



UNIVERSIDADE FEDERAL DO RIO DE JANEIRO
CENTRO DE CIÊNCIAS DA SAÚDE
INSTITUTO DE ESTUDOS EM SAÚDE COLETIVA

MELINDA MARCELLOS AUGUSTO

JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A MEDICAMENTOS PARA TRATAMENTO DA
DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE (DMD): análise das petições dos demandantes
e decisões do magistrado nos processos judiciais em desfavor da União Federal

Rio de Janeiro

2024

MELINDA MARCELLOS AUGUSTO

JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A MEDICAMENTOS PARA TRATAMENTO DA
DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE (DMD): análise das petições dos demandantes
e decisões do magistrado nos processos judiciais em desfavor da União Federal

Monografia apresentada ao Instituto de
Estudos em Saúde Coletiva, da Universidade
Federal do Rio de Janeiro, como requisito
parcial para a obtenção do título de Bacharel
em Saúde Coletiva.

Orientadora: Prof^ª. Dra. Miriam Ventura da Silva

Rio de Janeiro

2024

FOLHA DE APROVAÇÃO

MELINDA MARCELLOS AUGUSTO

JUDICIALIZAÇÃO DO ACESSO A MEDICAMENTOS PARA TRATAMENTO DA
DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE (DMD): análise das petições dos demandantes
e decisões do magistrado nos processos judiciais em desfavor da União Federal

Monografia apresentada ao Instituto de
Estudos em Saúde Coletiva, da Universidade
Federal do Rio de Janeiro, como requisito
parcial para a obtenção do título de Bacharel
em Saúde Coletiva.

Aprovada em: 16 de fevereiro de 2024.

Prof^ª. Dra. Miriam Ventura da Silva (Orientadora)

IESC/UFRJ

Prof^ª. Dra. Aline de Souza Espindola Santos

IESC/UFRJ

Prof^ª. Dra. Márcia Aparecida Ribeiro de Carvalho

IESC/UFRJ

À minha mãe, fonte inesgotável de amor e
força que confiou em mim quando nem eu
confiava.

AGRADECIMENTOS

Pelo suporte ao longo da minha vida acadêmica e da construção do presente trabalho, gostaria de agradecer primeiramente à minha orientadora Miriam Ventura, que me chamou atenção desde a primeira vez que nos conhecemos por sua paixão pela profissão e por incentivar e explorar a potencialidade dos alunos. Juntamente a ela, preciso mencionar toda a equipe de pesquisa da ENSP, em especial Vera Pepe, coordenadora do projeto, pela cessão do banco de dados para realização do presente trabalho e, muito mais do que isso, pelos inúmeros ensinamentos e oportunidades que pude obter participando da minha primeira pesquisa científica com profissionais e pessoas excepcionais.

Agradeço também a toda equipe de docentes do IESC que construiu a (quase) sanitária que sou com excelência, me concedendo o privilégio de tê-los como professores e de ter seus conhecimentos compartilhados comigo. Ao meu professor do Ensino Médio, Thiago Higino, que sempre vai ter parte em minhas conquistas e viver na minha memória como um dos professores mais especiais que tive.

Aos meus presentes do IESC, Bruna, Gabriela, Giovanna, Marcelle e Pedro que deixaram todos os meus dias mais leves e marcaram uma fase importante da minha vida de forma especial.

Indispensavelmente, agradeço à minha família, elo mais importante da minha vida por sua união e parceria de sempre, me concedendo o privilégio de crescer em um ambiente de muita admiração e acolhimento. Aos meus irmãos Pedro e Lucas por todas as memórias que criamos e ainda vamos criar. À minha amada avó Hilda por seu carinho e apoio sempre.

Por fim, preciso registrar minha gratidão eterna principalmente a minha mãe e meu pai, pessoas que mais admiro no mundo e que sempre foram para mim mais do que qualquer pessoa poderia sonhar em ter como pais, me apoiando, incentivando e me fazendo acreditar no propósito de cada passo e tropeço do caminho.

RESUMO

AUGUSTO, Melinda Marcellos. **Judicialização do acesso a medicamentos**: um estudo dos pedidos e decisões judiciais para o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne em face da União Federal. Monografia (Graduação em Saúde Coletiva) – Instituto de Estudos em Saúde Coletiva, Universidade Federal do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, 2024.

Introdução: As doenças raras representam um desafio significativo para a saúde pública, caracterizando-se pelas dificuldades dos itinerários terapêuticos das pessoas na busca pelo diagnóstico e o acesso a tratamentos de custo elevado. As dificuldades políticas relativas à incorporação de medicamentos nos SUS, somadas a outras barreiras de acesso, delineiam algumas limitações do Sistema Único de Saúde (SUS) no cuidado de indivíduos com DR, se tornando uma das diversas motivações para o fenômeno da judicialização da saúde. Sendo resultado de uma percepção das lacunas do Sistema na efetivação da garantia do direito à saúde para todos, seu estudo possibilita a exploração das estruturas jurídica-institucionais que envolvem o acesso à justiça e à saúde, identificando as possibilidades e as impossibilidades sanitárias e jurídicas no atendimento das demandas dos cidadãos. **Objetivo:** Analisar o percurso das pessoas com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), reivindicantes em processos judiciais, no momento anterior à judicialização e durante a ação judicial em busca do acesso ao tratamento. **Metodologia:** Estudo com fonte de dados do banco gerado pela pesquisa “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União – ENSP-Fiocruz/DGJUD-MS” (2023). Construído a partir da análise de processos judiciais de medicamentos de alto custo interpostas contra a União, selecionou-se amostra referente à Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) com 50 demandas do medicamento Translarna® e 9 do Exondys®. Selecionaram-se variáveis de interesse relativas a aspectos fáticos do percurso anterior à judicialização e referentes aos fatores determinantes no percurso na via judicial e suas decisões. Com a base de dados formada, buscou-se a análise quantitativa, com o auxílio do software Microsoft Excel, aplicando-se a estatística descritiva de distribuição de frequência simples. **Resultados:** Dos 59 processos analisados, pôde-se analisar o perfil de demandantes do sexo masculino (100%) com faixa etária predominante entre os 7 e 11 anos de idade (42,4%). A maioria das ações não apresentava referência à exploração das possibilidades do Sistema de Saúde no percurso do demandante, visto que 37 (64,4%) referiam tratamento anterior no SUS e 35 (59,3%) não apresentaram tentativa de obter o medicamento no SUS antes da ação judicial. A análise do percurso judicial, por sua vez, apresentou baixas proporções de exigências médico-sanitárias (16,9%) para subsidiar a decisão liminar e judiciais (28,8%) para sentença, assim como encaminhamento de apenas 18 demandas ao NATJUS (30,5%). A trajetória entre decisões explicitou a complexidade de definição do fornecimento do medicamento apresentando 48 recursos interpostos à liminar com 15 reformas e 37 recursos em relação às sentenças proferidas com 18 reformas até o momento da pesquisa.

Palavras-chave: doenças raras; judicialização; Distrofia Muscular de Duchenne (DMD).

LISTA DE FIGURAS

Figura 1 - Perfil das doenças raras.....	18
Figura 2 - Distribuição dos tratamentos para doenças raras	19
Figura 3 - Gastos da União com os 20 medicamentos mais judicializados (2011-2017**)- Em milhões de reais	26
Figura 4 - Os 20 medicamentos mais judicializados pela União (2011-2017**).	27
Figura 5 - Proposta de fluxo para a análise da demanda judicial para o fornecimento de medicamentos	32
Figura 6 - As balizas do Supremo Tribunal Federal.....	33
Figura 7 - Fluxo dos Principais Atos Processuais dos Processos Judiciais individuais de assistência à saúde	35
Figura 8 - A diferença entre um gene normal e um gene com mutação.....	37
Figura 9 - Fluxo de diagnóstico da distrofia muscular de Duchenne	37
Figura 10 - Diferença do músculo normal e do músculo na DMD	38
Figura 11 - Distribuição das ações judiciais por medicamentos utilizados para tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (Translarna® – Atalurenó e Exondys® - Eteplirsén). Brasil 2015 a 2022	46
Figura 12 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsén e atalurenó) contra a União Federal, segundo decisão de antecipação de tutela de urgência - Brasil, 2015 a 2022	48
Figura 13 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsén e atalurenó) contra a União Federal, segundo interposição de agravo - Brasil, 2015 a 2022	49
Figura 14 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsén e atalurenó) contra a União Federal, segundo a decisão em 2ª instância - Brasil, 2015 a 2022*	49
Figura 15 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsén e atalurenó) contra a União Federal, segundo o julgamento da sentença - Brasil, 2015 a 2022	50
Figura 16 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsén e atalurenó) contra a União Federal, segundo decisão do Acórdão - Brasil, 2015 a 2022	51

Figura 17 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo decisão do Acórdão - Brasil, 2015 a 2022.....	51
---	----

LISTA DE TABELAS

Tabela 1 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo tempo entre distribuição e decisão liminar (em dias). Brasil, 2015 a 2022	52
Tabela 2 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e faixa etária do demandante. Brasil, 2015 a 2022.....	53
Tabela 3 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e tempo de evolução da doença. Brasil, 2015 a 2022	54
Tabela 4 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e referência a tratamentos anteriores. Brasil, 2015 a 2022.....	55
Tabela 5 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e tentativa de obtenção do medicamento no SUS Brasil, 2015 a 2022.....	56
Tabela 6 - Frequências de afirmações do autor no pedido inicial para fornecimento de medicamento das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal. Brasil, 2015 a 2022	57
Tabela 7 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e exigências médico-sanitárias. Brasil, 2015 a 2022.....	58
Tabela 8 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e solicitação de parecer NATJUS. Brasil, 2015 a 2022	59
Tabela 9 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão de segunda instância e da interposição de agravo. Brasil, 2015 a 2022	60
Tabela 10 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e reforma da decisão. Brasil, 2015 a 2022	61

Tabela 11 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo tempo entre decisão liminar e sentença (em meses). Brasil, 2015 a 2022	62
Tabela 12 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo exigências judiciais ao Autor entre liminar e sentença ao autor e decisão da sentença. Brasil, 2015 a 2022	63
Tabela 13 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e decisão da sentença. Brasil, 2015 a 2022	64
Tabela 14 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo recurso da sentença e decisão do acórdão. Brasil, 2015 a 2022	65

LISTA DE ABREVIATURAS E SIGLAS

Anvisa	Agência Nacional de Vigilância Sanitária
ATS	Avaliação de Tecnologias em Saúde
CAS	Comissão de Assuntos Sociais
CE	Comissão de Educação
CEP	Comitê de Ética em Pesquisa
CF	Constituição Federal
CNJ	Conselho Nacional de Justiça
CONASEMS	Conselho Nacional de Secretarias Municipais
CONITEC	Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde
CPC	Código de Processo Civil
DJUD	Departamento de Gestão das Demandas em Judicialização na Saúde
DMD	Distrofia Muscular de Duchenne
DR	Doenças Raras
EMA	European Medicines Agency
ENSP	Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca
FDA	Food and Drug Administration
Fiocruz	Fundação Oswaldo Cruz
MS	Ministério da Saúde
NATJUS	Núcleo de Apoio Técnico ao Judiciário
NATS	Núcleos de Assessoramento Técnico em Saúde
NICE	National Institute for Clinical Excellence
OMS	Organização Mundial da Saúde
PCDT	Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas
PNAF	Política Nacional de Assistência Farmacêutica
PNAIPDR	Política Brasileira de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras
PNM	Política Nacional de Medicamentos
Rename	Relação Nacional de Medicamentos Essenciais
SUS	Sistema Único de Saúde

SUMÁRIO

1 INTRODUÇÃO	12
2 OBJETIVOS	16
2.1 OBJETIVO GERAL.....	16
2.2 OBJETIVOS ESPECÍFICOS	16
3 JUSTIFICATIVA	17
4 REFERENCIAL TEÓRICO	18
4.1 DOENÇAS RARAS E DESAFIOS IMPLICADOS NA ASSISTÊNCIA EM SAÚDE ...	18
4.2 O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE (SUS) E AS POLÍTICAS PÚBLICAS PARA O CUIDADO DAS PESSOAS COM DOENÇAS RARAS	20
4.3 A PROBLEMÁTICA DA JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE COMO GARANTIA DE ACESSO À SAÚDE.....	24
4.4 MOMENTO ANTERIOR À JUDICIALIZAÇÃO: LIMITES E POSSIBILIDADES DA GESTÃO NA RESOLUÇÃO DE CONFLITOS RELACIONADOS AO ACESSO À SAÚDE NO SUS	28
4.5 MOMENTO DA JUDICIALIZAÇÃO: DESAFIOS DO MAGISTRADO E IMPACTO DA VIA JUDICIAL NA GARANTIA DO DIREITO À SAÚDE DOS CIDADÃOS.....	30
4.6 Distrofia muscular de Duchenne (DMD): perfil epidemiológico, características clínicas e alternativas de tratamento	36
5 MÉTODOS E PLANO DE ANÁLISE.....	41
6 RESULTADOS E DISCUSSÃO	46
6.1 PRINCIPAIS CARACTERÍSTICAS SOCIODEMOGRÁFICAS, MÉDICO-SANITÁRIAS, PROCESSUAIS E POLÍTICO ADMINISTRATIVAS DAS DEMANDAS JUDICIAIS DE DMD	46
6.2 ASPECTOS RELACIONADOS AO PERCURSO NO SISTEMA DE SAÚDE E NA AÇÃO JUDICIAL EM BUSCA DO ACESSO AOS MEDICAMENTOS	52
7 CONSIDERAÇÕES FINAIS.....	66
REFERÊNCIAS	68
ANEXOS	74
ANEXO A – INSTRUMENTO DE COLETA DA PESQUISA PRINCIPAL.....	75
ANEXO B – AUTORIZAÇÃO DO USO DE DADOS.....	79

1 INTRODUÇÃO

As doenças raras afetam milhões de indivíduos ao redor do mundo e representam um desafio significativo para a saúde pública devido à sua característica de baixa prevalência associada à diversidade de manifestações clínicas, dificuldades para o desenvolvimento de pesquisas e protocolos clínicos de diagnósticos e assistência e a escassez de alternativas de tratamento (Pascarelli; Pereira, 2022). Tais características repercutem diretamente no cuidado das pessoas e nos seus itinerários terapêuticos que, no caso das pessoas com doenças raras, apresentam um percurso marcado por diagnósticos tardios, opções de tratamento limitadas e, em geral, de alto custo e não ofertadas na rede SUS (Iriart *et al.*, 2019).

O principal tensionamento na assistência terapêutica das pessoas com doenças raras é definido a partir de sua relação direta com os chamados medicamentos órfãos (Aith *et al.*, 2014), definidos primeiramente como medicamentos potencialmente úteis e normalmente indisponíveis no mercado em função de sua exploração não ser considerada lucrativa devido à baixa escala da demanda (Silva, 2000). As interlocuções entre doenças raras e medicamentos órfãos revelam uma complexidade própria da atenção em saúde através de desafios enfrentados pelo sistema público de saúde na garantia de um atendimento universal e integral para todas as pessoas que apresentam necessidades legítimas e fundamentais de acesso a serviços de saúde.

Tais dificuldades impulsionaram a formulação de uma política nacional de atenção integral aos portadores de doenças raras no Brasil que se sustenta através da garantia e ampliação do acesso, qualificando a assistência e proporcionando atenção integral em tempo oportuno (Brasil, 2014). Dentre seus princípios e diretrizes, destaca-se o direito ao acesso de medicamentos “indicados no âmbito SUS”, que devem ser recomendados por órgãos governamentais a partir do processo de avaliação e aprovação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) e Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (Brasil, 2011).

No Brasil, a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologias de saúde no Sistema Único de Saúde SUS, que inclui o acesso a medicamentos, é regulamentado pela Lei Federal nº 8.080/90, art. 19-M a 19-U, introduzidos em 2011 pela Lei Federal nº 12.401/2011. Os parâmetros legais estabelecidos por esses dispositivos, assim como os apresentados na Política Brasileira de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR) revelam desafios nos processos de incorporação de novas tecnologias para o tratamento de doenças raras no SUS por esses serem medicamentos majoritariamente

incipientes para comprovação e garantia de sua eficácia e segurança. Essas dificuldades relativas à incorporação de novos medicamentos no SUS, somadas a outras barreiras de acesso à saúde e de cunho socioeconômico no cuidado das pessoas com doenças raras tem motivado a busca de tratamento pela via judicial (Matos, 2017).

