucleotídeo antisense, cuja função é aumentar a produção da proteína funcional SMN2 relacionada à sobrevivência do neurônio motor. É preconizado para uso em diversos tipos de AME segundo FDA (Food and Drug Administration) e ANVISA. Está disponível no SUS.

Portanto, por ser uma doença neurodegenerativa de origem genética, conforme as informações acima reproduzidas, ainda não há cura para a enfermidade.

A atrofia muscular espinhal tem sido um ponto de discórdia entre os profissionais de saúde de todo o mundo, principalmente na área jurídica, em parte por ser considerada uma doença rara que afeta inúmeras pessoas de todas as idades em todo o mundo.

Vários países têm apoiado pacientes com AME a obterem condições mais viáveis e usarem um medicamento com dignidade mínima que melhore significativamente a qualidade de vida desses indivíduos.

No Brasil, a proporção de doenças raras é considerada grande. Segundo dados do Ministério da Saúde, cerca de 13 milhões de brasileiros são portadores de alguma doença rara, dos portadores de AME, de uma em cada 2.000 pessoas diagnosticadas com a doença, cerca de 80% dos casos têm origem genética.

É importante ressaltar que pesquisas estão sendo feitas diariamente em torno de doenças como a AME e, à medida que a medicina avança ao longo do tempo, novas possibilidades de enfrentamento dessa patologia estão sendo constantemente desenvolvidas.

A doença possui 4 tipos de classificação a depender da idade e gravidade no paciente. Quando manifestada em pacientes com menos de 6 meses de vida, é considerada a mais grave, AME tipo 1, em que é comum a morte da maioria dos bebês acometidos durante os primeiros anos de vida, geralmente como resultado de sérias dificuldades respiratórias, segundo informações do NHS (equivalente britânico do SUS).

Já a tipo 2 está presente em bebês de 7 a 18 meses, apesar de ter uma taxa de mortalidade menor de comparada com a tipo 1, fazendo com que a criança viva até a vida adulta, ainda sim é comprometedora, impedindo o paciente de ficar em pé ou andar.

Geralmente, quando a enfermidade acomete crianças após os 18 meses de idade, enquadra-se na AME tipo 3, que é o tipo menos grave, seus portadores são capazes de ficar de pé e andar sem ajuda, mas podem ter problemas de equilíbrio, dificuldade em correr ou subir

degraus e um leve tremor nos dedos, no entanto, essas habilidades podem ser enfraquecidas com o passar do tempo.

A manifestação da doença na fase adulta caracteriza-se como o tipo 4, que costuma não causar problemas na respiração ou deglutição, porém, pode causar fraqueza nas mãos e pés, dificuldade em andar e deixar os músculos trêmulos, que pode piorar lentamente com o passar dos anos.

3.2. DIAGNÓSTICO E TRATAMENTO DA DOENÇA

Atualmente, de acordo com o Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal – INAME, o único teste que pode confirmar a AME é o teste genético molecular. O exame está dentre as opções do popularmente conhecido "teste do pezinho", introduzido no Brasil na década de 70, inserido em lei (Estatuto da Criança e do Adolescente) em 1990 e popularizado em 2001, quando o Ministério da Saúde criou o Programa Nacional de Triagem Neonatal.

Trata-se de um exame não invasivo no qual são retiradas algumas gotas de sangue do calcanhar de um recém-nascido em uma das terminações nervosas entre o terceiro e o sétimo dia de vida, permitindo o diagnóstico de diversas doenças raras, incluindo a AME.

O país oferece três tipos de teste do pezinho: um teste básico e dois testes estendidos. A opção mais simples é gratuita e pode identificar até seis doenças: fenilcetonúria, hipotireoidismo congênito, fibrose cística, hemoglobinopatias como anemia falciforme, hiperplasia adrenal congênita e doença por deficiência de biotina ase. Testes estendidos também são possíveis, capazes de identificar de 40 a 50 enfermidades.

Felizmente, o Congresso aprovou em 2021 a Lei nº 14.154, que amplia as doenças que serão rastreadas pelo teste realizado pelo Sistema Único de Saúde (SUS). Foi estabelecido que será possível identificar 50 doenças diferentes, segundo Marcelo Queiroga, Ministro da Saúde. Dentre as doenças incluídas, está a atrofia muscular espinhal (AME), doenças relacionadas a imunodeficiências, hipotireoidismo congênito, anemia falciforme, fibrose cística, dentre outras.

Se um paciente apresentar sintomas suspeitos de AME, o teste genético deve ser realizado diretamente.

No passado, os médicos costumavam solicitar exames como neuro-EMG e biópsias musculares. No entanto, esses exames não fecham o diagnóstico de AME, são extremamente angustiantes para a criança e apenas retardam o diagnóstico do paciente.

Portanto, a recomendação do consenso de 2018 é que, caso haja suspeita de AME, o teste genético deve ser realizado imediatamente.

A investigação começou com técnicas para detectar deleções no gene SMN1. A deleção do exon 7 em ambos os alelos do gene SMN1 confirmou o diagnóstico de AME 5q. Se uma cópia completa do gene for detectada e os sintomas clínicos de AME 5q estiverem presentes, o sequenciamento genético deve ser realizado para detectar mutações pontuais.

Além de medicamentos específicos, o procedimento envolve também um grupo de avaliações e tratamentos não medicamentosos. No entanto, além desses tratamentos, é importante confirmar o diagnóstico de AME do paciente. Quanto mais cedo isso acontecer, maior será o impacto desses tratamentos. O tratamento requer fisioterapia incluindo exercícios e respiração; fonoaudiologia para minimizar o impacto na deglutição; acompanhamento nutricional; além de atendimento médico por equipe de pediatras, neuropediatras, pneumologistas, ortopedistas e outros médicos especialistas, pode ser necessário tratamento de outras especialidades médicas a depender de caso a caso.

No que diz respeito aos novos fármacos, eles mudam a evolução porque retardam a doença e, em certa medida, reduzem o processo de degeneração neuronal. Existem diferentes substâncias com diferentes vias de administração: oral, intratecal e intravenosa. Todos estes são capazes de multiplicar a quantidade de proteína SMN, aumentando assim a taxa de sobrevivência dos neurônios motores.

As substâncias que utilizam a via oral e que utilizam a via intratecal atuam no gene SMN2, obrigando-o a produzir proteínas como o gene SMN1. Os medicamentos administrados por via intravenosa contêm o gene SMN1 dentro do vírus, chamado de vetor, que transporta o material genético para as células humanas. A administração intravenosa é uma dose única, mas requer alguns cuidados extras durante a fase de tratamento.

Acerca dos medicamentos, em fevereiro de 2019, o Nusinersena (popularmente conhecido como *Spinraza*) foi adicionado à Lista de Medicamentos Essenciais do SUS no Brasil para retardar a doença.

O *Spinraza*, cuja dose custa aproximadamente R\$ 364.000,000, é uma substância sintética de aplicação na coluna vertebral, recorrente de quatro em quatro meses, que desacelera a doença, colocando-a em marcha lenta a sua acelerada progressão evolutiva fatal, porque busca evitar a degradação de 10 a 15% do total de proteína que o corpo precisa para ter vitalidade, porquanto é a quantidade máxima produzida pelas duas cópias do gene parálogo SMN2, garantindo a funcionalidade desse pequeno quantitativo (proteína de backup), devendo ser administrado por um médico ou enfermeiro em um hospital e injetado diretamente no espaço onde a medula espinhal está localizada, sendo necessária, portanto, a internação hospitalar do paciente.

Trata-se de um tratamento controlado e de uso regular e contínuo pela vida toda, pois estimula o efeito temporário da proteína que o corpo necessita, e por isso necessita de doses de manutenção a cada 04 meses, dessa forma, apresenta valores elevados de forma cumulativa pelo tempo de tratamento.

Ainda, há de se falar do *Risdiplam* (Evrysdi®, Roche), fármaco incorporado no ano de 2022 a lista de medicamentos disponíveis no SUS, é um modificador de *splicing* do gene SMN2 desenvolvido para o tratamento da AME, administrado na forma de um líquido por via oral, sendo o primeiro fármaco a utilizar esta via de administração para o tratamento de pacientes com AME.

Sua atuação sobre o *splicing* de SMN2 resulta na inclusão do exon 7 no transcrito de mRNA, aumentando assim a expressão da proteína SMN de comprimento total a partir do gene SMN2 de uma maneira dependente da dose. O *Risdiplam* atravessa a barreira hematoencefálica e é distribuído por todo o corpo, aumentando os níveis de proteína SMN funcional sistemicamente, ou seja, tanto no SNC quanto nos músculos e outros tecidos periféricos. Ao aumentar os níveis da proteína SMN no SNC e na periferia, espera-se que a progressão da doença seja adiada.

O *Risdiplam* foi aprovado pelo FDA em agosto de 2020 para o tratamento da AME em pacientes com dois meses de idade ou mais. Administrado por via oral uma vez ao dia após uma refeição usando uma seringa oral. O pó para solução oral deve ser constituído para uma solução oral por um profissional de saúde antes de ser dispensado. Se o paciente não conseguir engolir e usar sonda nasogástrica ou gastrostomia, o *Risdiplam* deve ser administrado via sonda. A dosagem varia conforme idade e/ou peso corporal. Atualmente, apresenta o valor de R\$ 70.000,00 (setenta mil reais) por dose.

Outra alternativa terapêutica é o medicamento *Zolgensma* (onasemnogeno abeparvoveque) é uma terapia gênica, em dose única, com a finalidade de carrear o gene SMN1 para o interior dos neurônios, com base na incorporação desse gene em um adenovírus atenuado, corrigindo a informação genética que causa a doença. Essas células se tornarão funcionais, de forma estável (para toda a vida), garantindo a preservação dos neurônios motores da medula, restaurando a produção da proteína SMN deficiente de maneira definitiva, e na quantidade necessária, propiciando ganhos motores progressivos.

É considerado o tratamento mais moderno e eficiente para a patologia em questão, e está devidamente aprovado pela ANVISA, justamente para o tratamento AME (Atrofia Muscular Espinhal) tipo I e para crianças com até dois anos de idade, conforme indica a Portaria da Anvisa (Registro 1006811740131) que aprovou esse tratamento.

Apresenta o valor de USD 2.125.000,00 (dois milhões de cento e vinte e cinco mil dólares), aproximadamente, R\$ 10.072.500,00 (dez milhões, setenta e dois mil e quinhentos reais), sendo a dose única. No entanto, a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos fixou o custo de cerca de R\$ 2,9 milhões em 2020. Em fevereiro de 2022 foi aprovada a majoração para R\$ 6,5 milhões, estabelecendo o preço máximo do medicamento no Brasil. Contudo, não há garantia de que o Ministério da Saúde conseguirá comprar o medicamento por este preço, pois a farmacêutica Novartis, pedia R\$ 9,7 milhões como valor teto, cifra que equivale ao menor preço no mercado internacional. Atualmente, como o remédio não é vendido no Brasil e está fora do SUS (Sistema Único de Saúde), a União paga o produto usado contra a AME (atrofia muscular espinhal) pelo preço internacional, cerca de R\$ 10 milhões, após decisões da Justiça.

Por fim, importante salientar que, conforme descrito acima, as duas opções de tratamento disponíveis no SUS, quais sejam, os fármacos *Spinraza* e *Risdiplam*, são terapias que precisam ser administradas através de diversas dosagens no decorrer da vida do paciente. Enquanto o medicamento *Zolgensma*, fármaco que será destaque no presente estudo, possui apenas uma dose.

4. ZOLGENSMA – A POLÊMICA NA DISPONIBILIZAÇÃO DO MEDICAMENTO

O presente capítulo tratará acerca do medicamento *Zolgensma* e todos os ramos que o englobam e o tornam tão polêmico na sociedade atual.

Inicialmente, será abordado fenômeno da judicialização do medicamento, para que se compreenda as razões pelas quais os pacientes que necessitam do referido fármaco o pleiteiam por via judicial.

Em seguida, será abordado o custo do medicamento no Brasil e o impacto financeiro que gera na receita pública, com uma análise comparativa feita a partir de pesquisas no banco de dados da Justiça Federal da 1ª, 2ª, 3ª, 4ª e 5ª Região, utilizando-se das palavras-chaves “*Zolgensma*”; “AME”; “Atrofia Muscular Espinhal” e “terapia genica”

Após, virão as excepcionalidades do medicamento, como o fator idade do paciente e progressão da doença, para que se compreenda por que o fornecimento do medicamento tem que ocorrer de forma ágil.

Por fim, serão expostos os estudos de viabilidade do medicamento, para que se possa compreender o nível de eficácia e segurança dele, tendo em vista que se trata de uma tecnologia que, supostamente, possui a cura da AME.

4.1. JUDICIALIZAÇÃO DE MEDICAMENTOS

Inicialmente, é importante ressaltar o significado do termo judicialização. Trata-se da abordagem de questões com amplas ramificações sociais e políticas que estão sendo decididas pelo judiciário e não pelos poderes convencionais, neste caso o Poder Executivo e o Poder Legislativo.