Inseridas no contexto nacional em que a saúde se expressa de forma constitucional como direito de todos e dever do Estado (Brasil, 1988, Art. 196), as demandas judiciais se sustentam através da atuação dos cidadãos como reivindicadores desse direito, buscando a efetivação do acesso à saúde com base nos princípios de universalidade, integralidade e igualdade (Ventura *et al.*, 2010). Nesse sentido, o fenômeno da judicialização da saúde, segundo Ventura *et al.* (2010, p. 2), expressa reivindicações e modos de atuação legítimos de cidadãos e instituições, para a garantia e promoção dos direitos de cidadania, que vão além de aspectos jurídicos-normativos, mas envolve também aspectos políticos, sociais, econômicos, éticos e sanitários que vinculam o campo do Direito e da Saúde Coletiva.

Considerando as características da judicialização, seu estudo possibilita desvendar as estruturas e abordagens jurídica-institucionais, que envolvem o acesso à justiça e o acesso à saúde, e a forma como as políticas e a gestão em saúde respondem às necessidades de saúde dos cidadãos. Permite, ainda, conferir o cotidiano da administração e da organização do SUS, mapeando-se as possibilidades e as impossibilidades sanitárias e jurídicas no atendimento das demandas dos cidadãos. Dessa forma, o presente estudo se situa na problemática da Judicialização da Saúde a partir do objeto constituído pelos processos judiciais para o acesso a medicamentos requeridos contra a União Federal pelas pessoas com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD).

As questões norteadoras do estudo buscam desvendar duas dimensões da problemática. A primeira refere-se a um dos aspectos do percurso dos reivindicantes judiciais relacionados ao acesso à saúde no SUS, e indaga-se: Como tem sido realizada a assistência à saúde das pessoas com a DMD? Quais as barreiras de acesso relatadas nos processos para os cuidados de saúde desse grupo? Quais alternativas têm sido exploradas para superar as barreiras de acesso e evitar a judicialização da demanda no sistema público?

Na segunda dimensão, indaga-se : De que forma se dá o percurso desses demandantes na via judicial? De que maneira o Poder Judiciário tem respondido às demandas judiciais e definido o acesso aos medicamentos pleiteados?

Para responder essas questões, desenhou-se um estudo de caráter descritivo, analítico e quantitativo a partir de banco de dados previamente constituído em pesquisa que coletou dados dos processos judiciais de saúde contra a União Federal reivindicando medicamentos

para doenças raras, incluindo os designados para tratamento da DMD. Buscando-se responder às questões iniciais, fixou-se o objetivo de explorar as variáveis disponíveis no estudo que revelassem aspectos da trajetória dos demandantes de ações judiciais desde o diagnóstico até as respostas judiciais de seus pedidos no processo judicial. Assim, analisou os principais elementos argumentativos e subsidiários envolvidos nos pedidos e decisões judiciais contidos nas variáveis de interesse do banco de dados cedido para a análise. A pesquisa principal identificou que a demanda deste grupo específico em face da União Federal (gestor federal do SUS) volta-se para o fornecimento de dois medicamentos: atalureno (Translarna®) e o eteplirsen (Exondys® 51®).

O atalureno (Translarna®) é um medicamento que atua na transcrição da proteína distrofina, essencial para integridade muscular, objetivando reverter a mutação nonsense do DNA que resulta num códon de terminação prematuro no interior de um RNA mensageiro. Ele foi registrado para o tratamento de pessoas com mutação nonsense no gene distrofina, que corresponde entre 10-15% dos portadores da doença (CONITEC, 2022). No Brasil, teve registro inicial na Anvisa em 29 de abril de 2019 para pacientes a partir dos 5 anos de idade do sexo masculino com deambulação preservada, sendo a idade do paciente ampliada em 2021 para a partir dos 2 anos (ANVISA, 2021), mas ainda sem incorporação no SUS pela Conitec. Na EMA o registro ocorreu em em 31 de julho de 2014, para o tratamento de doentes com DMD com mutação nonsense no gene da distrofina, sendo recomendada a não renovação do registro em 15 de setembro de 2023 após reavaliação das evidências de benefícios e segurança do medicamento. Considerou-se que as evidências relacionadas aos seus benefícios não foram confirmadas, concluindo que sua relação benefício-risco é negativa (EMA, 2023). No entanto, o medicamento foi aprovado pelo NICE no mesmo ano (NICE, 2023).

O eteplirsen (Exondys® 51®), por sua vez, atua através da indução do salto desse exon em variantes de genes defeituosos, se ligando seletivamente ao éxon 51 no pré-ácido ribonucleico mensageiro (pré-RNA_m) da distrofina, abrangendo o quadro clínico de aproximadamente 13% dos pacientes com DMD (CONITEC, 2022). Diferentemente do Atalureno, não obteve aprovação para registro na ANVISA ou na EMA, mas possui registro no FDA após uma controversa aprovação em 19 de setembro de 2016.

Como já referido, o fenômeno da judicialização nos revela aspectos sobre como o Sistema de Saúde vem protegendo a saúde de indivíduos com doenças raras e como o trâmite judicial impacta nos momentos em que essa demanda se desloca do campo administrativo para o judicial ou, simplesmente, diante da inexistência de canais de atendimento no sistema de saúde.

Dessa forma, o estudo demonstra pertinência para Saúde Coletiva, campo voltado a saberes e práticas relacionados à promoção, proteção e recuperação da saúde das populações, respeitando suas diversidades e entendendo a saúde como um processo que envolve questões de diferentes naturezas. É na perspectiva da Saúde Coletiva que este estudo analisará a judicialização da saúde buscando capturar diferentes perspectivas que compõem a forma em que o acesso à saúde das pessoas com doenças raras e, especialmente, DMD vem sendo construído no país.

Assim, o presente Trabalho de Conclusão de Curso, busca traçar o perfil das principais características associadas às demandas judiciais de saúde para DMD, analisar aspectos da trajetória percorrida por este grupo em busca de cuidados em saúde no sistema de saúde e no sistema judicial, observando-se a demanda principal para o acesso a medicamentos, enquanto componente importante do direito à assistência integral à saúde, garantido no SUS.

2 OBJETIVOS

2.1 OBJETIVO GERAL

Analisar o percurso das pessoas com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), reivindicantes em processos judiciais, no momento anterior à judicialização e durante a ação judicial em busca do acesso ao tratamento.

2.2 OBJETIVOS ESPECÍFICOS

- Traçar o perfil sociodemográfico dos demandantes;
- Identificar referências ao percurso dos reivindicantes no sistema de saúde em busca do acesso ao tratamento;
- Caracterizar a trajetória dos demandantes ao longo dos processos judiciais no acesso ao tratamento.

3 JUSTIFICATIVA

Frente ao contexto marcado pelo crescimento da judicialização da saúde e a característica multifacetada do fenômeno com comprovadas repercussões para as políticas de saúde, a gestão do SUS e os cuidados dos demandantes, considera-se que o presente estudo é relevante e pertinente ao campo da Saúde Coletiva. Reafirma-se, ainda, que a Saúde Coletiva tem como objeto de estudo e práticas, entre outros, a formulação, implementação e o aperfeiçoamento das políticas públicas de saúde. No contexto do estudo, tal tarefa inclui a articulação intersetorial com o sistema de justiça, organização complexa, com articulações majoritariamente desconhecidas pela população que envolve agentes como advogados pagos ou dativos, promotores públicos e juízes (Sadek, 2010) em prol da melhoria da prestação jurisdicional e de saúde no SUS como atividades pertinentes ao sanitarista.

A Distrofia Muscular de Duchenne como agravo selecionado para a pesquisa justifica-se por, além de ser a forma mais comum de distrofia muscular em crianças, ter sido objeto de relevantes debates atuais no país. A doença rara foi recentemente discutida em audiência pública na Comissão de Assuntos Sociais (CAS) e na Comissão de Educação (CE) do Poder Legislativo Federal, resultando na promulgação da Lei nº 14.557/2023, que estabeleceu o Dia Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne, a ser celebrado em 7 de setembro e a semana nacional de conscientização sobre o tema. Nesse sentido, este TCC contribui para a difusão de conhecimento sobre o tema.

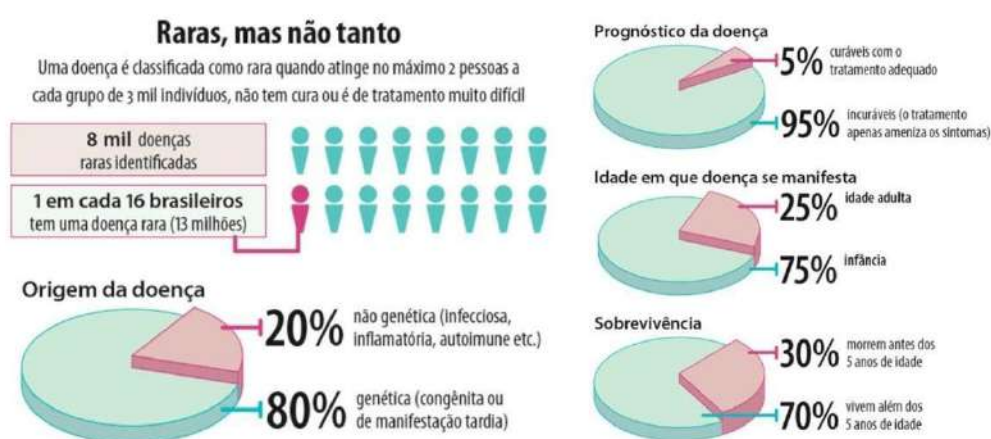
4 REFERENCIAL TEÓRICO

4.1 DOENÇAS RARAS E DESAFIOS IMPLICADOS NA ASSISTÊNCIA EM SAÚDE

Por definição da Organização Mundial de Saúde (OMS), as doenças raras são condições médicas que acometem até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, ou seja, 1,3 a cada 2 mil pessoas, sendo classificadas de acordo com quatro principais fatores: incidência, raridade, gravidade e diversidade. O Brasil adota a mesma definição na Portaria GM/MS n.º 199, de 30 de janeiro de 2014, que institui a política e diretrizes para atenção integral das pessoas com doenças raras.

A literatura médica reconhece entre 6.000 e 8.000 doenças raras no mundo e o perfil clínico dessas enfermidades costuma se caracterizar de maneira crônica com desenvolvimento progressivo, debilitando a qualidade de vida e, na maioria dos casos, apresentando risco à vida dos portadores (Silveira, 2022). Ainda que atualmente cerca de 80% das doenças raras registradas possua origem genética, a diversidade etiológica dessas doenças é ampla, englobando outras causas metabólicas, infecciosas e/ou neuromusculares, por exemplo. No Brasil, estima-se que cerca de 13 milhões de indivíduos tenham alguma doença rara, representando aproximadamente 6% da população brasileira e impactando significativamente a saúde pública e todos os fluxos e processos que a permeiam (Brasil, 2018).

Figura 1 - Perfil das doenças raras



Fonte: Ministério da Saúde (Brasil, 2018).

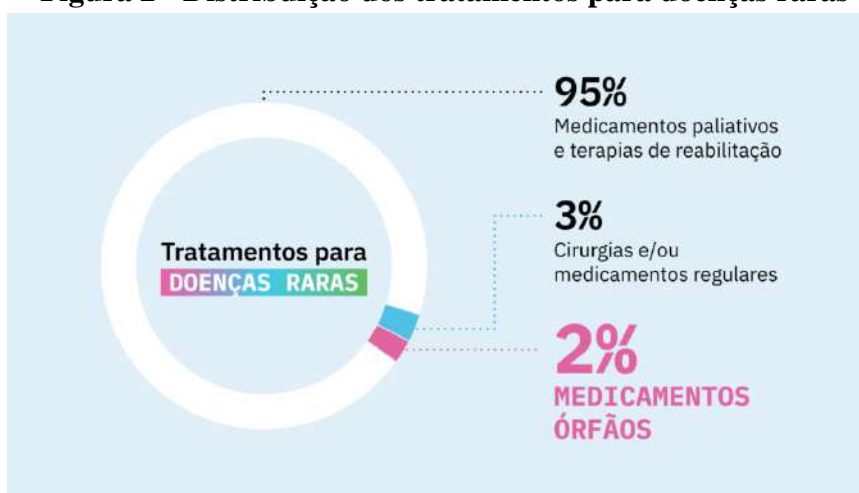
Por possuírem estratégias de diagnóstico e tratamento menos conhecidas, padronizadas e especializadas em relação a outras doenças mais prevalentes, são diversos os

desafios relacionados aos cuidados e o acesso à saúde, insumos e medicamentos necessários para atenção integral às pessoas com doenças raras. Nesse sentido, a literatura aponta que o itinerário terapêutico de pessoas com doenças raras se caracterize por diagnósticos tardios ou incorretos, trânsito entre diversas unidades e especialidades, longos períodos de dano significativo à qualidade de vida, desafios emocionais, financeiros e sociais, que envolvem a busca do acesso adequado a tratamentos muitas vezes de alto custo e baixa demanda (Luz; Silva; Demontigny, 2015).

O estudo de Iriart *et al.* (2019), que entrevistou atores envolvidos nos cuidados da pessoa com doença rara, apresentou alguns aspectos relacionados ao itinerário terapêutico desse grupo social. O diagnóstico tardio, por exemplo, foi atribuído por profissionais de saúde e cuidadores à falta de conhecimento dos profissionais da atenção básica em relação às doenças raras, além de deficiências na rede de atenção e no fluxo de atendimento. Outra questão apresentada foi a centralização dos hospitais de referências nas Capitais e a concentração de tratamentos de alta complexidade nas regiões sul e sudeste do país que criam outras barreiras de acesso a determinadas especialidades, exames de diagnóstico e acompanhamento e tecnologias de assistência.

As intervenções terapêuticas em relação às doenças raras dependem muito do investimento em pesquisa e inovação científica, para ampliação das possibilidades e alternativas de tratamento. Atualmente, a grande maioria das doenças raras não têm cura e o tratamento é realizado através de medicamentos paliativos e reabilitação, exigindo acompanhamento multiprofissional conforme aponta a distribuição de apresentada na Figura 2.

Figura 2 - Distribuição dos tratamentos para doenças raras



Fonte: Mendelics - Teste da Bochechinha (Silva, 2022).

Os medicamentos paliativos representam aqueles englobados no cuidado definido como a “abordagem que melhora a qualidade de vida de pacientes e suas famílias na presença de problemas associados a doenças que ameaçam a vida, mediante prevenção e alívio do sofrimento pela detecção precoce e tratamento de dor ou outros problemas físicos, psicossociais e espirituais” (OMS, 1990). Dessa maneira, medicamentos nessa classificação objetivam principalmente a amenização do quadro clínico de sintomas mais comuns dos agravos em saúde como dor (leve, moderada e intensa; tegumentar, neuropática e visceral), dispneia, fadiga, xerostomia entre outros (Wanmacher, 2007).

Os medicamentos órfãos, menor parte dentre as atuais vias de tratamento para as doenças raras, segundo Sepodes e Mota-Filipe (2013) foram definidos pela primeira vez em 1968 para descrever medicamentos potencialmente úteis mas não disponíveis no mercado, sendo o conceito incluído em projeto político pioneiramente pelos EUA através do “*Orphan Drug Act*” em 1983. Atualmente, são designados pela legislação da União Europeia como medicamentos usados no diagnóstico, prevenção ou tratamento de situações cronicamente debilitantes ou que coloquem a vida em risco e que não afetam mais do que cinco em 10 mil pessoas, ou medicamentos que por razões econômicas seria improvável o seu desenvolvimento sem a existência de incentivos (Sepodes; Mota Filipe, 2013).

Paliativos, regulares ou órfãos, os medicamentos - e conseqüentemente o acesso a eles- são ponto fundamental da discussão de assistência em saúde em relação às doenças raras, principalmente no contexto brasileiro em que a saúde se apresenta como direito universal garantido pela Constituição Federal de 1988, que prevê no artigo 196 a saúde como “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”.

4.2 O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE (SUS) E AS POLÍTICAS PÚBLICAS PARA O CUIDADO DAS PESSOAS COM DOENÇAS RARAS

A lei constitucional brasileira responsabiliza o Poder Público pela regulamentação, fiscalização e controle das ações e serviços de saúde, instituiu, no seu art. 200, o Sistema Único de Saúde (SUS) com as principais atribuições:

I - controlar e fiscalizar procedimentos, produtos e substâncias de interesse para a saúde e participar da produção de medicamentos, equipamentos, imunobiológicos, hemoderivados e outros insumos;

- II - executar as ações de vigilância sanitária e epidemiológica, bem como as de saúde do trabalhador;
- III - ordenar a formação de recursos humanos na área de saúde;
- IV - participar da formulação da política e da execução das ações de saneamento básico;
- V - incrementar em sua área de atuação o desenvolvimento científico e tecnológico;
- VI - fiscalizar e inspecionar alimentos, compreendido o controle de seu teor nutricional, bem como bebidas e águas para consumo humano;
- VII - participar do controle e fiscalização da produção, transporte, guarda e utilização de substâncias e produtos psicoativos, tóxicos e radioativos;
- VIII - colaborar na proteção do meio ambiente, nele compreendido o do trabalho. (Brasil, 1988).