A judicialização da saúde pode ser entendida como um mecanismo legal utilizado pelos cidadãos, que ingressam com ações judiciais contra o Estado para garantir o direito à saúde e o direito a determinados tratamentos ou medicamentos não protegidos pelo SUS.

Discutir a judicialização da saúde significa, portanto, analisar como se dá cada vez mais o acesso à saúde, principalmente no que se refere ao acesso a tratamento e medicamentos.

De acordo com a Constituição Federal, o direito à saúde é um direito social e uma obrigação nacional, e sua efetivação depende da formulação e implementação de políticas públicas de saúde. Seu objetivo é melhorar as condições de vida das pessoas e equilibrar as desigualdades. Para cumprir essas disposições legais, as políticas de saúde devem ser implementadas coletivamente. Segundo Simões (2005, p.107):

A judicialização da saúde no Brasil, dentre todas as suas conseqüências, conseguiu trazer o tema do efetivo cumprimento do direito fundamental à saúde para o centro do debate nas instituições gestoras das políticas públicas de saúde. Adicionalmente, a judicialização exigiu ainda respostas imediatas frente às demandas que se apresentam em um volume cada vez mais crescente [...]

Atualmente, são cada vez mais comuns as demandas judiciais para que o Estado, o Município ou a União Federal financie suas obrigações de garantir o direito à saúde, essas ações incluem inúmeras solicitações de tratamento e medicamentos, a maioria não coberta pelo SUS.

A concessão judicial de um tratamento a pacientes que não passaram ou não foram avaliados pelo SUS pode trazer uma série de riscos, como: erro de diagnóstico, risco de fraude contra o setor público, indicação de tratamento de alto custo inadequado ou não incorporado ao SUS, favorecimento de pacientes que poderiam arcar com os seus tratamentos em detrimento dos menos favorecidos economicamente, dentre outros.

Por essa razão, os tribunais passaram a exigir que junto ao protocolo das ações, esteja a prescrição médica do SUS e comprovação de solicitações administrativas anteriores. A exigência do pedido administrativo prévio foi amplamente citada na decisão do Recurso Especial (RE) 566471/2020 do STF, que também menciona a exigência de prescrição médica

do SUS. Veja-se:

Voto Min. Edson Fachin

1. Demonstração de prévio requerimento administrativo junto à rede pública. Justificativa: Os pedidos ajuizados para que o Poder Judiciário forneça ou custeie medicamentos ou tratamentos de saúde devem ser objeto de prévio requerimento à administração, a quem incumbe responder fundamentadamente e em prazo razoável. Ausente o pedido administrativo, cabe ao Poder Judiciário previamente ouvir o gestor público antes de apreciar os pedidos de liminar. Essa requisição tem por escopo reafirmar a importância do prévio requerimento administrativo para o fornecimento de medicamento, sendo possível o ajuizamento de ação judicial apenas após a decisão administrativa (ou omissão desta em dar uma resposta fundamentada em tempo razoável) [...]

2. Preferencial prescrição por médico ligado à rede pública. Justificativa: Essa diretriz possui dupla justificação legal, ligada ao dever imposto pelo regime jurídico desses profissionais (Lei 9.787/99 – Art. 3º): Em primeiro lugar, os profissionais da saúde do sistema único de saúde conhecem os protocolos do sistema e somente devem descartá-los justificadamente; ou seja: a preferência da prescrição é sempre pelos protocolos adotados e incorporados na rede pública e, somente após o descarte dessa possibilidade é que – justificadamente – optarão por medicamentos/tratamentos etc. não incorporados para o caso concreto. Assim, a prescrição de medicamento não incorporado realizada pelo médico do SUS conta com presunção de que a sua escolha já se deu com critérios de exclusão em relação aos incorporados. Em suma: as ações que versem sobre pedidos para que o Poder Público promova a dispensação de medicamentos ou tratamentos, devem ser instruídas com prescrição de médico em exercício no Sistema Único de Saúde, ressalvadas as hipóteses excepcionais, devidamente justificadas, em que o médico indique os motivos da imprestabilidade ou ineficácia das opções terapêuticas dispensadas na rede pública.

Voto Min. Gilmar Mendes

Nos casos excepcionais, também como já manifestado na STA [Suspensão de Tutela Antecipada] 175, entendo que é imprescindível que haja instrução processual, com ampla produção de provas, para que não ocorra a produção padronizada de iniciais, contestações e sentenças – peças processuais que, muitas vezes, não contemplam as especificidades do caso concreto, impedindo que o julgador concilie a dimensão subjetiva (individual e coletiva) com a dimensão objetiva do direito à saúde –, privilegiando, na medida do possível, as políticas públicas existentes e o acionamento prévio da Administração Pública, via pedido administrativo.

Voto Min. Luís Roberto Barroso

Em regra, o ajuizamento da ação somente pode se dar após a decisão administrativa denegatória ou quando verificada uma irrazoável demora para proferir a decisão, sob pena de inverter a lógica de funcionamento do próprio sistema de saúde 12. O Judiciário não pode se transformar na porta principal de entrada das demandas por medicamentos. A solicitação administrativa é essencial para fins de organização do SUS, além de evitar que a máquina judicial seja movida sem necessidade. Com o pedido, a Administração consegue identificar (e possivelmente sanar) eventuais desabastecimentos, aprimorar aspectos logísticos envolvidos na dispensação e produzir fundamentos para a negativa de fornecimento que poderão até mesmo facilitar a instrução de futura demanda judicial.

Portanto, diante das solicitações de pacientes que falham nos serviços públicos de saúde, é preciso insistir que o tratamento não deve ser fornecido mesmo com pedido liminar, sem que o SUS tenha uma avaliação do paciente. O sistema de saúde deve ter a possibilidade de contestar os laudos médicos apresentados pelos pacientes; atender os serviços públicos em

igualdade de condições com os demais usuários; propor alternativas de tratamento; considerar a concessão do tratamento especial solicitado; ou especificar, neste caso específico, as razões de recusa do fornecimento.

4.2. O CASO ZOLGENSMA

4.2.1. INDISPONIBILIDADE NO SUS EM RAZÃO DO CUSTO

Cada país define os preços dos medicamentos de acordo com sua estrutura, regras e poder de compra. No Brasil, a CMED (Câmara Reguladora do Mercado de Medicamentos) é responsável por fixar os preços máximos dos medicamentos.

Na hipótese de um paciente precisar de um medicamento que o SUS ainda não fornece e não puder comprá-lo, ele pode entrar com uma ação na cidade, estado ou união (ou os três) para ter seu tratamento custeado pelo governo. Os pacientes também podem obter medicamentos ainda não registrados na Anvisa, mas vendidos no exterior.

O *Zolgensma*, fármaco pleiteado pelos pacientes que possuem AME, não está disponível na lista de medicamentos do Sistema Único de Saúde e é comercializado no exterior. Faz-se necessário, portanto, o preenchimento de alguns requisitos formulados pela Corte do Supremo Tribunal Federal, por meio do julgamento de mérito do RE 657.718 (Tema 500) em tese de Repercussão Geral, para pleiteá-lo judicialmente:

- “1. O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais.
2. A ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial.
3. É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:
 - (I) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras);
 - (II) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e
 - (III) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.
4. As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União”

Da necessidade de criação do Tema 500 do STF e da leitura dos trechos acima, entende-se que, não há uma lei específica que obrigue o ente-público a comprar medicamentos de alto custo para os pacientes que possuem doenças raras. No entanto, insta ressaltar que a

Constituição Federal, em seu art. 196, prevê o dever do Estado em garantir a saúde, já que se trata de um direito universal.

A Resolução 66, de 10 de julho de 2020, zerou o custo do ICMS – Imposto Sobre Circulação de Mercadorias e Serviços, o que facilitaria a importação do fármaco e o acesso ao tratamento por crianças brasileiras.

Em janeiro de 2020, houve solicitação de registro do medicamento pela ANVISA, que se manifestou através do Despacho nº 22/2020/SEI/GSTCO/DIREI/ANVISA, fazendo constar que:

“O supracitado produto foi aprovado nos Estados Unidos pelo Food and Drugs Administration (FDA), em maio de 2019, após longos estudos supervisionados pela Agência Reguladora americana, sendo necessário, devido a complexidade envolvida, ser aprovado em situação específica para doença rara, sob rígidas condições de monitoramento de dados pós comercialização, para comprovação final de segurança e eficácia. A Anvisa recebeu o Dossiê de registro do Zolgensma, no dia 13/01/2020 e está analisando os estudos desde o início visto que os ensaios não clínicos e clínicos não foram realizados no Brasil. Desta forma, conforme observado, são 15 dias úteis de avaliação da Anvisa até o momento, considerando os inúmeros dados e informações deste produto inovador, com base numa tecnologia disruptiva, o processo segue em análise com colaboração de especialistas da Câmara Técnica de Terapias Avançadas da Anvisa. Informo que o produto está sendo avaliado com prioridade, devido a raridade da doença envolvida e a falta de alternativas terapêuticas eficazes no mercado brasileiro, em caráter excepcional, utilizando elementos regulatórios internacionais e o estado da arte atual, devido a não disponibilidade de normativa específica regulatória que enquadre o registro de determinado produto”

O medicamento já possui aprovação na Anvisa sob o registro nº 1006811740131, em agosto de 2020, sendo certificado pela Agência Reguladora com a seguintes justificativas:

Engenharia genética

Desenvolvido por engenharia genética, é um produto de terapia avançada, do tipo terapia gênica, composto por um vetor viral que carrega uma cópia funcional do gene humano responsável pela produção da proteína SMN, capaz de restaurar a função do neurônio motor no organismo dos pacientes.

Os estudos realizados até o momento com o Zolgensma demonstraram que uma aplicação única do produto pode melhorar a sobrevivência dos pacientes, reduzir a necessidade de ventilação permanente para respirar e alcançar marcos de desenvolvimento motores. Os efeitos colaterais do produto são considerados controláveis, sendo que o mais comum observado nos estudos foi o aumento das enzimas hepáticas, resolvido após tratamento com corticosteroides.

A Anvisa avaliou, portanto, que os benefícios do Zolgensma são superiores aos seus riscos e pode ser registrado no Brasil. No entanto, por ser uma terapia gênica inovadora, foi aprovado um registro de caráter excepcional. Isso significa que estudos adicionais devem ser realizados pela empresa para a confirmação de sua eficácia e segurança em longo prazo.

Regularização

A Anvisa, após desenvolver o marco regulatório para o registro de produto de terapia avançada no Brasil com a publicação da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 338/2020, criou um ambiente regulatório seguro para a aprovação de produtos dessa

natureza no país.

O processo de registro do Zolgensma envolveu a análise de:

- Comprovação de segurança, por meio de dados de experimentos pré-clínicos.
- Comprovação de segurança e eficácia, por meio de dados de estudos clínicos.
- Comprovação de produção com requisitos de qualidade e boas práticas de fabricação na indústria produtora nos Estados Unidos.
- Estudos de estabilidade e mecanismos de distribuição do produto no Brasil, bem como processos controlados de importação.
- Avaliações das estratégias para orientações e precauções de cuidados especiais ao paciente.
- Estratégias de monitoramento e gerenciamento de risco após a administração do produto aos pacientes no Brasil.

O processo de registro envolveu também a responsabilização da empresa pelo treinamento dos profissionais responsáveis pela infusão do produto, bem como pela qualificação prévia dos estabelecimentos hospitalares brasileiros para o correto armazenamento e controle do produto antes de sua administração.

Vale ressaltar que a Anvisa também integrou ao processo avaliativo do registro os processos de Certificação de Boas Práticas de Fabricação (CBPF) dos produtores do componente ativo e do produto final, concluindo, por meio de análise documental, que o processo de fabricação do Zolgensma nos Estados Unidos demonstra ter qualidade consistente e controlada.

O processo de avaliação técnica do novo produto foi efetivado por quatro especialistas da Agência, com a participação de três consultores ad hoc da Rede Nacional de Especialistas em Terapias Avançadas e da Câmara Técnica (CAT) de Terapias Avançadas da Anvisa, formada por cientistas das principais instituições de pesquisa do Brasil.

Zolgensma é um tratamento para crianças com atrofia muscular espinhal (AME) e é produzido pela empresa suíça Novartis. Para incorporá-lo ao SUS, em dezembro do mesmo ano de registro, a CMED – Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos, fixou o valor do medicamento no máximo de R\$ 2.900.000,00 (dois milhões e novecentos mil reais).

Contudo, a fabricante fixou o valor do medicamento em cerca de 12 milhões de reais e contra a decisão que fez a precificação do medicamento no Brasil, interpôs recurso sob a justificativa de que “[...] os medicamentos hoje utilizados para essa doença e para outras doenças raras cobertas pelo SUS representam um tratamento de uma vida inteira. Essa terapia reverte a história natural da doença com uma única dose, apenas”. Além disso, ressaltou Omar Akl, diretor-executivo da unidade de negócios de Terapia Gênica da Novartis, que o *Zolgensma* é um fármaco de alta complexidade que restitui um gene defeituoso, que traz uma fronteira nova da ciência e da inovação.

Em resposta, a CMED majorou o valor do medicamento para R\$ 5.700.000,00 (cinco milhões e setecentos mil reais) para incorporação ao Sistema Único de Saúde – SUS, que atualmente está sendo avaliada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), podendo sofrer ratificação pelo Ministério da Saúde.

Conforme informações fornecidas pelo Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal, hoje, no Brasil, há 1.509 pacientes com AME, sendo 511 do tipo 1; 508 do tipo 2; e

367 do tipo 3. Mais de 900 pacientes estão em tratamento com o Nusinersena (*Spinraza*), 108 com o *Risdiplam* e 119 receberam o *Zolgensma*, sendo que 84 deles receberam a medicação pelo Poder Público, pela via judicial.

Sendo assim, considerando o valor de R\$ 12 milhões de reais por aplicação da dose do medicamento *Zolgensma*, incluindo nesse valor simbólico as demais despesas desembolsadas pelo governo para cada um dos 84 cidadãos que receberam a medicação, têm-se o total de 1.008.000.000,00 (um bilhão e oito milhões de reais).

No dia 25 de outubro de 2022, na Câmara dos Deputados, ocorreu um debate realizado pela Comissão de Seguridade Social e Família acerca da incorporação do fármaco em comento no SUS. Esteve presente o Ministro da Saúde, Sr. Marcelo, que deu as seguintes considerações:

“Eu, como ministro da Saúde, tenho que atuar para fazer os devidos filtros para garantir que essas incorporações aconteçam no âmbito da sustentabilidade do SUS e que promovam o que nós chamamos de custo de oportunidade. Às vezes, a autoridade sanitária precisa ser um pouco dura para garantir que tenhamos a verdadeira ampliação de acesso [...] é óbvio que o Ministro da Saúde não pode fazer tudo que quer, até porque o orçamento público é finito. É aquela teoria do cobertor curto. Cobre o pé e descobre a cabeça. Temos de fazer justiça distributiva para promover equidade, conforme dispõe a Constituição Federal”.

Como bem disse o ministro, os recursos orçamentários são finitos, portanto, faz-se necessário um estudo para promover equidade de tratamento entre os cidadãos que possuem doenças raras.

Em seguida, Queiroga lembrou que no ano de 2021, a Pasta usou R\$ 2,2 bilhões do orçamento com ações judiciais para atender 6,6 mil pessoas. “Isso é quase o custo do programa Farmácia Popular do Brasil”, apontou.

Assim, em uma rápida análise, têm-se que o valor de o total de 1.008.000.000,00 (um bilhão e oito milhões de reais), dispensado apenas para o fornecimento do medicamento *Zolgensma* a 84 pessoas portadoras da AME corresponde a quase metade dos custos divididos entre 6,6 mil pessoas.

Ainda, de acordo com informações replicadas pela CNN Brasil diretamente do Jornal O Estado de São Paulo, no ano de 2022, o programa Farmácia Popular citado por Queiroga orçou cerca de R\$ 2,04 bilhões a serem gastos com mais de 21 milhões de brasileiros. E mais, em 2023 a previsão é de que esse valor diminua para R\$ 1,48 bilhão.

Conclui-se, portanto, que o valor gasto com cerca de 84 pessoas com a aplicação de apenas uma dose do medicamento *Zolgensma* é quase que capaz de custear todo o orçamento de um programa que prevê a gratuidade de medicamentos de asma, hipertensão e diabetes para

toda a população brasileira.

Salienta-se que, o valor simbólico de R\$ 1,08 bilhão é o aproximado para suprir apenas a aplicação do medicamento *Zolgensma* e as demais despesas para aplicação dos 84 cidadãos que pleitearam o medicamento judicialmente. Porém há a possibilidade desses cidadãos terem utilizado dos medicamentos *Spinraza* e *Risdiplam*, dentre outras opções terapêuticas como fisioterapias, consultas com profissionais da saúde etc.; o que majora ainda mais os custos.

Com o objetivo de aprimorar ainda mais essas buscas e verificar a veracidade das informações, foram realizadas buscas no banco de dados dos seguintes tribunais: Tribunal Regional Federal da 1ª Região – TRF1, Tribunal Regional Federal da 2ª Região – TRF2, Tribunal Regional Federal da 3ª Região – TRF3, Tribunal Regional Federal da 4ª Região – TRF4 e Tribunal Regional Federal da 5ª Região – TRF5; utilizando-se das palavras-chaves “*Zolgensma*”; “AME”; “Atrofia Muscular Espinhal” e “terapia genica”.

Da pesquisa supracitada, foram extraídos os seguintes dados:

- Localizados 108 casos, dentre eles: 67 cujo pedido liminar para fornecimento do medicamento *Zolgensma* foi deferido; 39 cujo pedido liminar para fornecimento do medicamento *Zolgensma* foi indeferido e 2 cujo em que os magistrados postergaram o momento de apreciação das tutelas pleiteadas, por entenderem que é necessária a realização de perícia judicial antes de qualquer decisão acerca da tutela de urgência;
- A União Federal integrou o polo passivo de 82 ações judiciais, as demais demandaram contra o estado, município ou plano de saúde;
- Dos 67 pacientes cujo as liminares estão em vigor, 22 já receberam a aplicação do medicamento *Zolgensma*;
- Dos 22 pacientes que receberam a aplicação do medicamento, 1 veio a óbito após a infusão da dose;
- Em 22 casos o Réu suscitou a questão da precificação do medicamento pela CMED, com o intuito de diminuir o valor a ser pago pelo medicamento. No entanto, 14 pedidos sequer foram analisados e 8 foram negados, mantendo os valores pleiteados pelos Autores;

- Em 1 caso dentre os 22 em que a União Federal depositou o valor para fornecimento do medicamento, ocorreu a juntada de petição pelo Ministério Público Federal requerendo que o Autor, no prazo de 24 horas, manifeste-se sobre o que foi feito com os recursos recebidos, tendo em vista que está inerte. Nos autos do processo, consta que do total depositado na conta do Autor em maio de 2021, de R\$ 11.873.710,15 (onze milhões, oitocentos e setenta e três mil, setecentos e dez reais e quinze centavos), só foi encontrado o valor de R\$14.481,99 (quatorze mil, quatrocentos e oitenta e um reais e noventa e nove centavos) e mesmo após reiteradas vezes ser intimado a fazer o depósito judicial ante a não comprovação de compra do medicamento, não apresentou resposta. Ocorreu a remessa de cópia dos autos para a Polícia Federal para instauração de inquérito policial e foram bloqueados os valores remanescentes na conta bancária do Autor;
- O custo total despendido com a aplicação do medicamento e demais despesas aos 22 pacientes foi de R\$ 231.863.008,52 (duzentos e trinta e um milhões, oitocentos e sessenta e três mil, oito reais e cinquenta e dois centavos).

Sendo assim, com o resultado das buscas, nítido que em razão do alto custo do medicamento *Zolgensma*, bem como os riscos provenientes do protocolo das ações judiciais que o pleiteiam, é necessário um estudo aprimorado acerca de todas as situações custosas que envolvem o fármaco, para que seja possível a sua inserção no Sistema Único de Saúde.

Na tentativa de inserir o *Zolgensma* no SUS, surgiu o movimento *Zolgensma* para Todos, um grupo de voluntários e familiares de crianças com AME, motivados pela campanha de arrecadação realizada para Antonella Garcia Moro, que foi a primeira brasileira a conseguir comprar o medicamento. Desde o início de 2020, o grupo realiza operações online e presenciais para fazer denúncias às autoridades, em razão da falta de definição da comercialização do medicamento pelo Ministério da Saúde. A última ação dos voluntários do movimento social, em outubro de 2021, levou a um pedido urgente da Câmara dos Deputados de Brasília para averiguar o PL 5253/20, que prevê a integração do *Zolgensma* dentre os medicamentos disponíveis na rede pública de saúde. Há outro Projeto de Lei em análise pela Comissão de Seguridade Social e Família, trata-se do PL 1531/2021, proposto pelo deputado Guilherme Mussi, também tem por objetivo garantir à pessoa com atrofia muscular espinhal (AME) o direito de receber gratuitamente terapia gênica de alto custo no SUS. Atualmente, 442 parlamentares manifestaram-se em apoio ao pedido, contudo o presidente da Câmara dos

Deputados, Arthur Lira, não apresentou nenhuma definição frente ao pedido, o que manteve o projeto arquivado.

Importante destacar que ambos os projetos deveriam ser analisados com agilidade pelos órgãos envolvidos, pois há riscos de novos processos judiciais, que podem trazer ainda mais gastos aos cofres públicos.

Por enquanto, se estabelece o seguinte dilema: salvar uma vida ou a saúde pública?

Os pacientes que recebem os tratamentos podem até se beneficiar, mas os preços desalinhados causarão consequências negativas significativas à saúde de muitos indivíduos invisíveis - aqueles em toda a sociedade que sofrerão toxicidade financeira e poderão ter que adiar os cuidados ou renunciar aos cuidados.

4.2.2.LIMITE DE IDADE PARA APLICAÇÃO EM DETRIMENTO DAS CONSEQUÊNCIAS DA DOENÇA

Ainda, além do custo do fármaco, há uma outra problemática que se faz necessário destacar: o tempo.

Apesar do artigo 226, inciso III do Código de Processo Civil prevê o prazo de 30 (trinta) dias para que seja proferida a sentença nos autos, bem como o art. 1.048 do mesmo código dispor que os portadores de doenças graves terão prioridade na tramitação dos procedimentos judiciais, em qualquer juízo ou tribunal, não é o que ocorre na realidade atual do sistema judiciário brasileiro.

Conforme o Painel de Estatísticas do Poder Judiciário elaborado pelo Conselho Nacional de Justiça o tempo médio entre o início do processo e o primeiro julgamento na Justiça Federal, quando há prioridade na tramitação, é de 1.736 dias, isto é, 4 anos e 7 meses.

Nítido, portanto, que as ações na Justiça Federal (ramo escolhido para as pesquisas realizadas no presente trabalho de conclusão de curso) costumam a ter um resultado tardio.

No entanto, conforme será demonstrado, o paciente que tem AME tipo I depende necessariamente do fator tempo.

Como já foi demonstrado anteriormente, o *Zolgensma* é um tratamento do tipo genético. Em suma, com a aplicação da dose, é inserido um pedaço de gene em células do paciente para que seja possível a produção da proteína essencial para o bom funcionamento dos neurônios. De maneira simplificada, as crianças com AME não possuem o gene produtor da referida proteína, por essa razão, os neurônios morrem e o paciente perde os movimentos progressivamente, o que desencadeia a atrofia.

O *Zolgensma* utiliza um vírus chamado AAV9, que existe no ar e é inofensivo para os

seres humanos, é por meio dele que se insere o gene produtor de proteína no organismo das crianças enfermas. No momento em que esse vírus modificado entra no corpo, ele procura células para "infectar". Uma vez que as encontra, ele se apega a elas, muito próximo dos genes originais do paciente. O organismo então produz anticorpos para combater o vírus e destruir sua "casca", liberando seu conteúdo. O gene se posiciona ao lado do DNA, passa a funcionar como se fosse do próprio organismo, e a proteína começa a ser produzida.

Adriana Bazzatto Ortega, neuropediatra do Hospital pediátrico Pequeno Príncipe, em Curitiba/PR, explica que em alguns casos, o medicamento não possui eficácia, pois como o AAV9 circula livremente pelo ar, é natural que pessoas desenvolvam anticorpos contra ele. Fazendo com que o corpo reaja imediatamente ao vírus, que é combatido e morto antes mesmo de liberar o gene na célula. Por esse motivo, a médica explicou que somente pacientes cujos exames atestem a inexistência de anticorpos contra AAV9 no seu organismo recebem a prescrição do *Zolgensma*, geralmente, crianças com até dois anos não têm os anticorpos ainda e, portanto, a idade é tida como limite para o tratamento com o medicamento.

A neuropediatra Adriana Bazzatto Ortega também disse que o *Zolgensma* evita que os neurônios morram por falta da proteína, mas não tem efeito nas células que já estão mortas. Portanto, quanto mais precoce o diagnóstico e tratamento da AME, melhor, pois há a possibilidade de se ter menos sequelas da doença. Sobre o tratamento, ela disse desconhecer casos de efeitos colaterais permanentes, afirmando ao Portal UOL de Notícias que: "Tomou o *Zolgensma* uma vez, passa a produzir a proteína para sempre".

Da leitura da bula do medicamento, é possível extrair que o seu uso é recomendado para crianças até os 2 (dois) anos de idade, conforme as recomendações para ingestão do fármaco:

1.INDICAÇÕES

Zolgensma® é uma terapia gênica baseada em um vetor viral adeno-associado, indicada para o tratamento de pacientes pediátricos abaixo de 2 anos de idade com atrofia muscular espinhal (AME), com:

- mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e diagnóstico clínico de AME do tipo I, ou;
- mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e até 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2).

[...]

Pacientes pediátricos

A administração de *Zolgensma*® a neonatos prematuros antes de alcançarem a idade gestacional a termo deve ser considerada com cautela. A segurança e a eficácia de *Zolgensma*® não foram estabelecidas nestes pacientes. A segurança e a eficácia de

Zolgensma® em pacientes pediátricos com 2 anos de idade ou mais não foram estabelecidas.