A organização dos serviços, assim como as diretrizes e condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde no SUS foram devidamente instituídas pela Lei 8.080/90 que, dentre outras disposições, determinou como parte do dever do Estado brasileiro a formulação e execução de políticas sociais que visem à redução de riscos de doenças e de outros agravos, estabelecendo condições que assegurem acesso universal e igualitário às ações e aos serviços de saúde.

Nesse sentido, a Política Brasileira de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR) foi instituída pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014 que aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio. A norma legal, apesar de tardia, foi uma medida importante no encaminhamento de ações para reduzir a morbimortalidade e melhorar a qualidade de vida das pessoas com doenças raras no país.

A nível de organização do cuidado, a PNAIPDR segmentou as doenças raras em dois principais eixos, sendo eles: I) doenças raras de origem genética, incluindo anomalias congênitas de manifestação tardia, deficiência intelectual e erros inatos do metabolismo e II) doenças raras de origem não genética, podendo ser infecciosas, inflamatórias, autoimunes ou outras. As linhas de cuidado para pessoas com doenças raras foi estruturada através da Atenção Básica e Atenção Especializada, em conformidade com a Rede de Atenção à Saúde e seguindo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS.

Conforme o documento, o principal objetivo desses encaminhamentos é “organizar a atenção às pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde, o que permitirá reduzir o sofrimento dos afetados e o ônus emocional sobre os pacientes e seus familiares, permitindo ao gestor de saúde a racionalização de recursos” (Brasil, 2014, p. 6). Elaboradas pelo Ministério da Saúde com a participação da sociedade, especialistas e associações de apoio às pessoas com doenças raras, as diretrizes estipulam que a atenção aos pacientes com

doenças raras e familiares e deve garantir:

- a) Estruturação da atenção de forma integrada e coordenada em todos os níveis, desde a prevenção, acolhimento, diagnóstico, tratamento (baseado em protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas), apoio até a resolução, seguimento e reabilitação;
- b) Acesso a recursos diagnósticos e terapêuticos;
- c) Acesso à informação e ao cuidado;
- d) Aconselhamento Genético (AG), quando indicado (Brasil, 2014, p. 7).

Já os Serviços de Atenção Especializada e Serviços de Referência em Doenças Raras possuem atuação multi e interdisciplinar para promover e participar das ações preventivas, diagnósticas e terapêuticas relacionadas às doenças raras mediante protocolos e diretrizes e eixos assistenciais determinados. Percebe-se, dessa maneira, que ainda que a PNAIPDR disponha da garantia do acesso a tratamentos e medicamentos para doenças raras, a política se refere estritamente àqueles que possuem aporte de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas instituídas.

A Lei Federal nº 13.930, de 2019, foi outro marco importante ao garantir a reserva de pelo menos 30% dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa da Saúde para o estudo de medicamentos, vacinas e terapias direcionadas às doenças raras, reforçando a relevância do tema e da inovação científica para avanços na assistência em saúde. O incentivo ao desenvolvimento científico, ainda que crucial e indispensável, é o passo inicial de um longo caminho desde a pesquisa e produção de medicamentos e outras tecnologias até o devido acesso dos portadores de doenças raras a eles.

No Brasil, o acesso a medicamentos é regulamentado pela Política Nacional de Medicamentos (PNM), instituída pela Portaria nº 3.916/1998 e pela Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF), pela Resolução CNS nº 338/2004, e pela Lei Federal nº 8.080/90, especialmente, quando trata da assistência terapêutica e a incorporação de tecnologias de saúde no Sistema Único de Saúde SUS, art. 19-M a 19-U, introduzidos em 2011 pela Lei Federal nº 12.401/2011.

As ações de assistência farmacêutica são pautadas nos princípios do SUS e tem o objetivo de assegurar o acesso da população a medicamentos seguros e eficazes orientada sob quatro principais pontos: descentralização da gestão, promoção do uso racional dos medicamentos, otimização e eficácia do sistema de distribuição no setor público e desenvolvimento de iniciativas que possibilitem a redução nos preços dos produtos, viabilizando, inclusive, o acesso da população no âmbito do setor privado (Brasil, 1998).

A assistência farmacêutica, conforme disposição da PNM é responsável pelas

atividades de seleção, programação, aquisição, armazenamento e distribuição, controle da qualidade, prescrição e dispensação de medicamentos, além de assegurar a disponibilidade permanente das tecnologias de acordo com a necessidade epidemiológica (Brasil, 1998). Para definir as tecnologias a serem dispensadas de maneira centralizada, determinaram-se três pressupostos básicos:

- 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.

Além desses, são estabelecidos outros critérios relevantes a serem observados, tais como:

- a. o financiamento da aquisição e da distribuição dos produtos, sobretudo no tocante à disponibilidade de recursos financeiros;
- b. o custo-benefício e o custo-efetividade da aquisição e distribuição dos produtos em relação ao conjunto das demandas e necessidades de saúde da população;
- c. a repercussão do fornecimento e uso dos produtos sobre a prevalência ou incidência de doenças e agravos relacionados aos medicamentos fornecidos;
- d. a necessidade de garantir apresentações de medicamentos, em formas farmacêuticas e dosagens adequadas, considerando a sua utilização por grupos populacionais específicos, como crianças e idosos. (Brasil, 1998, p. 1).

Entretanto, deve-se reconhecer que a promoção de acesso, ainda que assegurada por lei, está inserida em um contexto marcado pelo subfinanciamento do SUS e pela desigualdade social, fatores estes que desencadeiam iniquidades em saúde. O acesso a medicamentos como uma decorrência dos direitos humanos à saúde, exige também a assegurar o direito de usufruir dos avanços do progresso científico, muitas vezes limitados às restrições orçamentárias que não permitem que os sistemas de cuidado à saúde ofereçam todas as intervenções de maneira universal, integral, justa e igualitária (Ventura; Ventura, 2021).

Por esse motivo, influenciada pela discussão no âmbito do STF em relação à judicialização da saúde (Ventura, 2012), a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologias de saúde no Sistema Único de Saúde SUS foram objeto de regulamentação pela Lei nº 12.401/2011, acrescentando os art. 19-M a 19-U à Lei Federal nº 8.080/90. Para fundamentação de suas disposições, os artigos estabelecem os fluxos da assistência terapêutica integral através de duas principais hipóteses: de existência ou inexistência de protocolo clínico para a doença referida.

Na primeira, a assistência terapêutica integral consiste na dispensação de medicamentos e produtos de interesse para a saúde cuja prescrição esteja em conformidade com as diretrizes terapêuticas definidas em protocolo clínico para a doença ou o agravamento à

saúde a ser tratado, sendo esse o documento que estabelece critérios para diagnóstico, o tratamento preconizado, posologias recomendadas e outras informações a serem seguidas pelos gestores do SUS (Art.19-O). Já na segunda situação, na falta de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica, determina-se que a dispensação será realizada com base nas relações de medicamentos instituídas pelos gestores federal, estaduais ou municipais do SUS a serem pactuadas na Comissão Intergestores Tripartite, Comissão Intergestores Bipartite e Conselho Municipal de Saúde, respectivamente (Art. 19-P).

De forma a contribuir nas atividades de avaliações de tecnologias em saúde (ATS), foi instituída a partir desse regulamento a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). A CONITEC, enquanto órgão colegiado de caráter permanente, tem como principal objetivo assessorar o MS nas atividades de incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde pelo SUS, bem como na constituição ou alteração de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), avaliando evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento (Brasil, 2011).

No contexto das doenças raras, são múltiplos os desafios enfrentados nesses processos visto que, conforme supracitado, fatores como a escassez de evidências científicas adequadas, a baixa disponibilidade de medicamentos no mercado e o alto custo de pesquisa, desenvolvimento e tratamentos dificultam a incorporação dessas terapias no sistema público de saúde. A consequência direta desse fato vem sendo observada pela intensa judicialização para o acesso a medicamentos na rede SUS.

4.3 A PROBLEMÁTICA DA JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE COMO GARANTIA DE ACESSO À SAÚDE

De acordo com Ventura e Simas (2020), as demandas judiciais de saúde elucidam “o desafio prático no acesso à saúde e à justiça de traduzir os direitos e as prestações devidas pela Administração Pública em um sistema público que garanta procedimentos e serviços capazes de compatibilizar as dimensões coletivas e individuais dos direitos, interesses e responsabilidades governamentais em disputa, com mecanismos adjudicatórios eficientes”.

Especificamente no contexto brasileiro, a judicialização da saúde envolve não só premissas jurídico-normativas constitucionais que estabelecem o direito universal à saúde, mas também, conseqüentemente, a responsabilização do Estado por sua garantia e os

princípios de universalidade, igualdade e integralidade do SUS para sua efetivação, o que significa afirmar que as necessidades de saúde dos cidadãos devem ser atendidas pelos Poderes Públicos (Ventura; Simas, 2020).

Segundo a pesquisa “Judicialização e Sociedade: ações para acesso à saúde pública de qualidade”, realizada pelo Conselho Nacional de Justiça (CNJ) em 2020, o número de ações judiciais de demandas de saúde vem crescendo cada vez mais no Brasil com um total que ultrapassou 2,5 milhões de processos entre os anos de 2015 e 2020. Os dados do estudo apontaram que ‘Medicamentos’ e ‘Tratamento Médico-Hospitalar’ estão entre os assuntos mais demandados ao Poder Judiciário dentre os quais apresenta-se um alto excedente de demandas judiciais voltadas à aquisição de medicamentos de alto custo não previstos nas listas oficiais (Costa; Silva; Ogata, 2014-2019).

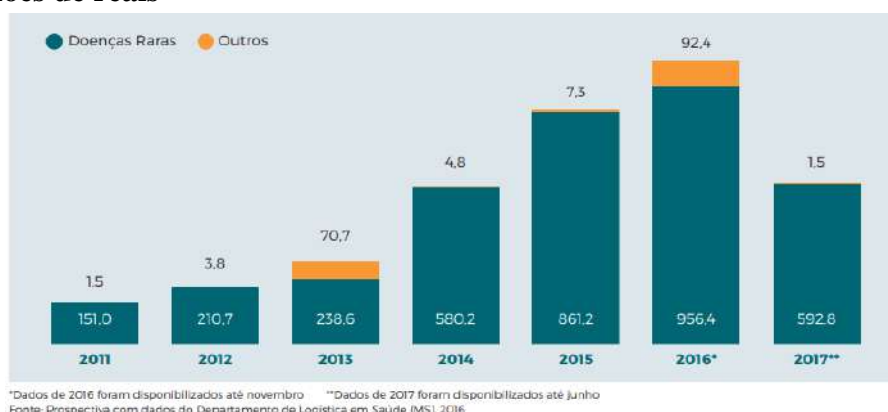
Dentre alguns fatores que poderiam explicar o crescimento de ações judiciais, Chieffi e Barata (2009) citaram os preços abusivos praticados pelos fabricantes, a falta de estoque nos casos de medicamentos já incorporados, falta de registro no país e escassez ou ausência de comprovação científica de eficácia. Especificamente para doenças raras, os desafios relacionados à incorporação de medicamentos no sistema de saúde previamente comentados, somados a outras barreiras no acesso, fazem com que a via judicial se institua como meio para o acesso a novos medicamentos que surgem no mercado e são prescritos pelos médicos assistentes para essas doenças.

A judicialização da saúde revela as lacunas da assistência farmacêutica do SUS frente ao seu compromisso com a universalidade, igualdade e integralidade da assistência terapêutica. Ao mesmo tempo em que se apresenta como um instrumento importante de responsabilização dos administradores da saúde para que melhorem os processos de incorporação, aquisição e dispensação de medicamentos, as ordens judiciais podem gerar desajustes na gestão farmacêutica com efeitos negativos para o coletivo (Pepe *et al.*, 2010). Por exemplo, as demandas judiciais que envolvem medicamentos não incorporados no SUS e ainda não disponíveis na rede de maneira universal, podem gerar disfuncionalidades no sistema de saúde e desigualdades no acesso, garantindo somente para aqueles que recorrem ao Judiciário (Pepe *et al.*, 2010).

Além disso, outro desafio ético, jurídico e sanitário discutido em relação à judicialização da saúde é a questão do impacto gerado no orçamento disponível para saúde, que passa a ser encaminhado para atender às demandas individuais em detrimento da atenção ao coletivo, ou seja, implica em alteração na alocação de recursos do SUS sem o devido lastro orçamentário.

De acordo com relato de Antônio Nardi, na época secretário-executivo do Ministério da Saúde, durante audiência pública no Conselho Nacional de Justiça (CNJ), em 2017 estimava-se que por ano, os municípios, os estados e a União gastavam cerca de R\$ 7 bilhões para cumprir determinações judiciais complementando que “quando se trata de judicialização da saúde, é preciso equacionar os custos, os benefícios e o número de beneficiários de cada decisão tomada por todos os envolvidos” (CNJ, 2017). O estudo da Associação Farmacêutica de Pesquisa (Interfarma), analisando os 20 medicamentos mais judicializados de janeiro de 2011 a abril de 2017, aponta que a maior parte dos custos de demandas judiciais em saúde foram destinados a medicamentos para doenças raras (Figura 3).

Figura 3 - Gastos da União com os 20 medicamentos mais judicializados (2011-2017)- Em milhões de reais**



Fonte: Associação Farmacêutica de Pesquisa (Interfarma, 2018).

Importante apontar que na análise do estudo referido houve um crescimento significativo na proporção entre medicamentos para doenças raras e outros contemplados pelo estudo (Figura 4). Mesmo após a Política e Diretrizes para o cuidado das pessoas com doenças raras (Brasil, 2014) a busca judicial pelo tratamento se mantém, sugerindo barreiras já apontadas anteriormente relacionadas à incorporação de novas tecnologias no SUS de alto custo e evidências científicas frágeis relacionadas aos riscos e benefícios do tratamento.

Figura 4 - Os 20 medicamentos mais judicializados pela União (2011-2017)**

Fonte: Associação Farmacêutica de Pesquisa (Interfarma, 2018).

O dilema se situa na justa distribuição de recursos de saúde, considerando que o acesso igualitário implica que todos tenham suas necessidades de saúde atendidas, de forma adequada e oportuna, ou seja, de forma equitativa. Os altos preços dos medicamentos não deveriam, em tese, prejudicar o acesso dos medicamentos necessários, que devem ser negociados e regulados pelo Poder Público. Por fim, o contexto de crise econômica requer ainda mais cuidado e ponderação na alocação de recursos na saúde buscando ampliar a eficácia, efetividade e eficiência dos sistemas públicos de saúde (Wang *et al.*, 2021).

Na perspectiva da saúde como direito humano fundamental, os medicamentos de alto custo não representam apenas altas despesas orçamentárias destinadas a um número menor de beneficiários, mas sim, como qualquer outro insumo ou serviço de saúde, uma demanda essencial para garantir o direito à vida e a dignidade dos indivíduos, sendo o Estado responsável por sua manutenção. Segundo Medeiros (1999, p. 3):

Não é fácil estabelecer diretrizes sempre “justas”, uma vez que os princípios norteadores são quase sempre muito gerais e derivam de valores nem sempre bem definidos. Assim, devido a uma certa generalização característica das normatizações visando à justiça social, uma diretriz pode tentar impor princípios a situações em que eles não se aplicariam. [...]. Frequentemente, a ampliação do universo de beneficiários e a melhoria da qualidade e quantidade dos serviços são metas mutuamente excludentes, dadas as restrições existentes nas capacidades de mudança do sistema e no orçamento da saúde.

Os desafios em relação às doenças raras se ampliam considerando que se trata de demandas de medicamentos órfãos e, em geral, ainda não incluídos em lista oficial, ou seja, sem análise da Conitec ou mesmo avaliados e não incluídos. Nesse sentido, um aspecto do dilema posto anteriormente em relação ao acesso igualitário e equitativo, é o balanceamento dos riscos e benefícios desses medicamentos no tratamento, considerando as poucas evidências científicas disponíveis.