Portanto, a título de exemplo, uma criança de 6 meses que ingressa na via judicial pleiteando o medicamento, tem até os seus dois anos completos para receber a aplicação de *Zolgensma*. Ou seja, um período de aproximadamente um ano e meio para o trâmite judicial, compra do medicamento e internação do paciente para aplicação. Porém, até a conclusão de todos esses procedimentos, a criança precisa resistir às dificuldades que, de acordo com o portal Juntos Pela AME, são as principais causas de morte de cerca de 68% dos pacientes antes dos dois anos de idade: respiratórias, motoras e de alimentação que causam, respectivamente, insuficiência respiratória com consequente fraqueza e hipotonia da musculatura respiratória com deformidades no tórax, perda da maioria da movimentação e deficiência nutricional acompanhada de risco de broncopneumonias de repetição.

Importante salientar que, acerca da hipótese acima, faz-se necessário que esse paciente de 6 meses tenha um diagnóstico precoce da doença, já nos primeiros dias de vida, para que assim esgote todas as possibilidades de tratamento disponibilizadas pelo Sistema Único de Saúde, restando apenas o *Zolgensma* como opção de tratamento.

Ainda, apesar da bula possuir indicação de aplicação em pacientes até os dois anos de idade, a própria ao realizar os estudos para conferir os resultados de eficácia, utilizou bebês até os 8 (oito) meses de vida:

2. RESULTADOS DE EFICÁCIA

A eficácia de Zolgensma® está estabelecida com base em três estudos.

Estudo de Fase 3 AVXS-101-CL-303 em Pacientes com AME Tipo 1 O AVXS-101-CL-303 (Estudo 303) é um estudo de Fase 3, aberto, de braço único, de dose única da administração intravenosa de Zolgensma® na dose terapêutica ($1,1 \times 10^{14}$ gv/kg). Vinte e dois pacientes foram incluídos com AME de início na infância. A idade dos pacientes na administração variou de 0,5 a 5,9 meses. Dos 22 pacientes incluídos, três pacientes descontinuaram o estudo e dois pacientes apresentaram um evento (morte ou ventilação permanente), que levou a 90,9% (IC de 95%: 79,7%, 100,0%) de sobrevida livre de eventos (vivos sem ventilação permanente) em 14 meses de idade (consulte a Figura 1).

(...)

Estudo de Fase 1 AVXS-101-CL-101 em Pacientes com AME Tipo 1 Os resultados observados no Estudo 303 são corroborados pelo estudo AVXS-101-CL-101 (estudo de Fase 1 em AME Tipo 1, Estudo 101), no qual Zolgensma® foi administrado na forma de uma infusão intravenosa única em 12 pacientes de 2,6 kg a 8,5 kg (0,9 a 7,9 meses de idade).

(...)

Estudo de Fase 3 AVXS-101-CL-304 em Pacientes com AME pré-sintomática O Estudo CL-304 é um estudo de Fase 3 em andamento, global, aberto, de braço único, de dose única, multicêntrico, de Zolgensma® intravenoso em pacientes recém-nascidos pré-sintomáticos de até 6 semanas de idade com previsão de desenvolvimento de AME Tipo 1 ou 2 com 2 ou 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2)

(...)

A segurança do Zolgensma® foi estudada em pacientes pediátricos que receberam infusão aos 0,3 a 7,9 meses (variação de peso entre 3,0 kg a 8,4 kg). Consulte o item “9. REAÇÕES ADVERSAS”.

A eficácia do Zolgensma® foi estudada em pacientes pediátricos que receberam infusão de Zolgensma® aos 0,5 a 7,9 meses (variação de peso entre 3,6 kg a 8,4 kg). Consulte o item “2. RESULTADOS DE EFICÁCIA”.

Os dados sobre a eficácia e segurança do uso de Zolgensma® em pacientes com idade superior a 6 meses e peso superior a 13,5 kg são limitados. O médico deve avaliar a relação benefício versus risco para a realização da infusão, considerando a condição do paciente.

Diante, portanto, dos elementos acima demonstrados, conclui-se que a bula é contraditória e há exigências feitas pelo próprio fabricante para a garantia mínima da eficácia e segurança na utilização do medicamento, qual seja, a idade máxima de 8 meses.

No Brasil, mesmo sem evidências científicas ou autorização da ANVISA (que concedeu o registro do medicamento e autorização para uso em crianças de até dois anos de idade), de acordo com o portal G1 em notícia do Fantástico, uma mãe conseguiu conquistar o *Zolgensma* para o seu filho de 7 anos. Cauã Sigawara, que possui 20,6 kg, foi diagnosticado com a AME tipo 2 quando tinha 1 ano de idade e obteve a medicação após a prescrição da medicação para crianças de até 21 kg, realizada por algumas agências reguladoras da União Europeia e países como Canadá e Coreia do Sul. Na decisão, o Exmo. Ministro Presidente do STF, Luiz Fux, reconheceu o direito da criança para receber o *Zolgensma*. Veja-se:

“(…) Com efeito, na formulação da tese do Tema 500 da Repercussão Geral, esta Corte afirmou a regra geral de que o Estado não pode ser obrigado a fornecer, mediante decisão judicial, medicamentos não registrados pela Anvisa. No entanto, na ocasião, esta Corte também assentou a possibilidade de sua concessão excepcional, consoante os seguintes parâmetros, in verbis:

1. O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais.
2. A ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial.
3. É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos: (I) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras); (II) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e (III) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil. [...] (STF, RE 657.718, Plenário, Redator do acórdão Ministro Roberto Barroso, julgamento em 22/5/2019). In casu, os

representantes da criança apresentaram novas informações que permitem aferir que o Zolgensma apesar de medicamento registrado pela ANVISA apenas para uso em crianças de até 2 (dois) anos de idade, tem a aprovação de agências renomadas no exterior para uso em crianças mais velhas. O pedido de reconsideração veicula, ainda, relatos científicos de eficácia e de segurança da terapia com o medicamento para pacientes em condições similares à requerente, em outros países. Reporta-se, ainda, que a situação específica da criança não comporta substituto terapêutico disponível. Nesse sentido, tratando o caso dos autos de medicamento órfão para doença rara, os requisitos da tese vinculante formada por esta Corte parecem estar atendidos. Ademais, merecem relevância os relatórios dos profissionais médicos que acompanham a criança, os quais corroboram a necessidade de prescrição do medicamento, inclusive considerando as condições de idade e de peso da interessada, para, de forma segura e eficaz, minimizar os efeitos da doença que sofre.” (STP 803/SP)

Ante todo o exposto, têm-se que o tempo para disponibilização do tratamento adequado a aqueles que sofrem com a patologia em comento é essencial, pois um dia a mais com a falta deste, pode ser fatal. Ainda, há uma grande polêmica em torno da idade em que se pode ingerir o medicamento, tendo em vista que se trata de um remédio novo e inovador, cujo efeitos da tecnologia são duvidosos.

4.2.3.A NOVA TECNOLOGIA POSSUI EFICÁCIA E SEGURANÇA?

A eficácia e segurança do medicamento *Zolgensma* representam um impasse quando o medicamento é pleiteado judicialmente. Isto, pois há estudos e ensaios clínicos favoráveis e desfavoráveis ao uso do remédio para combater a AME.

Com o objetivo de entender ambas as narrativas para recomendação ou não do remédio, será realizado um comparativo entre dois estudos: O Parecer Técnico-Científico elaborado pelo Núcleo de Ensino e de Pesquisa do Hospital Sírio Libanês e o Parecer-Técnico da Agência Europeia de Medicamentos, elaborado pelo Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP).

O primeiro estudo, que costuma a ser apresentado pela União Federal em suas defesas, possui evidências de que a disponibilização do *Zolgensma* para tratamento da AME é incerta. Vejamos:

“[...] considerando as limitações metodológicas apresentadas pelos estudos finalizados (estudos não randomizados, sem grupo comprador direto, sem mascaramento, com alto risco de viés de relato seletivo e de dados incompletos dos desfechos), as evidências para apoiar a tomada de decisão sobre o uso do Zolgensma® para o tratamento da AME são incertas. Conclusão: diante do cenário de doença rara, e no qual as evidências disponíveis são limitadas, o processo de tomada de decisão quanto a recomendação/uso do Zolgensma® deve considerar: (a) as dificuldades relacionadas ao desenvolvimento de estudos de alta qualidade metodológica e com resultados mais confiáveis, (b) a possibilidade de que tais estudos não sejam desenvolvidos ou o sejam em um prazo longo e (c) a disponibilidade de outras opções terapêuticas para AME que sejam eficazes e já estejam incorporadas ao SUS.”

O Parecer Técnico Científico do NATS-HSL contém o progresso atual da pesquisa científica, indicando que apenas três estudos de corte foram concluídos e que a equipe relata que, devido à falta de comparações diretas, grupos de qualidade técnica inferior e presença de vários vieses, há baixa qualidade técnica na análise, tornando as conclusões acerca da eficácia e segurança do remédio em debate incertas.

Ainda, da leitura do estudo mencionado, observa-se a demonstração pelo NAT-HSL da presença de alto risco de viés de relato seletivo dos desfechos. No estudo “*STRIVE-US*”, por exemplo, o desfecho primário “sentar-se sem auxílio aos 18 meses de idade” foi alterado para “sentar-se sem auxílio por 30 segundos aos 18 meses de idade”.

Quando a equipe técnica do NATS entende que os estudos científicos significativos que embasam o *zolgensma* apresentam alto risco de viés de relato seletivo de desfecho, essa questão afeta diretamente a confiabilidade do estudo. Como explicado no Parecer Técnico-Científico, utilizou-se ferramenta da Colaboração Cochrane (que é uma organização internacional que tem por objetivo ajudar na tomada de decisões baseadas em informações de boa qualidade na área da saúde) para avaliação do risco de viés dos ensaios existentes.

Complementa a equipe do NAT-HSL que os estudos apresentam limitações metodológicas de planejamento, condução e relato, o que aumenta o risco de viés e reduz a certeza das evidências, bem como afirmam que nenhum dos estudos identificados no PTC (finalizados ou em andamento) tem o delineamento de um ensaio clínico randomizado duplo-cego (desenho de estudo primário mais adequado para avaliar efeitos de intervenções em saúde).

Já o Parecer-Técnico da Agência Europeia de Medicamentos, elaborado pelo Comitê dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP), apresentado pelos pacientes que pleiteiam o medicamento em questão, admite que não é possível avaliar a eficácia e segurança em razão de estudos inconclusivos, mas recomendam o uso do produto sob a justificativa de que a aplicação da dose, conforme os estudos realizados, causa melhora aos pacientes. Veja-se:

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Os resultados disponíveis dos dois estudos finalizados (NCT02122952 com dados de 12 participantes e NCT03306277 com dados de 22 participantes) mostram algum efeito do onasemnogene abeparvovec-xioi para pacientes com AME em fases iniciais. No entanto, a falta de um grupo comparador direto limita a avaliação de sua eficácia e segurança. O risco de viés dos dois estudos é alto para quase todos os critérios avaliados. Os estudos realizados até o momento com o Zolgensma demonstraram que uma aplicação única do produto pode melhorar a sobrevivência dos pacientes, reduzir a necessidade de ventilação permanente para respirar e alcançar marcos de desenvolvimento motores 1.

[...]

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O medicamento foi elaborado com a proposta de ser uma terapêutica curativa definitiva para a AME, haja vista que a criança que possui a AME tipo 1 não possui a cópia do gene SMN1 (proteína neuro motora). Até o momento, os estudos vêm mostrando que o medicamento é capaz de melhorar a sobrevivência dos pacientes, reduzir a necessidade de ventilação permanente para respirar e alcançar marcos de desenvolvimento motores.

Deste modo, têm-se que, não há um estudo que conclua acerca da segurança e eficácia a longo prazo do fármaco. Portanto, faz-se necessário utilizar de outros métodos para avaliação do desempenho, tais como, avaliação dos pacientes que receberam a dose para que seja possível verificar a evolução de caso a caso.

5. O CUSTO DOS DIREITOS

O presente capítulo tratará acerca dos custos para a implementação da política pública que está sendo discutida no presente trabalho, qual seja, o fornecimento do medicamento *Zolgensma*, conhecido por ser o mais caro do mundo.

Será feita uma análise do princípio da reserva do possível em detrimento da escassez de recursos públicos no Brasil. Em seguida, passar-se-á por uma abordagem do ativismo judicial e os motivos pelos quais na presente temática, não poderia o Poder Judiciário intervir diretamente em funções que cabem à Administração Pública. Por fim, será verificada a possibilidade de alocação de recursos e escolhas orçamentárias.