As controvérsias referidas inicialmente, relacionadas aos dois medicamentos deste estudo para o tratamento da doença da DMD, apontam preocupações relativas à segurança sanitária de medicamentos não registrados na ANVISA e/ou avaliados pela Conitec fornecidos aos demandantes na judicialização respaldados por uma prescrição médica singular (Wang *et al.*, 2021). Tais características ampliam os desafios na resolução administrativa e na prestação jurisdicional que podem contrariar as decisões dos gestores de saúde em relação à conveniência da inclusão desse ou aquele tratamento na rede SUS.

Igualmente difícil a tarefa de capacitar profissionais de saúde no SUS que possam orientar e esgotar as possibilidades de tratamento para as pessoas com doenças raras. A oferta de tratamento no SUS é essencial e momento crucial no percurso das pessoas com doenças raras antes da decisão de judicialização. Conforme jurisprudência consolidada no STF, os demandantes devem comprovar que as alternativas terapêuticas disponíveis no SUS para o tratamento foram esgotadas ou são inefetivas para o seu tratamento.

As tensões entre os direitos constitucionalmente garantidos, à capacidade de assistência do sistema de saúde e as condições materiais do Estado fazem com que os gestores e os juízes, e os defensores públicos na assistência jurídica aos demandantes na via administrativa no momento pré-judicialização e mesmo na via judicial tornam-se atores sociais importantes no delineamento de como a assistência à saúde de portadores de doenças raras se desenvolve no Brasil.

4.4 MOMENTO ANTERIOR À JUDICIALIZAÇÃO: LIMITES E POSSIBILIDADES DA GESTÃO NA RESOLUÇÃO DE CONFLITOS RELACIONADOS AO ACESSO À SAÚDE NO SUS

No âmbito da gestão, é relevante observar de que forma uma demanda inicialmente administrativa eventualmente se torna uma ação judicial. Pensando no contexto brasileiro em que existem políticas públicas, linhas de cuidado e diretrizes destinadas às pessoas com doenças raras, quais os desafios ainda enfrentados no acesso à saúde no SUS? As possibilidades do SUS estão sendo exploradas, esgotadas e garantidas antes de recorrer à via judicial?

Pensando em reduzir o impacto da judicialização nas despesas nacionais saúde, foram desenvolvidas diversas propostas para estimular resoluções extrajudiciais através da mediação e conciliação tais como a Câmara de Resolução de Litígios em Saúde no Rio de Janeiro ou o SUS Mediado no Rio Grande do Norte. No Espírito Santo, por exemplo, com SUS+JUSTIÇA

registrou-se uma redução em R\$ 31,6 milhões nos gastos com despesas judiciais em 2021 que, segundo a gerente de Demandas Judiciais em Saúde Brunella Cintra Sodré, representou a “eficiência do SUS e como a rede própria consegue dar mais respostas aos usuários, com melhor assistência” (Espírito Santo, 2022).

A abordagem conciliadora e mediadora antes da judicialização da demanda cumpre um papel importante nesses casos. Mas lidar com doenças raras traz à tona muitas particularidades e necessidades específicas nem sempre atendidas pelo SUS, ou ainda, alternativas consideradas inadequadas ou insuficientes pelos médicos assistentes para o tratamento.

Conforme comentado previamente, ainda que a instituição de uma política destinada a pessoas com doenças raras tenha sido um grande passo em relação à proteção da saúde desse grupo social, a diversidade de suas manifestações somada às dificuldades econômicas, éticas, sanitárias e etc. envolvidas no acesso fazem com que muitas vezes a efetivação do direito à saúde seja dificultada.

Em qualquer um dos cenários, é relevante compreender se a gestão em saúde se articula de maneira estruturada e capacitada para lidar também nos casos que por algum motivo ultrapassem os limites do sistema ou da política. Segundo Aith *et al.* (2014, p. 26):

Por mais que o Estado organize-se para fornecer um atendimento universal e integral aos cidadãos, sempre haverá exceções aos protocolos e diretrizes clínicas e terapêuticas incorporados ao sistema pela CONITEC e outras instâncias decisórias. O grande desafio, portanto, que vai para além das doenças raras e dos medicamentos órfãos, é conseguir organizar um sistema que ao mesmo tempo dê conta dos casos mais prevalentes na sociedade e dos casos raros ou que não se encaixam nos protocolos públicos, respeitando os princípios da universalidade e da integralidade.

Pensando nos diálogos entre a gestão e o judiciário, Espiñosa (2013, p. 12) destaca:

Compreendendo o gestor público o modo de reação populacional às políticas, melhor poderá agregá-los à formulação e ao fortalecimento do sistema. Compreendendo o Judiciário a escolha do gestor público, poderá evitar interferir na política, ou, interferindo, fazê-lo de modo menos agressivo possível. Toda a análise de uma situação é autorreferenciada, seja ela realizada por um pesquisador, um gestor, um cidadão ou um juiz. Todo ser humano é dotado de uma carga valorativa, uma experiência e algum interesse. A visão de um gestor sempre será mais coletiva, pouco valorando um caso em específico. A visão de um cidadão, especialmente no caso da saúde, será individualizada. Já ao juiz caberá encontrar uma solução que se mostre justa às partes. De qualquer modo, todos os atores podem influenciar no desenvolvimento do plano, cabendo aos demais tentar esclarecer seu ponto de vista do cenário para buscar o melhor êxito possível na implementação e execução da política pública.

A pesquisa de Batista *et al.* (2023), através da aplicação de questionários a 31 gestores de saúde municipais da Paraíba, apresentou algumas hipóteses, suposições e percepções dos mesmos acerca da associação entre as atividades da gestão em saúde e o fenômeno da judicialização. O estudo, coletando experiências e perspectivas pautadas na realidade, reafirmou a necessidade sentida de investimento e aprimoramento de ações nos espaços de gestão do SUS, pensando nesses como locais de aprendizado constante para reinventar e potencializar suas possibilidades para lidar com a judicialização de forma articulada e integrada.

Percebe-se, dessa maneira, a importância dos diálogos entre o Poder Executivo e o Poder Judiciário na garantia do acesso à saúde, de forma a possibilitar a exploração das potencialidades do SUS no cumprimento dos deveres do Estado e a implementação de uma abordagem mais abrangente e multidisciplinar para enfrentar esse fenômeno. Na análise do papel dos gestores em relação às demandas judiciais de saúde, vale avaliar se as políticas já instituídas no SUS estão sendo adequadamente implementadas de maneira coesa, bem como, avaliar as limitações da também vem explorando as possibilidades do Sistema para lidar com as lacunas das políticas públicas.

Conforme Vasconcelos (2021), o caso da judicialização da saúde no Brasil ilustra como juízes/as, advogados/as públicos/as e promotores/as se envolvem cada vez mais ativamente nas políticas de saúde, envolvendo esse que resulta na reorganização da gestão pública no cumprimento das ordens judiciais a serem cumpridas e acompanhadas pela gestão do Sistema Único de Saúde (SUS). Nesse sentido, a judicialização da saúde constitui-se um “problema social” que merece respostas organizadas e coordenação interinstitucional.

4.5 MOMENTO DA JUDICIALIZAÇÃO: DESAFIOS DO MAGISTRADO E IMPACTO DA VIA JUDICIAL NA GARANTIA DO DIREITO À SAÚDE DOS CIDADÃOS

Quando uma demanda de saúde se transforma em judicial, confere-se ao Poder Judiciário o protagonismo na efetivação do direito à saúde, sendo interessante avaliar de que forma se desenvolve o posicionamento dos juízes frente aos argumentos apresentados nas demandas, assim como a maneira em que o fenômeno impacta o acesso aos medicamentos pleiteados tendo em vista as diferentes atribuições dos gestores e do Magistrado.

As atribuições da gestão e das políticas públicas são orientadas de forma majoritariamente coletiva orientada pelas diretrizes legais estabelecidas na Lei Federal n.º 8.080/90 no art. 7 que regulamenta o art. 198 da Constituição Federal Brasileira. Destaca-se

aqui, do art. 7, os itens mais relevantes na discussão do estudo:

- I - universalidade de acesso aos serviços de saúde em todos os níveis de assistência;
- II - integralidade de assistência, entendida como conjunto articulado e contínuo das ações e serviços preventivos e curativos, individuais e coletivos, exigidos para cada caso em todos os níveis de complexidade do sistema; [...]
- IV- igualdade da assistência à saúde, sem preconceitos ou privilégios de qualquer espécie;
- VII - utilização da epidemiologia para o estabelecimento de prioridades, a alocação de recursos e a orientação programática;
- VIII - participação da comunidade; [...] XI - conjugação dos recursos financeiros, tecnológicos, materiais e humanos da União, dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios na prestação de serviços de assistência à saúde da população;
- XII - capacidade de resolução dos serviços em todos os níveis de assistência (Brasil, 1990).

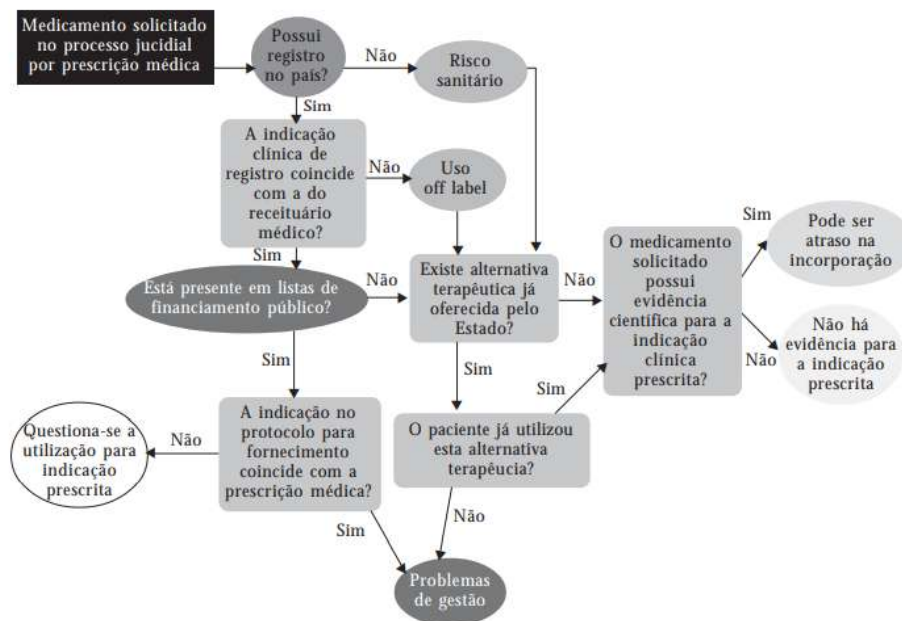
Já a decisão do Magistrado é construída com fundamento nessas mesmas premissas normativas abstratas, sendo que o maior desafio se situa na aplicação dessas normas no caso concreto, buscando-se a realização da justiça no acesso a bens e serviços de saúde pública. O processo judicial deve ser conduzido com base na lei processual civil brasileira, Lei Federal nº 13.105/2015, e a partir das particularidades fáticas do conflito que motivou a ação judicial. As etapas processuais exigem considerar as razões de todos os interessados e envolvidos no processo, analisar os argumentos clínicos, sanitários e jurídicos envolvidos e etc., exigindo uma análise simultânea dos diversos fatores envolvidos.

Conforme essa legislação, o ponto de partida para as ações judiciais é a petição inicial do demandante, que deve indicar (Brasil, 2015, Art. 319):

- I - o juízo a que é dirigida;
- II - os nomes, os prenomes, o estado civil, a existência de união estável, a profissão, o número de inscrição no Cadastro de Pessoas Físicas ou no Cadastro Nacional da Pessoa Jurídica, o endereço eletrônico, o domicílio e a residência do autor e do réu;
- III - o fato e os fundamentos jurídicos do pedido;
- IV - o pedido com as suas especificações;
- V - o valor da causa;
- VI - as provas com que o autor pretende demonstrar a verdade dos fatos alegados;
- VII - a opção do autor pela realização ou não de audiência de conciliação ou de mediação.

Frente às informações apresentadas, no caso específico de demandas para o fornecimento de medicamento, o estudo de Pepe *et al.* (2010), propõe a adoção de um fluxo para análise e tomada de decisão sobre o fornecimento dos medicamentos pleiteados por via judicial que considere, entre outros fatores, as melhores evidências disponíveis possíveis sobre sua eficácia e segurança, assim como sua indicação terapêutica para o agravo do demandante (Figura 5).

Figura 5 - Proposta de fluxo para a análise da demanda judicial para o fornecimento de medicamentos



Fonte: Pepe *et al.* (2010).

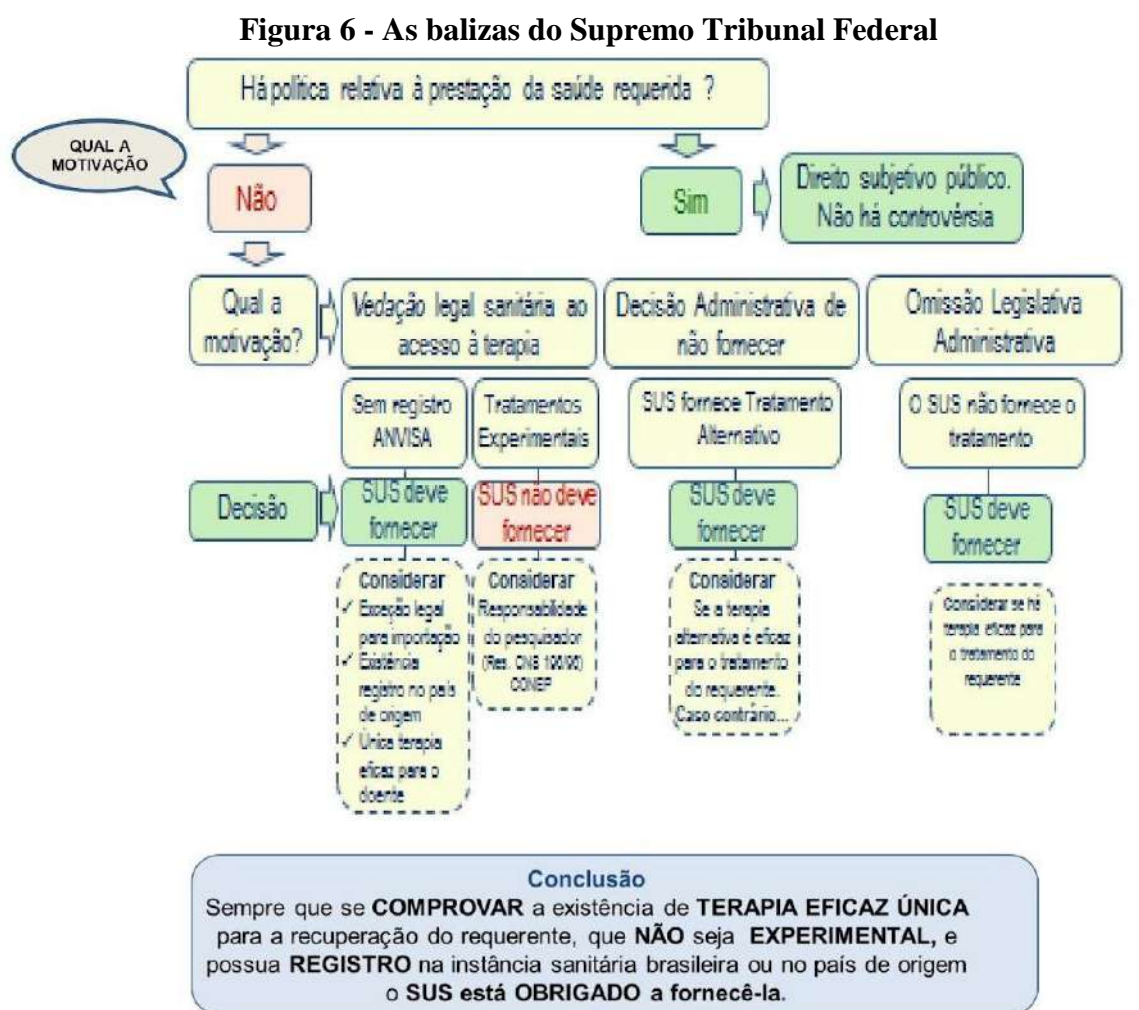
Segundo Ventura *et al.* (2010), entende-se no debate jurídico atual três posições em relação à eficácia do direito à saúde em relação às possibilidades de atuação do Judiciário, sendo elas:

1. Compreensão de que a eficácia desse direito deve ser restrita aos serviços e insumos disponíveis do SUS, determinados pelo gestor público.
2. Entendimento de que o direito à saúde implica garantia do direito à vida e integridade física do indivíduo, devendo o Judiciário considerar a autoridade absoluta do médico que assiste ao autor da ação judicial, obrigando o SUS a fornecer o tratamento indicado.
3. Defesa de que a eficácia do direito à saúde necessita ser a mais ampla possível, devendo o Judiciário – na análise do caso concreto – ponderar direitos, bens e interesses em jogo, para fixar o conteúdo da prestação devida pelo Estado.