5.1. IMPLEMENTAÇÃO DOS DIREITOS SOCIAIS – PRINCÍPIO DA RESERVA DO POSSÍVEL X ESCASSEZ DE RECURSOS

O foco da efetivação do direito à saúde na distribuição de medicamentos é o que hoje se denomina de Política Nacional de Medicamentos, regulamentada pela Portaria nº 3.916/98, criada conforme as diretrizes do SUS. Sobre a assistência medicamentosa, diz o item 3.3 do referido diploma:

3.3 [...] O processo de descentralização, no entanto, não exime os gestores federal e estadual da responsabilidade relativa à aquisição e distribuição de medicamentos em situações especiais. Essa decisão, adotada por ocasião das programações anuais, deverá ser precedida da análise de critérios técnicos e administrativos. Inicialmente, a definição de produtos a serem adquiridos e distribuídos de forma

centralizada deverá considerar três pressupostos básicos, de ordem epidemiológica, a saber: a) doenças que configuram problemas de saúde pública, que atingem ou põem em risco as coletividades, e cuja estratégia de controle concentra-se no tratamento de seus portadores; b) doenças consideradas de caráter individual que, a despeito de atingir número reduzido de pessoas, requerem tratamento longo ou até permanente, com o uso de medicamentos de custos elevados; c) doenças cujo tratamento envolve o uso de medicamentos não disponíveis no mercado.

Em complemento, faz-se necessário citar a Política Nacional de Assistência a Medicamentos por meio da Resolução nº 338/2004, que, em seu artigo 1º, inciso III, estabelece ações voltadas à implementação da assistência farmacêutica:

Art. 1º, III - a Assistência Farmacêutica trata de um conjunto de ações voltadas à promoção, proteção e recuperação da saúde, tanto individual como coletivo, tendo o medicamento como insumo essencial e visando o acesso e ao seu uso racional. Este conjunto envolve a pesquisa, o desenvolvimento e a produção de medicamentos e insumos, bem como a sua seleção, programação, aquisição, distribuição, dispensação, garantia da qualidade dos produtos e serviços, acompanhamento e avaliação de sua utilização, na perspectiva da obtenção de resultados concretos e da melhoria da qualidade de vida da população;

Percebe-se, portanto, que, se houver evidência de que um paciente necessita de um determinado medicamento, deve ser garantido o acesso ao fármaco para melhorar a qualidade de vida deste cidadão.

Ainda no que se refere à Resolução 338/2004, devem ser feitas referências às medidas a serem tomadas pela Política Nacional de Assistência a Medicamentos dispostas no artigo 2º caput e inciso VII. Vejamos:

Art. 2º - A Política Nacional de Assistência Farmacêutica deve englobar os seguintes eixos estratégicos:

VII - utilização da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), atualizada periodicamente, como instrumento racionalizador das ações no âmbito da assistência farmacêutica;

Após a leitura do dispositivo supracitado, pode-se concluir que a Relação Nacional de Medicamento (RENAME) deve ser utilizada como meio de assistência estratégica para facilitar a disponibilização de medicamentos, mas na prática acredita-se que o Estado atua como limitador de acesso aos medicamentos, levando o Judiciário a intervir para consolidar o fornecimento dos fármacos.

Em vigor estão as restrições impostas pelo poder público ao fornecimento de medicamentos, limitadas à situação financeira das pessoas físicas e à lista de medicamentos

fornecida pela RENAME, com base na tese da reserva do possível. Nesse sentido é apropriado esclarecer se esses argumentos se sustentam por meio de princípios constitucionais e em respeito aos princípios da dignidade humana.

A intervenção do Judiciário, ao decidir que a Administração Pública deve liberar medicamentos sob diversos pressupostos, visa cumprir a promessa constitucional de universalização do serviço de saúde.

Sobre a temática, o Supremo Tribunal Federal se posiciona com clareza no que diz respeito ao fornecimento de medicamentos pelo poder público:

No tocante à saúde pública, especificamente fornecimento de medicamento por parte do Estado, o STF tem posição firme no sentido de tornar efeitos direitos sociais fundamentais, determinando, inclusive, o bloqueio de verbas públicas do ente federado, em favor de pessoas hipossuficientes, a fim de lhes assegurar o fornecimento gratuito de medicamentos, conforme restou consignado no julgamento no Agravo Regimental em Recurso Extraordinário 949341, Relator Min. Celso de Mello, Segunda Turma, DJ 21/06/2016, DJe de 01/07/2016.

Portanto, diante de um caso concreto, é necessário analisar dois requisitos: provar insuficiência econômica e falta de recursos públicos para verificar qual direito deve prevalecer.

Não há dúvida de que o direito à saúde está contido no conceito de um mínimo existencial, e este é limitado pelo judiciário reservando ações possíveis. Neste sentido, manifestou-se a Ministro Celso de Mello, Relator no julgamento do Agravo Regimental nº 639.337:

- A cláusula da reserva do possível – que não pode ser invocada, pelo Poder Público, com o propósito de fraudar, de frustrar e de inviabilizar a implementação de políticas públicas definidas na própria Constituição - encontra insuperável limitação na garantia constitucional do mínimo existencial, que representa, no contexto de nosso ordenamento positivo, emanção direta do postulado da essencial dignidade da pessoa humana. Doutrina. Precedentes. - A noção de ‘mínimo existencial’, que resulta, por ilicitude, de determinados preceitos constitucionais (CF, art. 1º, III, e art. 3º, III), compreende um complexo de prerrogativas cuja concretização revela-se capaz de garantir condições adequadas de existência digna, em ordem a assegurar, à pessoa, acesso efetivo ao direito geral de liberdade e, também, a prestações positivas originárias do Estado, viabilizadoras da plena fruição de direitos sociais básicos, tais como o direito à educação, o direito à proteção integral da criança e do adolescente, o direito à saúde, o direito à assistência social, o direito à moradia, o direito à alimentação e o direito à segurança. Declaração Universal dos Direitos da Pessoa Humana, de 1948 (Artigo XXV). A PROIBIÇÃO DO RETROCESSO SOCIAL COMO OBSTÁCULO CONSTITUCIONAL À FRUSTRAÇÃO E AO INADIMPLEMENTO, PELO PODER PÚBLICO, DE DIREITOS PRESTACIONAIS. - O princípio da proibição do retrocesso impede, em tema de direitos fundamentais de caráter social, que sejam desconstituídas as conquistas já alcançadas pelo cidadão ou pela formação social em que ele vive. - A cláusula que veda o retrocesso em matéria de direitos a prestações positivas do Estado (como o direito à educação, o direito à saúde ou o direito à segurança pública, v.g.) traduz, no processo de efetivação desses direitos fundamentais individuais ou coletivos, obstáculo a que os níveis de concretização de tais prerrogativas, uma vez atingidos, venham a ser ulteriormente reduzidos ou suprimidos pelo Estado. Doutrina. Em

consequência desse princípio, o Estado, após haver reconhecido os direitos prestacionais, assume o dever não só de torná-los efetivos, mas, também, se obriga, sob pena de transgressão ao texto constitucional, a preservá-los, abstando-se de frustrar – mediante supressão total ou parcial – os direitos sociais já concretizados. (...)’ (ARE 639.337-AgR, Rel. Min. Celso de Mello, Segunda Turma)

Corroborando nesse sentido, observa-se que o STF, sob o crivo do Presidente Luiz Fux, já decidiu pelo fornecimento do medicamento *Zolgensma* por meio da STP 803 MC/SP (17.07.2021). Inclusive, o fármaco foi fornecido em caráter excepcional, pois no Tema 500 de Repercussão Geral, a Suprema Corte já havia decidido que o Estado não é obrigado a fornecer medicamentos que não sejam registrados pela Anvisa por decisão judicial. Naquela ocasião, no entanto, o tribunal também identificou a possibilidade de concessões excepcionais em casos de medicamentos órfãos de doenças raras.

No entanto, questiona-se: Qual o limite orçamentário para o fornecimento de medicamentos a todos que buscam pela prestação jurisdicional?

Surge o embate entre o direito social garantido no texto constitucional versus decisões extravagantes ou emocionais que forcem o governo a arcar com o custo irracional de tratamentos que, por muitas vezes, causam um déficit direto aos cofres públicos.

No Brasil, apesar do Constituinte prever direitos e garantias clássicas no texto constitucional, estes estão sob um contexto utópico, visto que o custo impossibilita a aplicação e efetivação do disposto na norma. Sob outra ótica, é possível concluir que o legislador montou um sistema de proteção social, para que, a medida em que o país avançasse, contribuísse de forma gradativa e progressiva com os direitos sociais.

Todavia, diante da escassez de recursos mostrada pela realidade econômica recessiva, subentende-se que não há a possibilidade de o país garantir a efetivação de todas as políticas públicas.

Sendo essencial que aconteça o reequilíbrio da alocação de recursos escassos, medida que pode reduzir o alcance ou a velocidade da implementação de algumas proteções de direitos sociais, o que é conducente à sustentabilidade da proteção social. As instituições e outros mandatos dos estados democráticos de direito definem os aspectos operacionais que compõem os poderes, especialmente o Poder Judiciário, que controla essas medidas.

Como defendem Holmes e Sunstein, os direitos nada mais são do que serviços públicos prestados pelo governo em troca de impostos e, portanto, só existem quando seus custos orçamentários podem ser divulgados. Portanto, a especificidade de certas garantias passa inevitavelmente, sobre questões de financiamento e distribuição de renda.

Todavia, uma escolha trágica que resulte na redução dos direitos sociais ou na

desaceleração da implementação deve ser vista como medida extrema, pois não há outra forma de coordenar os programas sociais, como os orçamentos do Estado, razão pela qual a transparência governamental e o debate democrático são essenciais em qualquer modelo contemporâneo de civilização, e os direitos sociais são uma prioridade. Avaliações completas e públicas devem preservar os serviços mínimos e essenciais para alcançar a natureza humana e a vida social, mesmo no contexto de direitos sociais onerosos (por exemplo, saúde básica, educação básica e assistência social aos economicamente desfavorecidos).

Para tomar essas medidas extremas, o Estado deve propor projetos para se adequar a realidade. Neste sentido, Nabais discorre:

[...] é cada vez mais evidente que o problema da actual dimensão do estado apenas se pode solucionar (ou atenuar) através da moderação do intervencionismo estadual, moderação que implicará, quer o recuo na assunção das modernas tarefas sociais (realização dos direitos económicos, sociais e culturais), quer mesmo o abandono parcial de algumas tarefas tradicionais. Com efeito a crise do actual estado, diagnosticada e explicada sob as mais diversas teorias, passa sobretudo pela redefinição do papel e das funções do estado, não com a pretensão de o fazer regredir ao estado mínimo do liberalismo oitocentista, mas para o compatibilizar com os princípios da liberdade dos indivíduos e da operacionalidade do sistema económico, procurando evitar que o estado fiscal se agigante ao ponto de não ser senão um invólucro de um estado em substância dono (absoluto) da economia e da sociedade pela via (pretensamente) fiscal.

Devido aos déficits sociais históricos do Brasil (dos quais a desigualdade social é um exemplo eloquente), os projetos a se propor não são simples, embora necessários, e devem preceder outras estratégias, como por meio do aumento da arrecadação de tributos para superar a escassez de recursos no que diz respeito à progressiva efetivação desses direitos sociais e à sustentabilidade dos programas sociais (por exemplo, a crise do sistema previdenciário do próprio servidor público, antes do corte dos benefícios, deve ser confrontado com o sistema como impostos aumentam o ônus do beneficiário).

A máquina estatal é extremamente custosa. Deve-se, portanto, aplicar a norma de forma consciente, cuidadosa e harmonizada ao contexto da atual economia da nação.

Nesse contexto, cabe ao direito: primeiro, para manter seu papel clássico de controlador e organizador da sociedade; segundo, para transformar seu papel de guardião, ou seja, quando proporciona à sociedade a busca da proteção de seus objetivos e objetivos, exercitando-a de forma a utilizar as riquezas escassas de forma racional, eficiente e equilibrada. Dadas as realidades dos custos dos direitos sociais, a análise também deve se concentrar em quem deve decidir a distribuição desses valores e com quais diretrizes devem fazer essas escolhas de acordo, reconhecendo que, segundo Coase (1960, p.36):

[...] ao se escolher entre arranjos sociais, em um contexto no qual decisões individuais são tomadas, nós temos de ter em mente que a mudança no sistema existente, a qual conduzirá ao aperfeiçoamento em algumas decisões, pode muito bem levar à pioria em outras. Além disso, tem-se que levar em conta os custos envolvidos para operar os vários arranjos sociais (se seria o trabalho de um mercado ou de um departamento de governo), bem como os custos envolvidos na mudança para um novo sistema. Ao se projetar e escolher entre arranjos sociais, devemos considerar o efeito total.

Desse modo, nessa realidade de crise do Estado, tendo em vista a quantidade de cidadãos que ingressam diariamente com ações judiciais requerendo que seja concedida tutela para fornecimento de medicamentos, em especial, o *Zolgensma*, reconhecido por ser o fármaco mais caro do mundo e tema do presente estudo, deve-se desconsiderar uma hipótese utópica, os recursos devem ser alocados de maneira equilibrada, caso contrário, os direitos (custos) são distribuídos arbitrariamente entre os pacientes.

Os direitos sociais devem ser entendidos e coerentes com a manutenção geral do sistema (especialmente sua sustentabilidade), por meio do desenvolvimento de políticas públicas em bases democráticas, com entrega proporcional dos interesses nacionais, razão pela qual é necessário manter a carta de competência das autoridades públicas.