Nesse contexto, a tese defendida é de que a terceira posição seria a mais adequada à “sinergia entre direito e saúde”, cabendo ao juiz considerar os diferentes fatores que compõem cada demanda e verificar possíveis alternativas terapêuticas ofertadas pelo SUS, a existência de respaldo científico na solicitação e afins, centralizando como objetivo a garantia do bem estar do demandante. As dimensões políticas, éticas, técnico-científicas, e socioeconômicas da

judicialização da saúde revelam a grande responsabilidade do Magistrado brasileiro, que deve respaldar suas decisões não só em questões objetivas sanitárias e clínicas fundamentada nos deveres legais de proteção e garantia de acesso igualitário de forma ponderada.

As balizas sugeridas pelo STF em seus julgamentos evidenciam e recomendam a adoção dos elementos ponderativos a serem adotados pelos magistrados e que são expressos na Figura 6.



Fonte: Ventura (2012).

O ponto de partida para avaliação de demandas judiciais de saúde recomendada pelo STF refere-se à existência ou não da prestação de saúde solicitada e imprescindibilidade do tratamento reclamado para a recuperação da saúde do autor. Nas três hipóteses apontadas no fluxo, é necessário parecer técnico-científico e/ou perícia judicial que comprove que o tratamento reclamado pode trazer benefícios para o autor.

Os dilemas que envolvem as demandas judiciais de saúde e a relevância dessa matéria

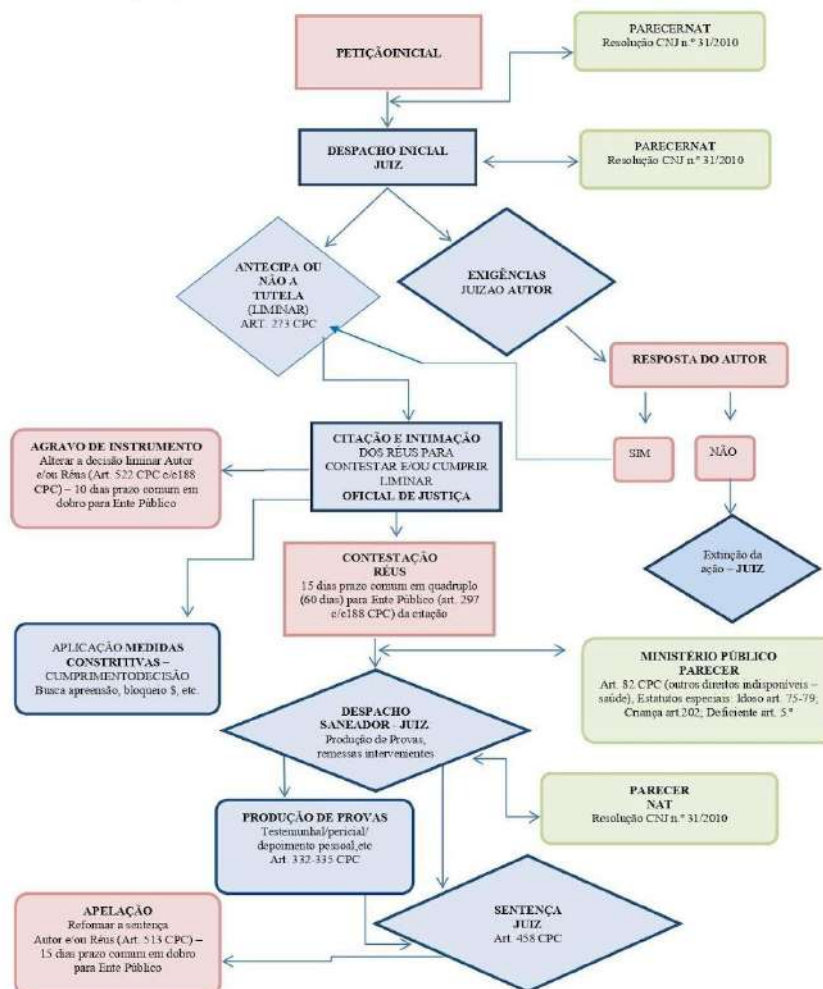
frente ao número crescente de judicializações no país foram discutidos na Audiência Pública nº 04 de 2010 realizada pelo Supremo Tribunal Federal na qual ficou constatada a carência de informações clínicas e sanitárias prestadas aos Magistrados a despeito dos problemas enfrentados pelos autores das demandas (CNJ, 2010).

Desde então, foram expedidas diversas Resoluções pelo Conselho Nacional de Justiça (CNJ) para estimular e organizar a criação local de instâncias de apoio técnico científico aos magistrados nas ações de saúde, até a instituição dos Núcleos de Apoio Técnico ao Judiciário (NATJUS), política judiciária estabelecida pelo Conselho Nacional de Justiça responsável por elaborar notas técnicas baseadas em evidências científicas de eficácia, acurácia, efetividade e segurança para auxiliar os tribunais (Resolução CNJ nº 388/2021).

Integrados por profissionais de saúde, o NATJUS pode contribuir assessorando tecnicamente os magistrados nas demandas judiciais, produzindo pareceres técnico-científicos individualizados, sobre o caso específico do processo, ou sobre o tratamento solicitado. O parecer apresenta de modo sumarizado e baseado nas evidências científicas disponíveis os potenciais efeitos (benefícios e riscos) de uma tecnologia para uma condição clínica, ou por meio das notas técnicas, produzidas sob demanda para casos específicos apresentando os potenciais efeitos de uma tecnologia para uma condição de saúde vivenciada por um indivíduo/demandante (CNJ, 2019).

O esquema da Figura 7 demonstra o fluxo de um processo judicial que busca conhecer a demanda, com a participação dos interessados (partes na ação judicial) produção de provas para, só então, deliberar sobre o direito no caso concreto.

Figura 7 - Fluxo dos Principais Atos Processuais dos Processos Judiciais individuais de assistência à saúde



Fonte: Ventura (2012).

Na petição inicial o autor/demandante apresenta os documentos relacionados com o diagnóstico e tratamento da doença em questão, seus pedidos e as razões, como a impossibilidade ou negativa de acesso no SUS, sua necessidade de saúde comprovadas, e a solicitação para que o juiz antecipe sua decisão em face de urgência (Enunciados N° 3 e N° 12 do CNJ/2019). Ao receber a petição inicial o Juiz poderá encaminhar ao Núcleo de Assistência Técnica (NAT) para análise técnica científica do caso, solicitar esclarecimentos ou outros documentos complementares ou decidir sobre o pedido liminar (antecipação de tutela) sem esses subsídios e antes de ouvir o Réu, no caso do estudo, a gestão federal da saúde (União Federal).

Em seguida, o juiz deve comunicar aos Réus para ingressarem no processo judicial e manifestarem-se sobre o pedido. A parte Ré além de contestar pode impugnar a decisão proferida através da interposição de recurso contra a decisão liminar a partir de agravo de

instrumento. Da mesma forma, o autor, se não obter a concessão da antecipação de tutela pode também recorrer por meio de agravo para buscar a reforma de decisão do juiz na instância colegiada superior (Brasil, 2015, CPC, Art. 1.015).

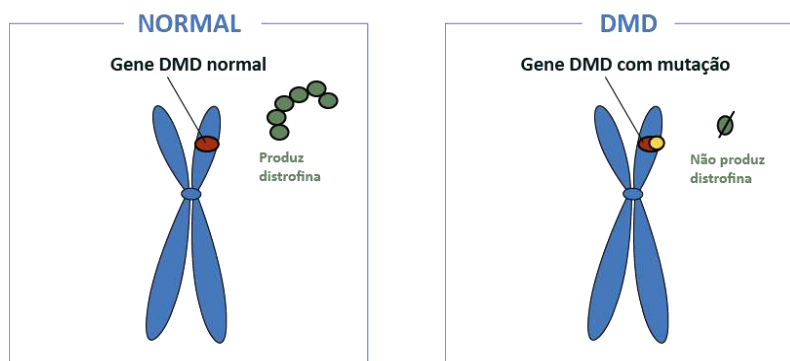
O processo segue para a produção de provas em que o juiz pode solicitar laudo médico atualizado ou realização de perícia médica, por exemplo, a fim de conhecer o quadro dos autores até que seja expedida a sentença, pronunciamento em que o juiz encerra a fase de conhecimento do procedimento comum, ou seja, encerra o processo na 1ª instância, analisando ou não o mérito (Brasil, 2015, CPC, Art. 203). A partir dela, as partes também podem interpor recurso chamado de Apelação (Brasil, 2015, CPC, Art. 1009), outro instrumento processual para impugnação ou revisão de decisões judiciais em que novo julgamento ocorre através de órgão colegiado chamado Acórdão (Brasil, 2015, Art. 204).

4.6 DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE (DMD): PERFIL EPIDEMIOLÓGICO, CARACTERÍSTICAS CLÍNICAS E ALTERNATIVAS DE TRATAMENTO

A Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) é uma doença rara do tipo neuromuscular genética que apresenta como principal manifestação clínica a fraqueza muscular progressiva causada pela falta de distrofina, proteína presente na membrana celular dos músculos esqueléticos que garante a estabilidade da fibra muscular e transmissão de força de contração para todo o músculo. A doença impacta tanto os movimentos voluntários como os involuntários, afetando em casos mais avançados a musculatura cardíaca e o sistema nervoso.

A DMD, por se relacionar a um defeito em um gene localizado no cromossomo X (Figura 8) geralmente acomete indivíduos do sexo masculino, visto que meninas podem carregar a mutação genética, mas sem apresentação de sintomas. Estima-se que em cerca de 2/3 dos casos de DMD há histórico familiar, ou seja, a mutação no gene é herdada da mãe portadora que possui 50% de chance de transmitir o gene a seus descendentes diretos. Ainda assim, em 30% dos casos não há histórico familiar, fazendo com que a criança apresente a alteração genética de forma espontânea (Movimento Duchenne, c2020a).

Figura 8 - A diferença entre um gene normal e um gene com mutação

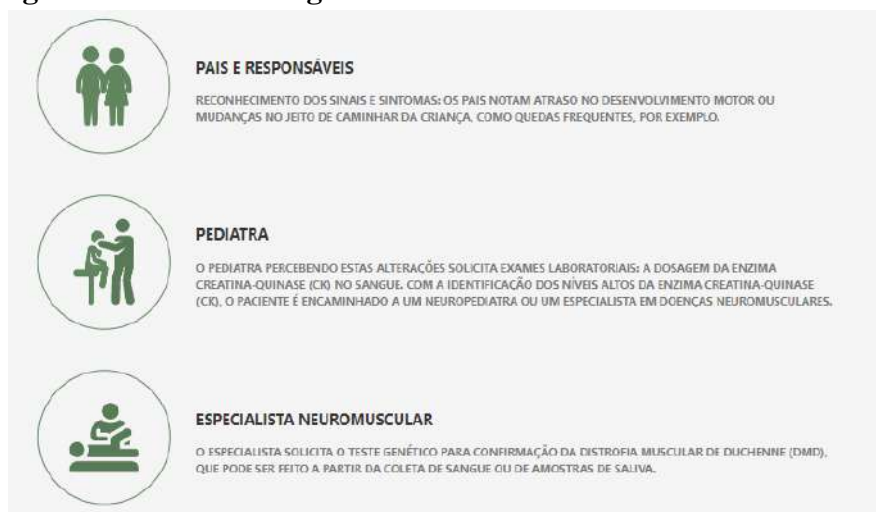


Fonte: Movimento Duchenne (c2020a).

De acordo com o “Monitoramento do Horizonte Tecnológico: Medicamentos para tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD)” elaborado em abril de 2022 pela CONITEC/MS, a prevalência da distrofia muscular de Duchenne é de aproximadamente 1 caso a cada 3.800–6.300 nascidos vivos do sexo masculino, o que faz dessa a distrofia muscular mais comum em crianças. No Brasil, a estimativa é de aproximadamente 700 novos casos por ano com primeiras manifestações aos 4 anos de idade e progressão rápida sendo comum a necessidade de cadeira de rodas em torno dos 10 anos de idade (CONITEC, 2022).

De acordo com o Araújo *et al.* (2017), estima-se que o tempo entre o início dos sintomas e a confirmação do diagnóstico da DMD seja em média de 2,5 a 3 anos, sendo esse processo formado por etapas e atores apresentados na Figura 9:

Figura 9 - Fluxo de diagnóstico da distrofia muscular de Duchenne



Fonte: Movimento Duchenne (c2020b).

O enfraquecimento muscular progressivo (Figura 10) impacta diretamente nas condições de vida de pessoas com DMD por implicar em dificuldades motoras para atividades cotidianas como andar, correr, se levantar, subir e descer escadas e em casos mais avançados, para manter a frequência cardíaca e respirar (Nardini, 2021). A Distrofia Muscular de Duchenne, assim como as demais distrofias musculares, se apresenta através de uma progressão constante da fraqueza muscular, gerando limitações que impactam na autonomia, socialização, qualidade de vida e na inclusão social.



Fonte: Movimento Duchenne (c2020a).

Por não apresentar cura, o tratamento e as intervenções da DMD objetivam atrasar o desenvolvimento da doença, controlar os sintomas e evitar o surgimento de maiores complicações. Por afetar múltiplos sistemas tais como músculo esquelético, respiratório e cardíaco, para além dos impactos psicoemocionais característicos de diversas doenças raras, a pessoa com DMD normalmente demanda de um tratamento interdisciplinar, que envolve uma equipe multiprofissional para acompanhamento médico, fisioterápico, psicológico, nutricional, entre outros.

A terapia padrão em relação a medicamentos paliativos, de acordo com o documento da CONITEC, geralmente é baseada em corticosteróides que retardam a perda da força e função muscular. Conforme recomendação do Consenso Brasileiro sobre Distrofia Muscular de Duchenne, a corticoterapia deve ser iniciada preferencialmente a partir dos 2 anos de idade, sempre discutindo as particularidades de cada caso e os possíveis efeitos adversos.

Na CONITEC, até a data de acesso para o presente trabalho (janeiro/2024), ainda não há Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para Distrofia Muscular de Duchenne, contudo, existem medicamentos e procedimentos incluídos em listas oficiais do

Sistema que abrangem as necessidades suscitadas pela doença, tais como a própria corticoterapia, fisioterapia motora e respiratória, anticoagulantes, entre outros. Para além do tratamento sintomático com intervenções que podem envolver até transplante cardíaco, outras abordagens para o tratamento específico da DMD também vêm sendo exploradas e estudadas nos últimos anos, como é o caso dos medicamentos Atalureno (Translarna®) e Eteplirsen (Exondys®).

O Atalureno é o princípio ativo do Translarna®, medicamento órfão desenvolvido pela PTC Therapeutics, empresa americana de biotecnologia. Segundo documento da CONITEC, é um medicamento de uso oral que age na leitura de códons de terminação prematuros introduzidos por mutações sem sentido (nonsense) registradas em 10-15% dos pacientes com DMD, permitindo a produção de maiores quantidades de distrofina funcional. O medicamento é registrado em aprovação condicional na European Medicines Agency (EMA), e em 15 de setembro de 2023, recomendou a não renovação do registro após a reavaliação das evidências de benefícios e segurança do medicamento. No mesmo ano, a National Institute for Clinical Excellence (NICE) do Reino Unido (NICE, 2023) incluiu o medicamento especificamente designado para tratamento da DMD aprovado para prescrição de rotina no sistema de saúde inglês. No Brasil, o medicamento não se encontra incorporado no Sistema Único de Saúde, mas foi registrado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em abril de 2019 (Registro: 15770000), sendo seu uso aprovado para pacientes pediátricos com idade a partir de 5 anos com DMD resultante de uma mutação nonsense no gene da distrofina. Em 13 de outubro de 2021 a Anvisa aprovou a ampliação de seu uso para crianças a partir dos 2 anos (ANVISA, 2021).

Já o Eteplirsen, princípio ativo do medicamento comercial Exondys 51®, foi desenvolvido pelo laboratório estadunidense Sarepta Therapeutics para pacientes que têm uma mutação genética confirmada no gene da distrofina que pode ser tratada ignorando o exon 51. O princípio é um oligonucleotídeo antisense da subclasse fosforodiamidato morfolino oligômero que atua através da indução do salto desse exon em variantes de genes defeituosos, se ligando seletivamente ao exon 51 do pré-mRNA da distrofina e o excluindo durante o processamento do RNA mensageiro. Segundo Horizonte de Monitoramento Clínico da CONITEC, aproximadamente 13% dos pacientes com DMD são elegíveis para o tratamento com esse medicamento. Diferentemente do Translarna, o Eteplirsen obteve em 19 de setembro de 2016 aprovação da Food and Drug Administration (FDA), agência de vigilância dos Estados Unidos, mas não é incorporado pelo NICE e apresentou parecer negativo da EMA para seu registro na União Europeia em 2018. Ademais, o medicamento

órfão não possui registro na Anvisa e não está incorporado no SUS (CONITEC, 2022).

Ambos os medicamentos, além de representarem importantes marcos no avanço científico na busca de tratamentos para doenças raras (CONITEC, 2022), destacam também os desafios para garantia de seu acesso através das múltiplas e controvertidas compreensões dos especialistas acerca das evidências científicas até então produzidas e o balanceamento dos riscos e benefícios, que envolvem aspectos relativos à segurança, eficácia, efetividade custo-efetividade e os limiares aceitáveis para sua incorporação nos sistemas de saúde e para o registro.

Para além das dificuldades nos processos de vivência e diagnóstico dos portadores de doenças raras, é perceptível a forma em que o acesso aos medicamentos órfãos envolve diversas variáveis enfrentadas tanto no Sistema de Saúde para seu registro e incorporação, quanto no Judiciário, enfrentado pelo Magistrado, na efetivação do direito à saúde considerando riscos e benefícios na perspectiva da segurança sanitária, conforme destacado pelo Min. Gilmar Mendes no conjunto de decisões e manifestações no âmbito da audiência pública no ano de 2019. Nessa estrutura, cabe ao juiz apreciar possíveis danos à pessoa ao determinar o fornecimento de determinado medicamento ou outro tratamento. Nesse sentido, o laudo médico acostado no processo judicial, os pareceres do NAT e, restando ainda dúvidas, as perícias judiciais produzidas no curso do processo, são documentos probatórios necessários para a decisão judicial e, conforme apresentado na Figura 7 (Fluxo dos Principais Atos Processuais dos Processos Judiciais individuais de assistência à saúde), se não apresentados podem resultar em exigências judiciais. Além das premissas fáticas probatórias da necessidade do reivindicante, o juiz deve observar as premissas normativas legais apresentadas na Figura 6 (As balizas do Supremo Tribunal Federal).

5 MÉTODOS E PLANO DE ANÁLISE

Conforme apresentado, as demandas judiciais de medicamentos para tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne envolvem múltiplos fatores éticos, sanitários e políticos apresentados tanto na perspectiva do demandante, seu itinerário terapêutico, suas buscas pelo acesso à saúde e sua trajetória até a via judicial, quanto na perspectiva dos juízes a partir da tomada de decisão acerca do fornecimento de medicamentos não incorporados no SUS, com registro condicional (Ataluren) ou sem registro (Eteplirsen) na Anvisa e com diversos dissensos entre os órgãos internacionais acerca de sua segurança.

As ações judiciais de demandantes com DMD para os medicamentos órfãos supracitados foi analisada pela pesquisa “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União – ENSP-Fiocruz/DGJUD-MS” desenvolvida pela Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca (ENSP/Fiocruz) e Departamento de Gestão das Demandas em Judicialização na Saúde, da Secretaria Executiva do Ministério da Saúde (DJUD/SE/MS). A pesquisa, coordenada pelas Dras Vera Lúcia Edais Pepe, Miriam Ventura da Silva e Thais Jeronimo Vidal, apresentou como um de seus componentes a análise de banco de dados de demandas judiciais de medicamentos de alto custo em desfavor da União.

Os processos analisados pela pesquisa foram disponibilizados através de uma lista fornecida pela DGJUD com suas numerações e segmentados de acordo com as doenças raras, com coleta dos dados da pesquisa realizada entre março e julho de 2023. As informações foram extraídas a partir dos processos eletrônicos nas bases de acesso público dos Tribunais Regionais Federais, que disponibilizam os processos através de três principais sistemas: o Processo Judicial eletrônico (PJe), o E-proc e o CRETA.

Após verificação dos processos e seleção daqueles que correspondiam aos critérios determinados para o estudo (excluídas duplicatas, processos em segredo de justiça e processos incompletos), a pesquisa teve como universo de análise 912 processos judiciais entre o período de 2008 a 2022 com solicitação de 20 medicamentos utilizados para 15 doenças raras.

A análise foi realizada por meio de um instrumento construído pela equipe (Anexo A) de 198 variáveis- 113 questões fechadas e 74 abertas- que segmentou a observação em 4 principais dimensões de forma a compreender características sociodemográficas, processuais, médico-sanitárias e político-administrativas em relação às demandas.

As informações foram seccionadas em 11 grupos, sendo eles:

1. Características dos demandantes ;
2. Características processuais;
3. Características da petição inicial (argumentos e pedidos);
4. Antecipação de tutela/liminar;
5. Atuação do NAT/NAT-JUS;
6. Atuação DGJUD/MS;
7. Fornecimento do medicamento;
8. Sentença e acórdão;
9. Documentos médicos do pedido inicial;
10. Características médico sanitárias;
11. Análise complementar do sistema regulatório.

Ainda, em consonância com as diretrizes e normas regulamentadoras de pesquisas envolvendo seres humanos estabelecidas pela Resolução nº 466, de 12 de dezembro de 2012, a pesquisa que gerou o banco de dados foi apreciada pelo Comitê de Ética em Pesquisa (CEP) da Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca (ENSP/ FIOCRUZ) sob o Parecer 5.733.107 de 03 de novembro de 2022. A partir da identificação do potencial do banco de dados constituído no âmbito da pesquisa principal, definiu-se o objeto deste TCC e solicitou-se autorização para o uso de dados na construção do presente trabalho que se encontra em documento anexo (Anexo B).

Portanto, a fonte de dados para este trabalho é o banco de dados e os Relatórios de análise construídos na pesquisa principal em que a autora pôde participar como assistente de pesquisa. Com amostra pré-selecionada do banco de dados, realizou-se a mensuração de frequência estatística de variáveis relacionadas ao perfil das ações, dos demandantes, das petições iniciais e das decisões. Para DMD, foram acessados inicialmente 61 processos que solicitaram os medicamentos Translarna-Atalurenó e Exondys-Eteplirsén, dos quais 1 estava em segredo de justiça e 1 não se encaixava nos critérios da pesquisa principal, totalizando 59 processos distribuídos entre 2015 a 2022 analisados.

Primeiramente, de maneira a delinear o perfil das demandas judiciais de medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne no Brasil, foram apresentadas de maneira resumida as análises das principais variáveis de interesse desse estudo a partir do Relatório Parcial de Outubro de 2023 da pesquisa principal. Assim como o instrumento de análise supracitado, o documento se segmenta entre 4 principais dimensões de análise relacionadas às características sociodemográficas, médico-sanitárias, processuais e político-

administrativas, apresentando as variáveis consideradas mais relevantes para cada uma delas.

A partir da leitura e apresentação do material, se estruturou a pesquisa do TCC com a organização dos dados dos 59 processos de DMD em uma planilha Excel, com as 198 variáveis constituintes do instrumento da pesquisa principal. A partir disso, a próxima etapa foi selecionar as variáveis de interesse do instrumento que respondessem às indagações desse estudo, e que pudessem contribuir em novas dimensões de maneira a apontar tendências entre as variáveis selecionadas.

Na primeira dimensão de análise de informações iniciais decisivas relativas a aspectos fáticos do percurso anterior no sistema de saúde que motivaram a ida ao Judiciário e/ou que podem ser relacionadas à decisão liminar, foram selecionadas as variáveis abaixo relacionadas, de dimensões diversas do instrumento principal (Anexo A):

0.2.0 Data da distribuição da ação

1.7.0 Data de nascimento

3.3.0 Tentativa de obter o medicamento no SUS antes da ação judicial

3.4.0 Afirmações do autor no pedido inicial para fornecimento de medicamento

4.4.0 Data da decisão liminar (tutela antecipada)

9.6.0 O relatório médico faz referência a tratamentos anteriores (9.6.1 ---- Se sim, qual?)

9.7.0 O relatório médico faz referência ao tempo de evolução da doença? (9.7.1 ---- Se sim, quanto tempo?)

As variáveis selecionadas foram analisadas em relação ao desfecho favorável ou desfavorável do pedido na primeira decisão do juiz, buscando inferir se elas podem repercutir de forma decisiva no curso do tratamento das pessoas com DMD. São elas:

- Tempo entre distribuição da ação e decisão liminar (em dias)
- Faixa etária do demandante segundo decisão liminar
- Referência ao tempo de evolução da doença segundo decisão liminar
- Tentativa de obter o medicamento no SUS antes da ação judicial segundo decisão liminar
- Referência a tratamentos anteriores segundo decisão liminar
- Afirmações do autor no pedido inicial para fornecimento de medicamento

Na outra dimensão buscou-se descrever as respostas e decisões judiciais, abrangendo suas diferentes instâncias, exigências judiciais e técnico-científicas entre outros fatores

determinantes no percurso na via judicial, contemplando as variáveis a seguir:

4.3.0 Concessão da liminar ou antecipação de tutela

4.5.0 Exigências médico-sanitárias ao autor para a decisão de antecipação de tutela ou (Liminar)?

4.4.0 Data da decisão liminar (tutela antecipada)

4.12.0 Agravos da decisão liminar?

4.14.0 Decisão judicial na segunda instância – Agravo

5.1.0 Juiz solicita parecer do Núcleo de Assistência Técnica (NAT/NAT-JUS)?

8.4.0 Data sentença (primeira instância)

8.5.0 Exigências judiciais ao Autor entre liminar e sentença? (8.5.1 ---- Se sim, quais?)

8.6.0 Decisão da Sentença

8.10.0 Recurso da Sentença?

8.11.0 Acórdão sobre a Apelação (Decisão judicial de segunda instância)

A partir delas, buscou-se acompanhar a trajetória de decisões enfrentadas pelos demandantes dos medicamentos nas decisões liminares, decisões de segunda instância (em caso de interposição de agravo), sentenças e acórdãos (em caso de interposição de apelação), analisando tendências ou padrões de concordância ou discordância em diferentes instâncias, aproveitamento dos órgãos para subsidiar as decisões e impacto desses processos no acesso às tecnologias pleiteadas. As relações a serem exploradas seguem relacionadas abaixo:

- Exigências médico-sanitárias ao autor segundo decisão liminar
- Solicitação de parecer NATJUS no despacho inicial segundo decisão liminar
- Reforma da decisão liminar segundo interposição de agravo
- Reforma da decisão liminar segundo decisão liminar
- Tempo entre decisão liminar e sentença (em meses)
- Exigências judiciais ao Autor entre liminar e sentença ao autor segundo decisão da sentença
- Decisão da sentença segundo decisão liminar
- Decisão do acórdão segundo interposição de apelação

Com a base de dados filtrada, realizou-se a análise quantitativa, com o auxílio do software Microsoft Excel, aplicando-se a estatística descritiva de distribuição de frequência simples das variáveis-chaves. Conforme apresentado, os dados foram calculados a partir da relação entre algumas das variáveis descritas, explorando a análise conjunta de determinadas

informações.

O grupo de variáveis da primeira dimensão de análise, com “**3.3.0** Tentativa de obter o medicamento no SUS antes da ação” e “**9.6.0** O relatório médico faz referência a tratamentos anteriores”, por exemplo, foi analisado em relação às decisões liminares (**4.3.0** Concessão da liminar ou antecipação de tutela). Já na segunda dimensão de análise, variáveis como “**5.1.0** Juiz solicita parecer do Núcleo de Assistência Técnica (NAT/NAT-JUS)?” e “**4.5.0** Exigências médico-sanitárias ao autor para a decisão de antecipação de tutela ou (Liminar)?” foram analisadas em relação a decisão liminar, enquanto “**8.5.0** Exigências judiciais ao Autor entre liminar e sentença?” foi analisada em relação à decisão da sentença.

Ainda na análise do percurso judicial, buscou-se relacionar as decisões proferidas e os recursos interpostos, investigando os principais autores dos recursos e suas repercussões nas decisões dos juízes, relacionando “**4.12.0** Agravos da decisão liminar?” e “**4.14.0** Decisão judicial na segunda instância – Agravo”, por exemplo.

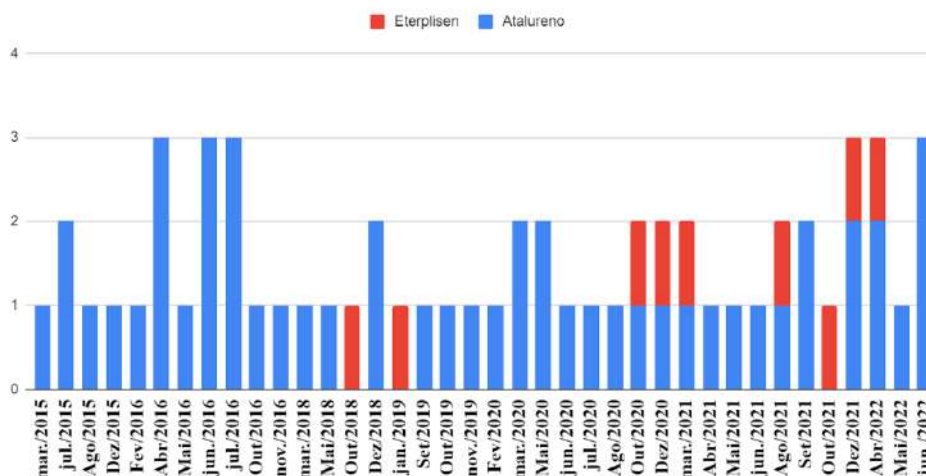
6 RESULTADOS E DISCUSSÃO

6.1 PRINCIPAIS CARACTERÍSTICAS SOCIODEMOGRÁFICAS, MÉDICO-SANITÁRIAS, PROCESSUAIS E POLÍTICO ADMINISTRATIVAS DAS DEMANDAS JUDICIAIS DE DMD

A partir do banco de dados constituído e dos Relatórios Parciais de Análise dos dados (outubro, 2023) é possível apontar as principais características dos processos judiciais propostos pelas pessoas com DMD, a seguir apresentados. O estudo principal identificou 59 processos entre 2015 e 2018 propostos contra a União Federal, sendo 50 das demandas judiciais pleiteando o medicamento Translarna-Atalureno (84,7%) e 9 solicitando Exondys-Eteplirsen (15,3%).

A data de distribuição dos processos que pleiteavam Atalureno ocorreu de 18 de março de 2015 a 20 de junho de 2022, enquanto para o Eteplirsen as solicitações judiciais decorreram de 10 de outubro de 2018 a 28 de abril de 2022. A figura 11 apresenta a distribuição mensal dessas ações judiciais impetradas contra a União Federal.

Figura 11 - Distribuição das ações judiciais por medicamentos utilizados para tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (Translarna® – Atalureno e Exondys® - Eterplirsen). Brasil 2015 a 2022



Fonte: Elaboração própria. Relatório parcial do projeto “ Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União- ENSP/Fiocruz”, outubro (2023).

Em relação às principais características sociodemográficas apresentadas no Relatório do projeto (Fiocruz/ENSP, outubro 2023), o total dos demandantes são do sexo masculino (100%) em ambos os medicamentos pleiteados, com predomínio da idade entre 7 e 11 anos

em demandas judiciais de Atalureno (42%) e Eteplirsen (55,6%).

Os dados relacionados ao domicílio do demandante demonstraram maior número de registros na cidade de São Paulo para o Atalureno (14%) e Belém para Eteplirsen (22,2%). Quanto ao estado de residência do autor da ação judicial, destaca-se predominância de origem no estado de São Paulo para Atalureno (34%) e Eteplirsen (33%), se destacando também no segundo medicamento o estado do Pará (22%). A predominância de registro nessas cidades pode ser característica da concentração dos tratamentos de alta complexidade e hospitais de referências nas Capitais, visto que desde 2015 o Hospital Universitário Bettina Ferro de Souza (HUBFS) realiza mapeamento dos casos existentes em Belém, referindo já naquele ano ser o segundo centro que mais identificou pacientes de DMD no Brasil depois de São Paulo (Brasil, 2016).

Com relação à prioridade de tramitação processual, prevista no art. 1.048 do CPC/2015, mais da metade dos autores não solicitaram este benefício (54,2%), correspondendo a 50% nas demandas por Atalureno e 78% para Eteplirsen. Já a gratuidade de justiça, instrumento instituído pelo artigo 5º, inciso LXXIV, da Constituição Federal de 1988 em prol do direito à representação jurídica gratuita em casos de hipossuficiência e impossibilidade de custear, foi significativa nos processos de solicitação do Atalureno (98%) e Eteplirsen (100%).