5.2. A ATUAÇÃO INEQUÍVOCA DO PODER JUDICIÁRIO

O papel do judiciário em um estado constitucional democrático é interpretar a constituição e as leis, defender os direitos e garantir o respeito ao ordenamento. Em muitos casos, os magistrados terão um papel na construção do significado normativo da lei, especialmente quando houver problemas com a aplicação de conceitos e princípios jurídicos incertos. Equilibrar direitos fundamentais e princípios constitucionais inseridos no processo de conflito tem sido necessário em inúmeros outros casos em que o judiciário é obrigado a fazer concessões mútuas ou fazer escolhas entre as normas.

Como em todo controle jurisdicional, a entrega de medicamentos deve ser baseada na legislação vigente. Assim, se uma ordem pública ou qualquer decisão sobre a matéria for determinada especificamente pela constituição ou por lei válida, a ação administrativa correspondente poderá estar sujeita ao controle judicial como parte da aplicação natural da lei pelo magistrado.

Além dos pressupostos acima, a atividade judiciária deve ser minimalista e, mais importante, esforços devem ser feitos para respeitar o leque de escolhas legislativas e executivas feitas pelos órgãos competentes na matéria. Resumindo: na ausência de uma lei ou ação

administrativa, o judiciário deve agir. Na hipótese de descumprimento dos preceitos legais, os magistrados também devem intervir. No entanto, se existem leis e atos administrativos que fazem cumprir a Constituição e são frequentemente aplicados, qualquer intervenção judicial deve ser marcada com autocontenção.

A normatividade e a efetividade das disposições constitucionais estabeleceram novos patamares para o constitucionalismo no Brasil e propiciaram uma virada jurisprudencial que é celebrada como importante conquista. Em muitas situações envolvendo direitos sociais, direito à saúde e mesmo fornecimento de medicamentos, o Judiciário poderá e deverá intervir. Tal constatação, todavia, não torna tal intervenção imune a objeções diversas, sobretudo quando excessivamente invasiva da deliberação dos outros Poderes. De fato, existe um conjunto variado de críticas ao ativismo judicial nessa matéria, algumas delas dotadas de seriedade e consistência.

Acerca da jurisprudência brasileira, há de se criticar a aplicação das normas constitucionais, afirmadas na forma processual. O artigo 196 da Constituição Federal esclarece que o direito à saúde será garantido por meio de políticas sociais e econômicas. Independentemente da mediação legislativa, a possibilidade de o judiciário fazer valer o direito à saúde encontra um obstáculo na positivação do artigo supracitado.

Destaca-se o voto do Ministro Celso de Mello na ADPF 45 MC/DF:

ARGÜIÇÃO DE DESCUMPRIMENTO DE PRECEITO FUNDAMENTAL. A QUESTÃO DA LEGITIMIDADE CONSTITUCIONAL DO CONTROLE E DA INTERVENÇÃO DO PODER JUDICIÁRIO EM TEMA DE IMPLEMENTAÇÃO DE POLÍTICAS PÚBLICAS, QUANDO CONFIGURADA HIPÓTESE DE ABUSIVIDADE GOVERNAMENTAL. DIMENSÃO POLÍTICA DA JURISDIÇÃO CONSTITUCIONAL ATRIBUÍDA AO SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. INOPONIBILIDADE DO ARBÍTRIO ESTATAL À EFETIVAÇÃO DOS DIREITOS SOCIAIS, ECONÔMICOS E CULTURAIS. CARÁTER RELATIVO DA LIBERDADE DE CONFORMAÇÃO DO LEGISLADOR. CONSIDERAÇÕES EM TORNO DA CLÁUSULA DA "RESERVA DO POSSÍVEL". NECESSIDADE DE PRESERVAÇÃO, EM FAVOR DOS INDIVÍDUOS, DA INTEGRIDADE E DA INTANGIBILIDADE DO NÚCLEO CONSUBSTANCIADOR DO "MÍNIMO EXISTENCIAL". VIABILIDADE INSTRUMENTAL DA ARGÜIÇÃO DE DESCUMPRIMENTO NO PROCESSO DE CONCRETIZAÇÃO DAS LIBERDADES POSITIVAS (DIREITOS CONSTITUCIONAIS DE SEGUNDA GERAÇÃO).

Ainda segundo o Ministro:

O desrespeito à Constituição tanto pode ocorrer mediante ação estatal quanto mediante inércia governamental. A situação de inconstitucionalidade pode derivar de um comportamento ativo do Poder Público, que age ou edita normas em desacordo com o que dispõe a Constituição, ofendendo-lhe, assim, os preceitos e os princípios

que nela se acham consignados. Essa conduta estatal, que importa em um facere (atuação positiva), gera a inconstitucionalidade por ação. Se o Estado deixar de adotar as medidas necessárias à realização concreta dos preceitos da Constituição, em ordem a torná-los efetivos, operantes e exequíveis, abstendo-se, em consequência, de cumprir o dever de prestação que a Constituição lhe impôs, incidirá em violação negativa do texto constitucional. Desse non facere ou non praestare, resultará a inconstitucionalidade por omissão, que pode ser total, quando é nenhuma a providência adotada, ou parcial, quando é insuficiente a medida efetivada pelo Poder Público. A omissão do Estado - que deixa de cumprir, em maior ou em menor extensão, a imposição ditada pelo texto constitucional - qualifica-se como comportamento revestido da maior gravidade político-jurídica, eis que, mediante inércia, o Poder Público também desrespeita a Constituição, também ofende direitos que nela se fundam e também impede, por ausência de medidas concretizadoras, a própria aplicabilidade dos postulados e princípios da Lei Fundamental (RTJ 185/794-796, Rel. Min. CELSO DE MELLO, Pleno).

No julgamento do Recurso Extraordinário nº 855.178-SE, datado de 05/03/2015, em que se abordava um tema de repercussão geral, o STF, por meio do Ministro Relator Presidente Luiz Fux, reafirmou a solidariedade entre os entes federativos no que se refere às ações e serviços de saúde. Fixando a seguinte tese:

CONSTITUCIONAL E ADMINISTRATIVO. EMBARGOS DE DECLARAÇÃO EM RECURSO EXTRAORDINÁRIO COM REPERCUSSÃO GERAL RECONHECIDA. AUSÊNCIA DE OMISSÃO, CONTRADIÇÃO OU OBSCURIDADE. DESENVOLVIMENTO DO PROCEDENTE. POSSIBILIDADE. RESPONSABILIDADE DE SOLIDÁRIA NAS DEMANDAS PRESTACIONAIS NA ÁREA DA SAÚDE. DESPROVIMENTO DOS EMBARGOS DE DECLARAÇÃO. 1. É da jurisprudência do Supremo Tribunal Federal que o tratamento médico adequado aos necessitados se insere no rol dos deveres do Estado, porquanto responsabilidade solidária dos entes federados. O polo passivo pode ser composto por qualquer um deles, isoladamente ou conjuntamente. 2. A fim de otimizar a compensação entre os entes federados, compete à autoridade judicial, diante dos critérios constitucionais de descentralização e hierarquização, direcionar, caso a caso, o cumprimento conforme as regras de repartição de competências e determinar o ressarcimento a quem suportou o ônus financeiro. 3. As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União. Precedente específico: RE 657.718, Rel. Min. Alexandre de Moraes. 4. Embargos de declaração desprovidos. (STF - ED RE: 855178 SE - SERGIPE 0005840- 11.2009.4.05.8500, Relator: Min. LUIZ FUX, Data de Julgamento: 23/05/2019, Tribunal Pleno, Data de Publicação: DJe-090 16-04- 2020)

Em relação ao fornecimento de medicamentos não incluídos na lista do SUS, defendendo a conquista de melhorias na qualidade de vida e sobrevivência dos pacientes, a Suprema Corte vem manifestando seu entendimento no sentido de resguardar os direitos dos pacientes. Confira-se:

O direito público subjetivo à saúde representa prerrogativa jurídica indisponível assegurada à generalidade das pessoas pela própria Constituição da República (art. 196). Traduz bem jurídico constitucionalmente tutelado, por cuja integridade deve velar, de maneira responsável, o Poder Público, a quem incumbe formular — e

implementar — políticas sociais e econômicas idôneas que visem a garantir, aos cidadãos, inclusive àqueles portadores do vírus HIV, o acesso universal e igualitário à assistência farmacêutica e médico hospitalar. O direito à saúde — além de qualificar-se como direito fundamental que assiste a todas as pessoas — representa consequência constitucional indissociável do direito à vida. O Poder Público, qualquer que seja a esfera institucional de sua atuação no plano da organização federativa brasileira, não pode mostrar-se indiferente ao problema da saúde da população, sob pena de incidir, ainda que por censurável omissão, em grave comportamento inconstitucional. A interpretação da norma programática não pode transformá-la em promessa constitucional inconsequente. O caráter programático da regra inscrita no art. 196 da Carta Política — que tem por destinatários todos os entes políticos que compõem, no plano institucional, a organização federativa do Estado brasileiro — não pode converter-se em promessa constitucional inconsequente, sob pena de o Poder Público, fraudando justas expectativas nele depositadas pela coletividade, substituir, de maneira ilegítima, o cumprimento de seu imposterável dever, por um gesto irresponsável de infidelidade governamental ao que determina a própria Lei Fundamental do Estado (...) (RE 271.286-AGR).

Outro aspecto é a inadequação de se encarar a questão como mera interpretação das normas constitucionais. Se a prerrogativa de aplicar direta e imediatamente as regras que afirmam o direito à saúde é atribuída ao judiciário, será uma questão sistêmica. Na verdade, a melhor forma de otimizar a eficiência dos gastos públicos em saúde é delegar a capacidade de decisão nessa área ao poder executivo, que tem uma visão global dos recursos disponíveis e das necessidades que precisam ser atendidas. Esta será a escolha do componente original ao determinar que o direito à saúde seja garantido por meio de políticas sociais e econômicas. Assim, uma decisão judicial que determine que o poder público deve fornecer medicamentos gratuitamente resultará em mudanças nos arranjos institucionais previstos na Constituição de 1988.

Uma terceira crítica envolve a legitimidade democrática. A título de exemplo, os recursos públicos, que são obtidos por meio de impostos. Por conseguinte, os próprios contribuintes devem decidir a destinação dessa verba, seja pelo povo diretamente ou por meio de seus representantes eleitos.

Uma das maiores críticas, sem dúvidas, está no setor financeiro, em razão da "reserva do possível", já abordada no subcapítulo anterior. Isto pois, os recursos públicos serão insuficientes para atender às necessidades da sociedade, obrigando o Estado a sempre tomar decisões difíceis. Investir recursos em um setor sempre significa não os investir em outros setores. Na verdade, os orçamentos são muitas vezes inferiores às necessidades sociais para realizar os direitos individuais ou sociais. No caso do presente trabalho, há o alto custo do medicamento *Zolgensma* e a impossibilidade de priorizar um paciente em detrimento de outros, além da má conduta do judiciário em interferir na política da administração pública. Como bem

ensina José Gomes Canotilho (2011, p.946): “[...] os juízes não se podem transformar em conformadores sociais, nem é possível, em termos democráticos processuais, obrigar juridicamente os órgãos políticos a cumprir determinado programa de ação”.

Recentemente, o sistema público de saúde vem disponibilizando aos cidadãos planos de cuidados abrangentes, nos quais, além da medicação, os pacientes recebem todo o tratamento necessário para a melhora da doença que os acomete. No caso da terapia genética para os portadores da AME, quando o magistrado determina que o poder público forneça o medicamento imediatamente, o valor fornecido inclui todos os custos, como contas médicas e hospitalares; deslocamento da criança portadora da doença e de sua família; taxas alfandegárias para importação do medicamento; honorários médicos; alimentação etc. Com isso, o valor captado de outros pacientes que dependem de recursos públicos é redistribuído em favor de litigantes individuais que obtêm essas decisões favoráveis. Conseqüentemente, o Poder Executivo se vê privado de exercer a sua capacidade de planejamento, comprometendo a eficiência administrativa no atendimento ao cidadão. Cada decisão pode atender às necessidades imediatas daquele que pleiteia a concessão do fármaco, mas em geral, dificulta a otimização das possibilidades do Estado na promoção da saúde pública.

A política de saúde pública deve seguir diretrizes para reduzir as desigualdades econômicas e sociais. No entanto, quando o judiciário desempenha um papel de liderança na implementação dessas políticas, ele privilegia aqueles que têm acesso à justiça. Possibilitando que, muitas vezes, consigam o medicamento que pleiteiam de maneira mais rápida e eficaz do que aqueles que requerem solicitam ajuda por meio da administração pública.

Por fim, há a crítica técnica de que o poder judiciário não possui expertise para formular a política de saúde, pois não pode avaliar se um medicamento é eficaz na promoção da saúde e da vida, mesmo guiado por laudos técnicos, sua visão jamais poderia rivalizar com a da administração pública. O magistrado é um ator social que apenas observa casos específicos, micro judiciais e não macro judiciais, e sua gestão é mais influenciada pela administração pública.