Outro aspecto importante para o presente estudo é a exploração das informações fornecidas pelos relatórios médicos acerca do perfil clínico e itinerário dos demandantes. No que tange aos documentos acostados pelos reivindicantes na petição inicial, observou-se que todos os processos apresentavam relatório médico (100%) e a maior parte apresentava prescrição médica (96,6%). A apresentação de exames complementares, por sua vez, apareceu de maneira predominante em 90% dos processos de Atalureno e 55,6% das demandas de Eteplirsen. Registrou-se pedido de outros serviços, exames ou insumos em apenas 8% das demandas de Atalureno e 11,1% das demandas de Eteplirsen, totalizando 5 processos que solicitaram além dos medicamentos pleiteados, toda e qualquer medicação ou tratamento que se fizesse necessário ao longo da ação.

Tendo como fonte de dados esses documentos, o relatório da pesquisa principal concluiu que a variável de tempo de evolução da doença foi referida em 40,7% dos processos analisados, representando 42% dos processos de Atalureno e 33,3% de Eteplirsen. A justificativa individualizada e expressa para a prescrição do medicamento pleiteado apareceu de maneira significativa com 88% dos processos de Atalureno e Eteplirsen. A referência a tratamentos anteriores, por sua vez, foi apresentada em 40% das ações de Atalureno e 22,2%

das demandas de Eteplirsen, com padrões similares acerca da tentativa de obter o medicamento no SUS, indicada em 46% das ações solicitando Atalureno e 11,1% das ações de Eteplirsen.

Outro conjunto de dados relevante para os objetivos deste TCC refere-se às ações dos gestores para reduzir a judicialização e resolver as demandas de maneira administrativa. A variável do banco de dados constituído sobre a menção a métodos extrajudiciais de resolução de conflitos apresentou ausência de tentativas em todos os casos para ambos os medicamentos (100%).

Analisadas as exigências formuladas pelos juízes para proferir a decisão liminar, verificou-se que houve solicitação de documentação médico-sanitária em 16% das ações de Atalureno e 22,2% das ações de Eteplirsen. A observação da solicitação de parecer do NATJUS, por sua vez, apresentou que o mesmo não foi acionado na maioria dos casos do medicamento Atalureno (76%), enquanto que para as ações pleiteando Eteplirsen foi solicitado parecer técnico em qualquer momento do processo em 66,7% das ações.

Avançando para análise das características relacionadas às decisões proferidas pelos juízes, nas decisões liminares notou-se predomínio da concessão integral para o fornecimento de Atalureno (60%), diferentemente das ações pleiteando Eteplirsen, em que a maioria não foi concedida (77,8%). Assim, após primeira decisão judicial, dentre os 50 demandantes de Atalureno, 30 possuíam concessão integral do pedido, 1 possuía concessão parcial e 19 haviam tido seus pedidos negados, enquanto que entre os 9 demandantes de Eteplirsen, 3 possuíam pedido deferido e 6 não (Figura 12). Destaca-se a concessão parcial diz respeito a um caso em que foi concedido o fornecimento do medicamento, mas não de forma contínua conforme pedido do autor.

Figura 12 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo decisão de antecipação de tutela de urgência - Brasil, 2015 a 2022

Decisão	Atalureno		Eterplisen	
	N	%	N	%
Concessão integral	30	60,0	2	22,2
Não concedido	19	38,0	7	77,8
Concessão parcial	1	2,0	0	0,0
Total	50	100,0	9	100,0

Fonte: Relatório parcial do projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz, outubro (2023).

As decisões judiciais podem ser objeto de recurso às instâncias colegiadas superiores do Judiciário visando a alteração da decisão do juiz (decisão singular). Observou-se que em 48 processos (81,3%) houve recurso da decisão de concessão da antecipação da tutela (ou liminar como conhecido) tanto por parte dos autores quanto dos réus, distribuídos conforme a Figura 13.

Figura 13 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo interposição de agravo - Brasil, 2015 a 2022

Agravos	Atalureno		Eterplisen	
	N	%	N	%
Sim. Réu.	25	50,0	2	22,2
Sim. Autor.	15	30,0	6	66,7
Não	10	20,0	1	11,1
Total	50	100,0	9	100,0

Fonte: Relatório parcial do projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz, outubro (2023).

Após interposição dos agravos, na decisão em 2ª instância são registradas 5 reformas parciais e 6 reformas totais para ações do Atalureno e 4 reformas totais para demandas de Eteplirsen, aspecto relevante no percurso terapêutico dos demandantes. Afinal, a recusa em primeira instância, pelo juiz singular, e a mudança da decisão favorável ou desfavorável do fornecimento do medicamento altera o rumo do tratamento do demandante e do próprio processo. A Figura 14 esclarece tal aspecto, que merece ser explorado em outro estudo de forma qualitativa, apontando as razões e a quem atinge as reformas das decisões singulares.

Figura 14 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo a decisão em 2ª instância - Brasil, 2015 a 2022*

Decisão da 2ª Instância	Atalureno		Eterplisen	
	N	%	N	%
Confirmação da decisão da primeira instância	17	34,0	2	22,2
Sem informação	12	24,0	2	22,2
Não se aplica	10	20,0	1	11,1
Reforma total da decisão da primeira instância.	6	12,0	4	44,4
Reforma parcial da decisão da primeira instância.	5	10,0	0	0,0
Total	50	100,0	9	100,0

Fonte: Relatório parcial do projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz, outubro (2023).

Em relação às exigências judiciais de novas comprovações para o julgamento, a análise dos dados apontou exigências adicionais em 50,8% dos processos analisados que se referiam a solicitação de perícias médicas e laudos médicos atualizados.

A sentença, decisão judicial que resolve a lide e termina o processo na primeira instância, foi julgada com mérito, ou seja, com pedido analisado e decisão a favor de uma das partes, em 70% das demandas de Atalureno (35 ações) e 33% das demandas de Eteplirsen (3 ações). O registro de 2 processos extintos, sendo um para cada medicamento solicitado, aponta que por alguma razão o pedido do autor não foi apreciado e a ação não dispôs de condições para ser concluída.

Na amostra analisada 25 processos demandando o Atalureno foram concedidas integralmente, 9 não concedidas e 1 concedida parcialmente. No momento da análise 15 ainda estavam sem sentença ou sem julgamento de mérito. Nos processos pleiteando Eteplirsen observam-se 2 concessões integrais, 3 pedidos não concedidos e 4 sem sentença ou sem julgamento do mérito (Figura 15).

Figura 15 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo o julgamento da sentença - Brasil, 2015 a 2022

Decisão da Sentença	Atalureno		Eteplirsen	
	N	%	N	%
Concessão integral	25	50,0	2	22,2
Não se aplica	15	30,0	4	44,4
Não concedido	9	18,0	3	33,3
Concessão parcial	1	2,0	0	0,0
Total	50	100,0	9	100,0

Fonte: Relatório parcial do projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz, outubro (2023).

Conforme apresentado no fluxo da Figura 7, após encerramento do processo na primeira instância pode haver interposição de recursos às instâncias colegiadas superiores em relação à sentença, denominada de acórdãos. O resultado da análise do conjunto de processos observou-se que foi interposto recurso às instâncias colegiadas dos Tribunais em 25 processos que reclamavam Atalureno e 3 de Eteplirsen, como apresentado na Figura 16.

Figura 16 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo decisão do Acórdão - Brasil, 2015 a 2022

Acórdão	Atalureno		Eterplisen	
	N	%	N	%
Não se Aplica	17	34,0	5	55,6
Confirmação da decisão de primeira instância	10	20,0	1	11,1
Sim. Reforma total	9	18,0	1	11,1
Não	8	16,0	1	11,1
Sim. Reforma parcial	6	12,0	1	11,1
Total	50	100,0	9	100,0

Fonte: Relatório parcial do projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz, outubro (2023).

Considerando as características político-administrativas das ações judiciais, observou-se a não incorporação dos dois medicamentos pleiteados no Sistema Único de Saúde, sendo que o Atalureno, registrado na Anvisa em 2019, apresentou 44% das demandas quando o medicamento ainda não possuía registro sanitário no Brasil e 8% delas foi para indicação de uso *off label*, ou seja, prescritos para condições não indicadas no registro ou na bula do medicamento (Figura 17).

Figura 17 - Distribuição das demandas judiciais dos medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo decisão do Acórdão - Brasil, 2015 a 2022

Variáveis	Atalureno*		Eterplisen*	
	N	%	N	%
Registro				
Sim	28	56,0	0	0,0
Não	22	44,0	9	100,0
Total	50	100,0	9	100,0
Uso Off Label				
Não	24	48,0	0	0,0
Sem registro	22	44,0	9	100,0
Sim	4	8,0	0	0,0
Total	50	100,0	9	100,0
Avaliação CONITEC				
Não	50	100,0	9	100,0
Total	50	100,0	9	100,0
Rename na data demanda				
Não	50	100,0	9	100,0
Total	50	100,0	9	100,0
Rename 2022				
Não	50	100,0	9	100,0
Total	50	100,0	9	100,0

Fonte: Relatório parcial do projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz, outubro (2023).

6.2 ASPECTOS RELACIONADOS AO PERCURSO NO SISTEMA DE SAÚDE E NA AÇÃO JUDICIAL EM BUSCA DO ACESSO AOS MEDICAMENTOS

Verificou-se que nos 59 processos analisados o tempo médio entre a distribuição do processo e a decisão liminar foi de 42 dias, com maior predominância de ações com tempo de espera de até 10 dias para Atalureno (42%) e Eteplirsen (44,4%). Ainda, chama atenção na análise de todos os processos da DMD que o segundo período com maior predominância de registros é o de mais de 50 dias (20,3%), indicando que dos 59 demandantes, 12 aguardaram quase dois meses ou mais pela primeira resposta do juiz acerca de sua solicitação (Tabela 1).

Tabela 1 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal, segundo tempo entre distribuição e decisão liminar (em dias). Brasil, 2015 a 2022

Variável	Atalureno		Eteplirsen		Total	
	N	%	N	%	N	%
<i>Tempo entre distribuição da ação e decisão liminar (em dias)</i>						
Até 10 dias	21	42	4	44,4	25	42,4
11-20 dias	6	12	2	22,2	8	13,6
21-30 dias	6	12	1	11,1	7	11,9
31-50 dias	4	8	1	11,1	5	8,5
Mais de 50 dias	11	22	1	11,1	12	20,3
Sem informação	2	4	0	-	2	3,4
Total	50	100	9	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Em relação aos demandantes, conforme previamente abordado, nos processos analisados observou-se um perfil de autores do sexo masculino (100%) com faixa etária predominante entre 7 e os 11 anos de idade (44,1%) para ambos os medicamentos. A relação entre as faixas etárias e decisões liminares demonstrou que nas decisões integralmente e parcialmente concedidas a faixa etária mais analisada foi também a mais prevalente entre as ações (50%) (7-11 anos), diferentemente das decisões desfavoráveis em que se destacou a faixa etária de 0 a 6 anos (46,2%) (Tabela 2).

Uma possível justificativa para maior proporção de indeferimento das liminares na

faixa de 0 a 6 anos pode ser o fato de que o medicamento Atalureno, solicitado em 84,7% dos processos analisados, até 2021 tinha registro condicional na Anvisa para pacientes com idade a partir de 5 anos, com ampliação para a partir dos 2 anos apenas em 2021. Esse fator pode ser associado a maiores tendências de negativa inicial para pacientes de 0 a 4 anos como cuidado preventivo do juiz frente à recomendação da ANVISA.

Tabela 2 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal segundo decisão liminar e faixa etária do demandante. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Faixa etária do demandante segundo decisão liminar</i>								
De 0 a 6 anos	6	18,8	0	-	12	46,2	18	30,5
De 7 a 11 anos	16	50,0	1	100	8	30,8	25	42,4
De 12 a 16 anos	7	21,9	0	-	2	7,7	9	15,3
De 17 a 22 anos	3	9,4	0	-	2	7,7	5	8,5
Acima de 22 anos	0	-	0	-	1	3,8	1	1,7
Sem informação	0	-	0	-	1	3,8	1	1,7
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

O pedido inicial, especificamente nas demandas em saúde, além de descrever as principais características do enfermo-reivindicante e apresentar de forma geral o pedido do autor, deve estar instruída com todos os documentos relacionados com o diagnóstico e tratamento do paciente, tais como: doença com CID, histórico médico, exames essenciais, medicamento ou tratamento prescrito, dosagem, contraindicação, princípio ativo, duração do tratamento, prévio uso dos programas de saúde suplementar, indicação de medicamentos genéricos, entre outros, bem como o registro da solicitação à operadora e/ou respectiva negativa (Enunciado CNJ N° 32. Redação dada na VI Jornada de Direito da Saúde - 15.06.2023).

No entanto, explorando em primeiro lugar a referência ao tempo de evolução da doença nos relatórios médicos apensados aos processos judiciais na Tabela 3, notou-se

predominância das ações judiciais que não referiam a informação (59,3%). Dentre as ações judiciais em que a informação foi apresentada (40,7%), notou-se breve predominância do tempo de evolução de 7 a 10 anos (84 a 20 meses) (10,2%), que faz relação direta com o encontrado na faixa etária do demandante apresentada pela Tabela 2.

Explorando sua relação com as decisões liminares, entre as favoráveis manteve-se maior proporção da faixa de 7 a 10 anos (12,5%), enquanto na observação das decisões desfavoráveis, o maior quantitativo de registros foram referentes à faixa de 1 a 2,5 anos (14 a 31 meses) (11,5%), o que também é coerente com a faixa etária mais prevalente nessas decisões de indeferimento.

Percebe-se, ainda, que a partir dos 31 meses, o aumento do tempo de evolução da doença referido indica maior propensão de decisão favorável, visto que a proporção de decisões de deferimento de acordo com as faixas de 48 a 76 meses, 84 a 120 meses e 159 a 228 meses é de 60%, 66% e 75%, respectivamente.

Tabela 3 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsén e atalurenó) contra a União Federal segundo decisão liminar e tempo de evolução da doença. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Referência ao tempo de evolução da doença segundo decisão liminar</i>								
5 a 12 meses	3	9,4	0	-	2	7,7	5	8,5
14 a 31 meses	1	3,1	0	-	3	11,5	4	6,8
48 a 76 meses	3	9,4	0	-	2	7,7	5	8,5
84 a 120 meses	4	12,5	0	-	2	7,7	6	10,2
159 a 228 meses	3	9,4	0	-	1	3,8	4	6,8
Não faz referência	18	56,3	1	100	16	61,5	35	59,3
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

A menção a tratamentos anteriores, por sua vez, é um indicativo importante relacionado à exploração de possibilidades do Sistema para tratamento da DMD, visto que

conforme Enunciado N° 12 do CNJ, a inefetividade do tratamento oferecido pelo Sistema Único de Saúde - SUS, no caso concreto, deve ser demonstrada por relatório médico que a indique e descreva as normas éticas, sanitárias, farmacológicas (princípio ativo segundo a Denominação Comum Brasileira) e que estabeleça o diagnóstico da doença (Classificação Internacional de Doenças), indicando o tratamento eficaz, periodicidade, medicamentos, doses e fazendo referência ainda sobre a situação do registro ou uso autorizado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária - Anvisa, fundamentando a necessidade do tratamento com base em medicina de evidências (STJ - Recurso Especial Resp. n° 1.657.156, Relatoria do Ministro Benedito Gonçalves - 1ª Seção Cível - julgamento repetitivo dia 25.04.2018 - Tema 106). (Redação dada na III Jornada de Direito da Saúde - 18.03.2019).

Nos processos analisados, notou-se novamente baixos registros de referências ao itinerário terapêutico dos demandantes tendo em vista que as menções a tratamentos anteriores não foram identificadas em 64,4% das demandas (Tabela 4). Entre as ações que informaram (35,6%), observou-se maior proporção de referências de tratamentos anteriores entre decisões integralmente (40,6%) e parcialmente favoráveis (100%) em relação às decisões desfavoráveis (30,8%), indicando que a referência a exploração de tratamentos alternativos se relacionou mais aos pedidos concedidos em liminar.