Neste sentido, o INSPER – Instituto de Ensino e Pesquisa, instituição filantrópica dedicada ao ensino e à pesquisa, em resposta à solicitação do Conselho Nacional de Justiça (CNJ), estudou o fenômeno da judicialização da saúde e analisou, dentre diversas vertentes, a relação entre as decisões judiciais e os instrumentos administrativos do sistema de saúde para definir os medicamentos disponíveis em caráter universal.

De acordo com dados disponibilizados pelo próprio portal do CNJ, foi possível concluir que, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias ao SUS (CONITEC) e seus

respectivos protocolos, responsáveis por indicar ao Ministério da Saúde quais tecnologias e práticas devem ser incorporadas ao SUS, aparecem em menos de 0,51% das decisões. Já os Protocolos são citados em 5,83% dos casos. Além disso, apenas 0,29% dos acórdãos citam o Núcleo de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NAT).

Do resultado dos estudos, observa-se que há pouco uso dos instrumentos oficiais da política pública de saúde nas decisões judiciais, o que permite concluir que existe um grande distanciamento entre a política pública formulada e o Poder Judiciário.

No presente contexto, faz-se referência a denominada teoria da deferência judicial aos órgãos reguladores (Doutrina Chevron com origem no Direito Administrativo Norte-Americano) a referida teoria defende que as decisões judiciais, quando proferidas por autoridades detentoras de competência específica – sobretudo de ordem técnica – precisam ser respeitadas pelos demais órgãos e entidades estatais, incluindo o Poder Judiciário, com fundamento nos princípios da separação dos poderes e da legalidade.

A doutrina mencionada se utiliza de suas etapas: na primeira, o Tribunal de revisão deve decidir se o Congresso se expressou diretamente sobre a temática sob julgamento; em outras palavras, deve decidir se a norma é ou não ambígua; não havendo ambiguidade, as agências devem cumprir os objetivos da lei. No entanto, se a lei é omissa ou ambígua, o Tribunal deve recorrer a segunda etapa, que deverá avaliar se a interpretação da lei pelo órgão regulador é razoável, ou seja, se a solução oferecida é produto de uma interpretação adequada do dispositivo. O Supremo Tribunal Federal fez referência à Teoria no acórdão da ADI 4874:

Definidos na legislação de regência as políticas a serem perseguidas, os objetivos a serem implementados e os objetos de tutela, ainda que ausente pronunciamento direto, preciso e não ambíguo do legislador sobre as medidas específicas a adotar, não cabe ao Poder Judiciário, no exercício do controle jurisdicional da exegese conferida por uma Agência ao seu próprio estatuto legal, simplesmente substituí-la pela sua própria interpretação da lei. Deferência da jurisdição constitucional à interpretação empreendida pelo ente administrativo acerca do diploma definidor das suas próprias competências e atribuições, desde que a solução a que chegou a agência seja devidamente fundamentada e tenha lastro em uma interpretação da lei razoável e compatível com a Constituição. Aplicação da doutrina da deferência administrativa (Chevron U.S.A. v. Natural Res. Def. Council)." (ADI nº4874, Relatora: Ministra Rosa Weber, Órgão Julgador: Tribunal Pleno, Julgamento em 01/02/2018, Publicação em 01/02/2019

Corroborando à jurisprudência supracitada, o artigo 20 e seguintes do Decreto-lei nº 4.657, de 4 de setembro de 1942 com a redação incluída pela Lei nº13.655/2018 – Lei de Introdução às normas do Direito Brasileiro, positiva a necessidade de se considerar as consequências práticas das decisões judiciais. Veja-se:

Art. 20. Nas esferas administrativa, controladora e judicial, não se decidirá com base em valores jurídicos abstratos sem que sejam consideradas as consequências práticas da decisão.

Parágrafo único. A motivação demonstrará a necessidade e a adequação da medida imposta ou da invalidação de ato, contrato, ajuste, processo ou norma administrativa, inclusive em face das possíveis alternativas.

Art. 21. A decisão que, nas esferas administrativa, controladora ou judicial, decretar a invalidação de ato, contrato, ajuste, processo ou norma administrativa deverá indicar de modo expreso suas consequências jurídicas e administrativas.

Parágrafo único. A decisão a que se refere o **caput** deste artigo deverá, quando for o caso, indicar as condições para que a regularização ocorra de modo proporcional e equânime e sem prejuízo aos interesses gerais, não se podendo impor aos sujeitos atingidos ônus ou perdas que, em função das peculiaridades do caso, sejam anormais ou excessivos.

Art. 22. Na interpretação de normas sobre gestão pública, serão considerados os obstáculos e as dificuldades reais do gestor e as exigências das políticas públicas a seu cargo, sem prejuízo dos direitos dos administrados.

§ 1º Em decisão sobre regularidade de conduta ou validade de ato, contrato, ajuste, processo ou norma administrativa, serão consideradas as circunstâncias práticas que houverem imposto, limitado ou condicionado a ação do agente.

§ 2º Na aplicação de sanções, serão consideradas a natureza e a gravidade da infração cometida, os danos que dela provierem para a administração pública, as circunstâncias agravantes ou atenuantes e os antecedentes do agente.

§ 3º As sanções aplicadas ao agente serão levadas em conta na dosimetria das demais sanções de mesma natureza e relativas ao mesmo fato.

Em consonância, o Enunciado nº76, aprovado pela Jornada de Saúde do Conselho Nacional de Justiça assim deliberou:

ENUNCIADO	Nº	76
A decisão judicial sobre fornecimento de medicamentos e serviços de saúde deverá, à vista do contido nos autos, trazer fundamentação sobre as suas consequências práticas, considerando os obstáculos e as dificuldades reais do gestor e as exigências das políticas públicas (arts. 20 a 22 da LINDB), não podendo fundar-se apenas em valores jurídicos abstratos (art. 20 da LINDB).		

Isto posto, demonstrada a importância e imprescindibilidade da análise técnica adequada atinente às questões acerca da concessão de medicamentos de alto custo, caso ocorra a concessão do referido tratamento por via judicial, deverão ser expostas de maneira explícita as razões pelas quais não ocorreu a observância das políticas públicas de saúde antes do ingresso na via judicial.

6. ESTRATÉGIAS DE ACESSO A SAÚDE POR OUTROS MEIOS – ALOCAÇÃO DE RECURSOS E MODERAÇÃO JUDICIAL

No presente capítulo, serão abordadas ideias para solucionar o impasse entre os pacientes que tem AME e necessitam do custeio do tratamento com urgência, pelos motivos já expostos, e o ente-federativo, que não detém de verba orçamentária para o custeio do tratamento em seu atual valor para todos aqueles que necessitam.

Inicialmente, insta salientar que os preços praticados pela fabricante Novartis para a compra do *Zolgensma* – milhões de dólares por paciente – são completamente desproporcionais à capacidade do sistema de saúde de qualquer país, especialmente em um país emergente como o Brasil. De fato, a falta dos freios e contrapesos usuais pode levar a preços exorbitantes quando os fabricantes têm o monopólio do tratamento e percebem que o Estado e/ou as seguradoras não poderão negar a cobertura.

Atualmente, um país modelo que integrou o *Zolgensma* à saúde pública é a Inglaterra, por meio de um acordo de confidencialidade com a farmacêutica e após negociações, foi concedido um desconto “substancial” no preço de tabela de 1 milhão e 790 mil libras (aproximadamente 14 milhões de reais). O *National Health System* (NHS), criado em 1948 e supervisionado pelo Departamento de Saúde da Inglaterra, é o sistema de saúde inglês, majoritariamente financiado por impostos, que fornece medicamentos e serviços médicos gratuitos ou de baixo custo a todas as pessoas que residem legalmente no país do Reino Unido, incluindo expatriados. Apesar da maioria dos serviços oferecidos serem gratuitos, bastando o pagamento dos impostos, as pessoas ainda precisam pagar uma taxa adicional por alguns serviços, como: custos de prescrição médica e custos de tratamento odontológico. Pessoas de baixa renda com mais de 60 anos têm direito a uma redução na taxa ou no custo dos serviços do NHS. Embora tenha sido inspiração para a criação do SUS.

Têm-se um exemplo de proteção dos direitos sociais, um tema que compele aos poderes constituídos a implementar programas normativos na prossecução dos interesses sociais, ou seja, a transformar os textos legais na realidade cotidiana dos detentores de privilégios. Em primeiro lugar, é importante lembrar que uma das formas de proteger efetivamente os direitos sociais ou promover tal proteção é aumentar o vínculo entre direitos sociais e democracia participativa, como ensina Botelho (2015, p.357).

Portanto, a legitimidade dessa proteção está consubstanciada nas regras de competência estipuladas na Constituição, que refletem, em primeiro lugar, o exercício do poder legislativo. Com exceção das disposições constitucionais imediatas, as disposições

constitucionais que tratam dos direitos sociais só são aplicáveis se forem acompanhadas de decisões legislativas que levem à aplicação prática de previsões legais na vida dos seus titulares. Em segundo lugar, o Poder Executivo também é constitucionalmente capaz de proteger esses direitos, considerando que a administração pública, após exigências legislativas específicas, deve promover a criação/realização de benefícios reais e materiais destinados a facilitar o acesso dos indivíduos aos bens protegidos pelos direitos sociais.

É, portanto, prerrogativa constitucional dos órgãos legislativo e executivo a adoção de políticas voltadas para a implementação prática dos direitos sociais, especialmente diante da escassez de recursos, o que cria o valor de uma necessidade implacável de escolhas orçamentárias para alocação. Nesse ambiente, surgiram múltiplos conflitos de interesse e reclamações, muitas que, inclusive, foram judicializadas.

No entanto, segundo Touraine, a democracia não se define pela separação de poderes, mas pela natureza do vínculo entre sociedade civil, sociedade política e Estado. Não há democracia se a influência é exercida de cima para baixo. Portanto, a atuação do judiciário deve respeitar sua competência, caso contrário a distribuição do poder será realizada de forma extremamente cara, descumprida e antidemocrática. Como bem define *Sunstein*:

A alocação de certos papéis tem uma importante função de permitir que os resultados sejam alcançados sem forçar os tribunais a tomar decisões sobre questões fundamentais. Essas questões são resolvidas por referência à competência institucional, não por seus méritos.

A discricionariedade do poder político está sujeita ao controle judicial no caso de vícios formais e, em casos excepcionais, se o mérito da escolha violar objetiva, explícita ou manifestamente os limites da discricionariedade impostos pelo ordenamento jurídico. Na chamada área cinzenta, o controle judicial deve respeitar as escolhas dos detentores de capacidade normativa ou ser punido por violar a separação de poderes.

Em termos de valor econômico, toda forma de alocação de um recurso escasso incorre em custos de transação para sua alocação, e quanto mais incertas forem as possibilidades de decisão e quanto mais individualizados forem os destinatários, maiores serão os custos envolvidos. Portanto, a forma de efetivação dos direitos sociais que pode demandar mais recursos é a via judicial, e as políticas públicas podem ser distorcidas e desequilibradas.

Além disso, o tratamento não seria equivalente, pois em casos individuais as decisões tomadas teriam valor apenas para o impulsionador da ação, o que prejudicaria a população, e porque o custo do acesso à justiça em si é alto, o que impede que famílias de renda baixa

busquem os mesmos benefícios. No entanto, dado que o judiciário não está sujeito ao sufrágio direto, universal, igualitário e periódico como os poderes legislativo e executivo, é possível verificar que tal tomada de decisão ocorre em um ambiente antidemocrático. Da mesma forma, o judiciário não é necessariamente melhor do que legisladores e administradores públicos para decidir questões de gestão técnica (mesmo por meio da capacitação dos profissionais e das informações disponíveis), razão pela qual os intérpretes judiciais devem respeitar as regras e as escolhas feitas poder político.

Dworkin (2002, p.215), oposto ao ativismo judicial, destaca a moderação judicial no contexto da *common law*, cujos fundamentos são úteis para o sistema jurídico brasileiro:

O programa do ativismo judicial sustenta que os tribunais devem aceitar a orientação das chamadas cláusulas constitucionais vagas [...]. Devem desenvolver princípios de legalidade, igualdade e assim por diante, revê-los de tempos em tempos à luz do que parece ser a visão moral recente da Suprema Corte, e julgar os atos do Congresso, dos Estados e do presidente de acordo com isso. [...] o programa da moderação judicial afirma que os tribunais deveriam permitir a manutenção das decisões de outros setores do governo, mesmo quando elas ofendam a própria percepção que os juízes têm dos princípios exigidos pelas doutrinas constitucionais amplas, excetuando-se, contudo, os casos nos quais essas decisões sejam tão ofensivas à moralidade política a ponto de violar as estipulações de qualquer interpretação plausível.

No entanto, se for necessário que o Estado controle ou fiscalize determinados setores socioeconômicos, ou mesmo parametrize diversos aspectos da vida privada, essas medidas devem ser tomadas por um corpo de poder democraticamente baseado e constituído por regras constitucionais de competência. - pelos deputados e delegações eleitorais que recebem o sufrágio universal que agem em seu nome, especialmente quando confrontados com escolhas que envolvem como e quando distribuir as escassas receitas públicas, em tempos de crise (curto prazo ou estrutural), para melhor servir o desenho do Estado Democrático de Direito.

Portanto, em circunstâncias favoráveis, devido à existência de um aumento de "receita" (alta carga tributária para custear o sistema), e uma inadequação de "mercado" (altos custos de transação na distribuição de renda devido à execução judicial), é necessário promover uma verdadeira mudança institucional, com atuação limitada do judiciário.

7. CONSIDERAÇÕES FINAIS

Tendo em vista que o direito à saúde é universal, deve este ser garantido sem qualquer meio que o dificulte, amparado pelo texto constitucional e concretizado por meio de políticas públicas que implementem princípios fundamentais como o direito à vida e a dignidade da pessoa humana.

Entretanto, crises econômicas e estruturais podem levar a decisões difíceis ou trágicas sobre políticas públicas, ainda mais em países com déficits históricos como o Brasil, pois os direitos correspondem aos custos de um possível enfraquecimento dos orçamentos públicos.

O contexto atual é impositivo e restritivo, fazendo com que os textos normativos dos direitos sociais devessem ser reeditados pelos poderes legislativo e executivo, equilibrando suas contas públicas e promovendo mudanças, ainda que diminuam direitos sociais ou diminuam o ritmo de implementação progressiva dos compromissos governamentais à democracia.

Em consideração aos dilemas morais da ética deontológica e a ética teleológica, do ponto de vista da dispensação de medicamentos pelo SUS, a melhor solução é encontrar um meio-termo para a efetivação do direito à saúde. Assim, a liberação do *Zolgensma* deve levar em consideração diversas variáveis, como projeções orçamentárias, a falta de outros tratamentos eficazes e a capacidade financeira dos pacientes, para que haja um consenso que beneficie as minorias sem comprometer o seu próprio bem-estar ou da população.

É indubitável que não há valor que custe a vida dos pacientes que tem AME e lutam pela sobrevivência aos terríveis sintomas da doença, mas não há como convergir com os imperativos do ordenamento jurídico brasileiro. Por essa razão, os direitos previstos na Carta Magna devem ser interpretados como ideais, cujo a implementação está em andamento, em consonância com a previsão orçamentária da nação, para que não ocorra o retrocesso social e se mantenha o respeito pelas prestações essenciais, como: saúde básica, educação básica e assistência social à população economicamente miserável.

O judiciário deve respeitar as duras escolhas do poder político dentro da discricionariedade estabelecida pelo ordenamento jurídico. Razão pela qual o controle

por parte do poder judiciário deve ser exercido apenas em caso de violação da norma, pois além de não ter legitimidade democrática em termos de mandato e autoridade constitucional, sua escolha não é necessariamente a mais qualificada, como restou devidamente demonstrado.

Deste modo, conclui-se que, o acesso universal a medicamentos pelo setor público ainda é um grande desafio, que deve ser enfrentado diariamente para que haja a promoção efetiva da dignidade humana dos portadores da AME.

8. REFERÊNCIAS

ALVES, Bruna. **Quanto Custa Uma Vida?** Publicado em 2 de dezembro de 2020. Edição: Bárbara Paludeti. Disponível em: <https://www.uol.com.br/vivabem/reportagens-especiais/medicamentos-que-custam-milhoes-de-reais/>. Acesso em: 01 out. 2022.

AMORIM, Poliana Torres de. **Medicamentos de alto custo e a judicialização da saúde.** Centro Universitário UNIFACIG. Manhuaçu, 2021.

BARROSO, Luís Roberto. **O direito constitucional e a efetividade de suas normas: limites e possibilidades da Constituição Brasileira.** 8. ed. atual. Rio de Janeiro: Renovar, 2006.

BARROSO, Luis Roberto. **A Dignidade da Pessoa Humana** no Direito Constitucional Contemporâneo: Natureza Jurídica, Conteúdos Mínimos e Critérios de Aplicação. Versão provisória para debate público. Mimeografado, 2010.

BARROSO, Luis Roberto. **Da Falta de Efetividade à Judicialização Excessiva: Direito à saúde, fornecimento gratuito de medicamentos e parâmetros para a Atuação Judicial.** Disponível em: <https://www.conjur.com.br/dl/estudobarroso.pdf>. Acesso em: 02 out. 2022.

BONAVIDES, Paulo. **Curso de direito constitucional.** 19. ed. atual. São Paulo: Malheiros, 2006.

BOTELHO, Catarina Santos. **Os Direitos Sociais em Tempos de Crise: ou visitar as normas programáticas.** Coimbra: Almedina, 2015.

BRASIL, **Constituição Federal de 1988.** Constituição da República Federativa do Brasil. Brasília, DF: Senado, 1988. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao.htm. Acesso em: 01 out. 2022.

BRASIL, Decreto Lei nº4.657 de 04 de setembro de 1942. **Lei de Introdução às normas do Direito Brasileiro.** Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/decreto-lei/del4657.htm. Acesso em: 01 out. 2022.

BRASIL, **Lei nº 8.080 de 19 de setembro de 1990.** Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/18080.htm. Acesso em: 06 out. 2022.

BRASI, **Lei nº 14.154 de 26 de maio de 2021.** Altera a Lei nº 8.069, de 13 de julho de 1990 (Estatuto da Criança e do Adolescente), para aperfeiçoar o Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN), por meio do estabelecimento de rol mínimo de doenças a serem rastreadas pelo teste do pezinho; e dá outras providências. Disponível em: <https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/lei-n-14.154-de-26-de-maio-de-2021-322209993>. Acesso em: 06 out. 2022.

CARVALHO, José Murilo de. **Cidadania no Brasil: o longo caminho.** 16. ed. Rio de Janeiro:

Civilização Brasileira, 2013.

COASE, Ronald. **O Problema do Custo Social**. Tradução de Francisco Alves e Renato Caovilla. *The Journal of Law & Economics*, Chicago, v. 3, 1960.

CORDOVIL, Cláudio. **‘SUS da Inglaterra’ aprova Zolgensma, “o medicamento mais caro do mundo”**. Disponível em: <https://academiadepacientes.com.br/sus-da-inglaterra-aprova-o-medicamento-mais-car-do-mundo/>. Acesso em: 06 out. 2022.

DWORKIN, Ronald. **Levando os Direitos a Sério**. Tradução de Nelson Boeira. São Paulo: Martins Fontes, 2002.

FIGUEIREDO, Mariana Filchtiner. **Direito fundamental à saúde**. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2007.

HOLMES, Stephen; SUNSTEIN, Cass R. **The Cost of Rights: why liberty depends on taxes**. New York: W. W. Norton & Company, 1999.

JUSTIÇA, Conselho Nacional. **ENUNCIADOS DA I, II E III JORNADAS DE DIREITO DA SAÚDE DO CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA**. Disponível em: <https://www.cnj.jus.br/wp-content/uploads/2019/03/e8661c101b2d80ec95593d03dc1f1d3e.pdf>. Acesso em: 06 out. 2022.

MENDES, Gilmar Ferreira; BRANCO, Paulo Gustavo Gonet. **Curso de Direito Constitucional**.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Portaria nº 3.916 de 30 de outubro de 1998**. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/1998/prt3916_30_10_1998.html. Acesso em: 06 out. 2022.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Resolução nº338 de 06 de maio de 2004**. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/cns/2004/res0338_06_05_2004.html. Acesso em: 06 out. 2022.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Atrofia Muscular Espinhal (AME)**. Disponível em: [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/a/ame#:~:text=A%20Atrofia%20Muscular%20Espinhal%20\(AME\)%20%C3%A9%20uma%20doen%C3%A7a%20rara%2C, respirar%2C%20engolir%20e%20se%20mover.](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/a/ame#:~:text=A%20Atrofia%20Muscular%20Espinhal%20(AME)%20%C3%A9%20uma%20doen%C3%A7a%20rara%2C, respirar%2C%20engolir%20e%20se%20mover.) Acesso em: 06 out. 2022.

MORAES, Alexandre de. **Direitos humanos fundamentais**. 10ª Ed. São Paulo: Atlas. 2013.

NABAIS, José Casalta. **A Face Oculta dos Direitos Fundamentais: os deveres e os custos dos direitos**. *Revista de Direito Mackenzie*, São Paulo, v. 3, n. 2, p. 9-30. 2002.

NORTH, Douglass Cecil. **Instituições, Mudança Institucional e Desempenho Econômico**. Tradução de Alexandre Morales. São Paulo: Três Estrelas, 2018. POSNER, Richard A. *Problemas de Filosofia*

OLIVEIRA, Flávia Silva de. **Controle social no sistema único de saúde SUS: aspectos**

constitucionais e legais dos Conselhos de Saúde. 2015. Disponível em: <http://periodicos.ufpb.br/ojs/index.php/primafacie/article/download/4402/3318>. Acesso em: 07 out. 2022.

PIERDONÁ, Zélia Luiza; FRANCISCO, José Carlos; NETO, Lourenço de Miranda Freire. **Direitos Sociais em Tempos de Crise: vedação ao retrocesso social e moderação judicial**. 2020. Disponível em: <http://seer.upf.br/index.php/rjd/article/view/9833/114115296>. Acesso em 04 out.2022.

ROVER, J. A. et al. **Direitos sociais, políticas públicas e seguridade e direito agrário e ambiental**. Zaragoza: Prensas de la Universidad de Zaragoza, 2019.

SARLET, Ingo Wolfgang. **A eficácia dos direitos fundamentais**. Porto Alegre: Livraria do Advogado, 2002.

SARLET, Ingo Wolfgang; FIGUEIREDO, Mariana Filchtiner. **Reserva do possível, mínimo existencial e direito à saúde: algumas aproximações**. Revista da Defensoria Pública, São Paulo, n.1. 2007.

SARLET, Ingo Wolfgang. **Dignidade da Pessoa Humana e Direitos Fundamentais na Constituição Federal de 1988**. 9. ed. rev. atual. Porto Alegre: Livraria do Advogado Editora, 2011.

SILVA, José Afonso da. **Aplicabilidade das normas constitucionais**. 8ª Ed. São Paulo: Malheiros, 2012.

SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. **AG.REG.NO RECURSO EXTRAORDINÁRIO: RE 271286 AgR RS**. Relator: Ministro Celso de Mello. Publicação: 24/11/2000. Jurisprudência STF, 2000. Disponível em: <https://jurisprudencia.stf.jus.br/pages/search/sjur103980/false>. Acesso em: 01 out. 2022.

SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. **MEDIDA CAUTELAR EM ARGÜIÇÃO DE DESCUMPRIMENTO DE PRECEITO FUNDAMENTAL: ADPF 45 DF**. Relator: Ministro Celso de Mello. Dj: 29/04/2004. STF, 2004. Disponível em: <https://www.stf.jus.br/portal/peticaoInicial/verPeticaoInicial.asp?base=ADPF&s1=45%20POL%CDTICAS%20>. Acesso em: 01 out. 2022.

SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. **AG.REG. NO RECURSO EXTRAORDINÁRIO COM AGRAVO: ARE 639337 AgR SP**. Relator: Ministro Celso de Mello. Publicação: 15/09/2011. Jurisprudência STF, 2019. Disponível em: <https://jurisprudencia.stf.jus.br/pages/search/sjur198252/false>. Acesso em: 01 out. 2022.

SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. **AÇÃO DIRETA DE INCONSTITUCIONALIDADE: ADI 4874 DF**. Relatora: Ministra Rosa Weber. Publicação: 01/02/2019. Jurisprudência STF, 2019. Disponível em: <https://jurisprudencia.stf.jus.br/pages/search/sjur397310/false>. Acesso em: 01 out. 2022.

SUPREMO TRIBUNAL FEDERAL. **EMB.DECL. NO RECURSO EXTRAORDINÁRIO: RE 855178 ED SE**. Relator: Ministro Luiz Fux. Publicação: 16/04/2020. Jurisprudência STF, 2020. Disponível em:

<https://jurisprudencia.stf.jus.br/pages/search/sjur422158/false>. Acesso em: 01 out. 2022.

TERMO DE AUTENTICIDADE DO TRABALHO DE CONCLUSÃO DE CURSO

Eu, Ana Paula da Mata Calegari

discente regularmente matriculado(a) na disciplina TCC II, da 10ª etapa do curso de Direito, matrícula nº (inserir TIA), período (inserir período), turma (inserir turma), tendo realizado o TCC com o título: “A Judicialização do Acesso a Saúde: É dever do Estado fornecer medicamentos de alto custo?”

sob a orientação do(a) Professor(a) Lourenço de Miranda Freire Neto

declaro para os devidos fins que tenho pleno conhecimento das regras metodológicas para confecção do Trabalho de Conclusão de Curso (TCC), informando que o realizei sem plágio de obras literárias ou a utilização de qualquer meio irregular.

Declaro ainda que, estou ciente que caso sejam detectadas irregularidades referentes às citações das fontes e/ou desrespeito às normas técnicas próprias relativas aos direitos autorais de obras utilizadas na confecção do trabalho, serão aplicáveis as sanções legais de natureza civil, penal e administrativa, além da reprovação automática, impedindo a conclusão do curso.

São Paulo, 11 de novembro de 2022.


Assinatura do discente