Tabela 4 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e ataluren) contra a União Federal segundo decisão liminar e referência a tratamentos anteriores. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total		
	N	%	N	%	N	%	N	%	
<i>Referência a tratamentos anteriores segundo decisão liminar</i>									
Não faz referência a tratamento anterior	19	59,4	0	-	18	69,2	37	64,4	
Sim, indica que já foi realizado tratamento anterior	13	40,6	1	100	8	30,8	22	35,6	
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0	

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Conforme Enunciado N° 3 do CNJ, “Nas ações envolvendo pretensões concessivas de serviços assistenciais de saúde, o interesse de agir somente se qualifica mediante comprovação da prévia negativa ou indisponibilidade da prestação no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS e na Saúde Suplementar.” (Redação dada na III Jornada de Direito da Saúde - 18.03.2019).

Na amostra analisada, a tentativa de obtenção do medicamento no SUS, referenciada em apenas 40,7% dos processos judiciais, apareceu em maior proporção entre as decisões favoráveis, com 53,1% dos registros (Tabela 5). Vale ressaltar que, pensando na importância de comprovar através da demanda a necessidade de apelo à via judicial para garantia de sua saúde, ou seja, impossibilidade de atendimento das necessidades no Sistema de Saúde, destaca-se que entre as decisões desfavoráveis, 73,1% não referenciaram essas tentativas no percurso do Sistema.

Tabela 5 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e ataluren) contra a União Federal segundo decisão liminar e tentativa de obtenção do medicamento no SUS Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Tentativa de obter o medicamento no SUS antes da ação judicial segundo decisão liminar</i>								
Sim	17	53,1	0	-	7	26,9	24	40,7
Não	15	46,9	1	100	19	73,1	35	59,3
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Complementando a importância dessa comprovação de indisponibilidade de fornecimento do medicamento na via administrativa, destaca-se na análise das principais afirmações do autor no pedido inicial para que os argumentos mais predominantes foram de que não havia tratamento equivalente disponível no SUS (38 menções), seguido da existência de evidência científica do medicamento pleiteado (37 menções), com demais frequências apresentadas na Tabela 6.

Tabela 6 - Frequências de afirmações do autor no pedido inicial para fornecimento de medicamento das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalureno) contra a União Federal. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Atalureno	Eterplisen	Total
	N	N	N
<i>Afirmações do autor no pedido inicial</i>			
Medicamento sem tratamento equivalente disponível no SUS	35	3	38
Medicamento com evidência científica para a doença declarada	29	8	37
Medicamento não incluso em lista oficial	16	2	18
Medicamento sem registro	8	2	10
Medicamento não comercializado	5	0	5

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Conforme apresentado no fluxo da Figura 7, antes da antecipação de tutela os juízes podem emitir um despacho inicial com exigências médico-sanitárias ao autor para subsidiar suas decisões a partir de laudo médico atualizado ou perícia médica, por exemplo. Nas demandas de medicamentos para DMD, essa solicitação ocorreu em apenas 10 dos 59 processos (16,9%), sendo brevemente mais predominantes entre decisões favoráveis (15,6%). A análise segmentada das 10 ações que realizaram solicitação apresentou 5 delas relacionadas à concessão integral da liminar (50%), 1 (10%) à concessão parcial e 4 (40%) às decisões desfavoráveis (Tabela 7).

Tabela 7 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e ataluren) contra a União Federal segundo decisão liminar e exigências médico-sanitárias. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Exigências médico-sanitárias ao autor segundo decisão liminar</i>								
Sim	5	15,6	1	100	4	15,4	10	16,9
Não	27	84,4	0	-	22	84,6	49	83,1
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Ainda no despacho inicial, conforme Enunciado N° 83 do CNJ, “Poderá a autoridade judicial determinar, de ofício ou a requerimento da parte, a juntada ao processo de documentos de evidência científica (nota técnica ou parecer) disponíveis no e-NatJus (CNJ) ou em bancos de dados dos Núcleos de Assessoramento Técnico em Saúde (NATS) de cada estado, desde que relacionados ao mesmo medicamento, terapia ou produto requerido pela parte”.

Das 59 ações, foi solicitado parecer técnico NATJUS em apenas 18 demandas (30,5%) sendo 13 delas no despacho inicial do juiz. Sua relação com as decisões apresentou maior proporção entre as decisões desfavoráveis (30,8%), o que pode sugerir que o apoio do saber técnico-científico foi acionado para casos mais complexos ou que apresentavam maiores riscos sanitários, sendo seu potencial não explorado em 69,5% dos processos (Tabela 8).

Vale ressaltar nesse sentido que, conforme apresentado, o NATJUS surge a partir da identificação da carência de informações clínicas e sanitárias dos Magistrados, sendo controverso que nos casos de ações pleiteando medicamentos marcados pelos dissensos acerca de sua segurança, efetividade e eficácia o órgão seja pouco acionado.

Tabela 8 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e ataluren) contra a União Federal segundo decisão liminar e solicitação de parecer NATJUS. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Solicitação de parecer NATJUS no despacho inicial segundo decisão liminar</i>								
Solicitação no despacho inicial do juiz	5	15,6	0	-	8	30,8	13	22,0
Solicitação em outro momento do processo	2	6,3	0	-	3	11,5	5	8,5
Parecer não solicitado	25	78,1	1	100	15	57,7	41	69,5
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Após a decisão liminar, com distribuições previamente apresentadas na Figura 12, o seguimento do processo ocorre a partir da citação e/ou intimação das partes para contestação ou cumprimento das determinações, podendo ser interposto recurso tanto pela parte ré quanto pela parte autora como demonstrado na Figura 7 (Fluxo dos Principais Atos Processuais dos Processos Judiciais individuais de assistência à saúde). Conforme definição do CPC, o agravo de instrumento é um modelo de recurso utilizado perante as decisões interlocutórias, ou seja, que o magistrado tomou antes da sentença definitiva e não são responsáveis pela resolução do mérito (Brasil, 2015, Cap. III). Os recursos, conforme apresentado, representam impugnações das partes envolvidas no processo em relação às decisões proferidas, com objetivo de que sejam reformadas ou invalidadas.

A relação entre o ator envolvido na interposição dos agravos e as decisões de segunda instância revelou maior predominância dos recursos pela parte dos Réus (56,2%) que tiveram a maioria de seus recursos negados (55,6%). Diferentemente, nos recursos interpostos por autores (43,75%), predominou o provimento total (43%) ou parcial (10%) dos agravos (Tabela 9).

Tabela 9 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalurenos) contra a União Federal segundo decisão de segunda instância e da interposição de agravo. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Interposição de agravo dos réus		Interposição de agravo do autor		Total	
	N	%	N	%	N	%
<i>Reforma da decisão liminar segundo interposição de agravo</i>						
Confirmação da decisão da primeira instância	15	55,6	4	19	19	39,6
Reforma total da decisão da primeira instância	1	3,7	9	43	10	20,8
Reforma parcial da decisão da primeira instância	3	11,1	2	10	5	10,4
Sem informação	8	29,6	6	29	14	29,2
Total	27	100	21	100	48	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Relacionando as decisões liminares às reformas decorrentes dos recursos, notou-se que das 26 concessões liminares que envolveram recurso, apenas 14 foram mantidas. Já nas decisões desfavoráveis, 22 tiveram recurso interposto, confirmando sua decisão em apenas 4 ações. Destaca-se ainda nesse recorte o registro único de decisão liminar de concessão integral que após reforma foi indeferida, possivelmente acarretando em interrupção do fornecimento do medicamento (Tabela 10).

Tabela 10 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e ataluren) contra a União Federal segundo decisão liminar e reforma da decisão. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Reforma da decisão liminar segundo decisão liminar</i>								
Confirmação da decisão da primeira instância	14	43,8	1	100	4	15,4	19	32,2
Reforma total da decisão da primeira instância	1	3,1	0	-	9	34,6	10	16,9
Reforma parcial da decisão da primeira instância	3	9,4	0	-	2	7,7	5	8,5
Sem informação	8	25,0	0	-	5	19,2	13	22
Não se aplica	6	18,8	0	-	6	23,1	12	20,3
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Conforme Figura 15, das 59 ações, 19 ainda não haviam sido sentenciadas na época do estudo (32,2%), sendo assim 40 sentenças proferidas. Concernente ao tempo decorrido entre a decisão da liminar e a sentença, observou-se predominância da faixa entre 7 e 13 meses para as demandas de Ataluren (20%) e Eteplirsen (33,3%), conforme apresentado na Tabela 11.

Tabela 11 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsên e atalurenô) contra a União Federal, segundo tempo entre decisão liminar e sentença (em meses). Brasil, 2015 a 2022

Variável	Atalurenô		Eterplirsên		Total	
	N	%	N	%	N	%
<i>Tempo entre decisão liminar e sentença (em meses)</i>						
Até 6 meses	5	10	0	-	5	8,5
7- 13 meses	10	20	3	33,3	13	22,0
14-30 meses	7	14	1	11,1	8	13,6
31-60 meses	9	18	0	-	9	15,3
Mais de 61 meses	4	8	0	-	4	6,8
Não se aplica	14		5	55,6	19	32,2
Sem informação	1	2	0	-	1	1,7
Total	50	100	9	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

Assim como no início do processo o juiz pode realizar exigências médico-sanitárias para contribuir nas informações das demandas, outras exigências judiciais podem ser realizadas ao longo dos processos entre a liminar e a sentença, sendo sua relação com o julgamento sentencial apresentada na Tabela 12. Observou-se nas ações predominância da realização de exigências (57,5%), principalmente relacionadas às sentenças favoráveis (59,3%), enquanto que nas desfavoráveis a tendência de realização de exigências se manteve igual (50%) nos processos com e sem exigências.

Tabela 12 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e ataluren) contra a União Federal segundo exigências judiciais ao Autor entre liminar e sentença ao autor e decisão da sentença. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Sentenças integralmente favoráveis		Sentenças parcialmente favoráveis		Sentenças desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Exigências judiciais ao Autor entre liminar e sentença ao autor segundo decisão da sentença</i>								
Sim	16	59,3	1	100	6	50,0	23	57,5
Não	11	40,7	0	-	6	50,0	17	42,5
Total	27	100	1	100	12	100	40	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

A análise das decisões liminares e da sentença de forma conjunta (Tabela 13), permitiu conhecimento de que das 40 sentenças, 24 confirmaram a decisão liminar (60%) de concessão integral (n=16) ou não concessão (n=8). Por outro lado, as 16 sentenças restantes (40%) apresentaram reformas distribuídas da seguinte forma:

- 10 casos com decisão liminar não concedida e sentença concedida integralmente;
- 1 caso com decisão liminar não concedida e sentença concedida parcialmente;
- 4 casos de decisão liminar concedida e sentença não concedida;
- 1 caso de decisão liminar concedida parcialmente e sentença concedida parcialmente.

Tabela 13 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e atalurenos) contra a União Federal segundo decisão liminar e decisão da sentença. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Decisões integralmente favoráveis		Decisões parcialmente favoráveis		Decisões desfavoráveis		Total	
	N	%	N	%	N	%	N	%
<i>Decisão liminar segundo decisão da sentença</i>								
Concessão integral na sentença	16	50,0	1	100	10	38,5	27	45,8
Concessão parcial na sentença	0	0,0	0	-	1	3,8	1	1,7
Não concedido na sentença	4	12,5	0	-	8	30,8	12	20,3
Não se aplica	12	37,5	0	-	7	26,9	19	32,2
Total	32	100	1	100	26	100	59	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

A sentença, conforme definição do CPC, é o pronunciamento por meio do qual o juiz “põe fim à fase cognitiva do procedimento comum, bem como extingue a execução” (Brasil, 2015, Art. 203). Ela é o último marco do processo judicial na primeira instância, que só tramita em outra instância caso exista recurso como apelação às instâncias colegiadas dos Tribunais compostas de desembargadores que proferem uma decisão denominada acórdão.

Nas ações observadas, registraram-se 37 apelações, mantendo o padrão observado nos agravos de instrumento em que predominaram as interposições dos Réus (62,1%), mas com maior proporção de reformas totais (57,1%) e parciais (14,3%) entre as apelações dos autores. Dentre as apelações, foram identificados até a data da pesquisa 29 acórdãos dentre os quais 11 mantiveram a decisão sentencial, 8 reformaram a decisão parcialmente e 10 reformaram total da decisão proferida, ou seja, redefiniram completamente a decisão da sentença (Tabela 14).

Tabela 14 - Distribuição das demandas judiciais por medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne (eteplirsen e ataluren) contra a União Federal segundo recurso da sentença e decisão do acórdão. Brasil, 2015 a 2022

Variável	Interposição de recurso do autor		Interposição de recurso do(s) réu(s)		Total	
	N	%	N	%	N	%
<i>Decisão do acórdão segundo interposição de apelação</i>						
Confirmação da decisão da primeira instância	1	7,1	10	43	11	29,7
Reforma total da decisão da primeira instância	8	57,1	2	9	10	27,0
Reforma parcial da decisão da primeira instância	2	14,3	6	26	8	21,6
Sem acórdão	3	21,4	5	22	8	21,6
Total	14	100	23	100	37	100,0

Fonte: Elaboração própria. Projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União”, ENSP/Fiocruz.

7 CONSIDERAÇÕES FINAIS

Considerando as características do fenômeno da judicialização, o presente estudo teve como objeto principal de análise as demandas judiciais interpostas contra a União Federal para acesso ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne. Para explorar estruturas e abordagens jurídica-institucionais que envolvem o acesso à justiça e o acesso à saúde, o estudo enfatizou duas dimensões principais da temática, 1) o percurso dos reivindicantes judiciais no SUS, buscando avaliar como é referida a assistência e exploração de possibilidades do sistema no cuidado de pessoas com doenças raras e 2) o percurso dos demandantes na via judicial buscando avaliar os argumentos sanitários, jurídicos e técnicos que sustentam as decisões e o impacto da judicialização no acesso à saúde.

Para tratamento da DMD, as demandas em face da União se concentraram na solicitação dos medicamentos Ataluren (Translarna®) e Eteplirsen (Exondys 51®), diferentes quanto a seus aspectos político administrativos que se caracterizam pelas controvertidas compreensões entre pesquisadores e órgãos de vigilância internacionais acerca de suas evidências científicas. Ambos não incorporados no SUS, delineiam um contexto marcado por dificuldades de acesso tanto no Sistema quanto na via judicial, em que a tomada de decisão do juiz envolve desafios no balanceamento entre questões objetivas sanitárias e clínicas e nos deveres legais de proteção e garantia de acesso igualitário.

Na primeira dimensão de análise notou-se que as variáveis da petição inicial que faziam referência aos processos de diagnóstico, acompanhamento e busca pelo tratamento através da via administrativa não foram referidas de forma predominante na grande maioria dos processos, dificultando a inferência de relação entre elas e as decisões liminares. Ainda assim, nas subamostras em que informações como tempo de evolução da doença, realização de tratamentos anteriores e tentativa de obtenção do medicamento no SUS foram mencionadas, pôde-se perceber que estavam mais relacionadas às decisões liminares favoráveis, possivelmente indicando a importância da referência à exploração de possibilidades na via administrativa.

Na segunda dimensão, a partir da análise do percurso judicial do demandante, foram avaliados em primeiro lugar os encaminhamentos que subsidiaram as decisões. As exigências médico-sanitárias ao autor, por exemplo, foram realizadas em apenas 16,9% dos casos, e o parecer NATJUS, elemento tão importante frente a decisões que envolvem medicamentos com avaliações tão complexas, foi solicitado em apenas 30,5% das demandas judiciais, sendo

mais relacionada às decisões desfavoráveis e apontando para um baixo aproveitamento desse órgão.

As decisões liminares, com concessão de 54,2% dos pedidos iniciais formulados, se apresentou como o início de um longo percurso marcado por recursos e reformas ue mudaram constantemente o curso das ações e, conseqüentemente, o acesso dos demandantes.

Com interposição de 48 agravos de instrumento, sendo 27 dos réus e 21 dos autores, pôde-se realizar primeira vista sobre a complexidade dos casos. Os agravos mais acatados integralmente foram os da parte autora (43%) que de 22 indeferimentos da liminar em que foi interposto recurso, mantiveram-se apenas 4. Por outro lado, destaca-se também uma decisão liminar integralmente favorável que apresentou reforma total, sendo revogado o acesso ao medicamento.

As decisões de sentença, realizadas em 40 ações judiciais determinaram 25 concessões do medicamento integralmente (42%) e enfrentaram também em seus trâmites 37 interposições de recurso, sendo 18 sentenças reformadas parcial ou integralmente. Destaca-se principalmente as 9 reformas integrais da decisão de sentença que indicam processos que esgotaram seus percursos judiciais e representam bem as controvérsias envolvidas nas demandas dos medicamentos para tratamento da DMD.

No geral, pôde-se concluir que para além dos desafios do itinerário terapêutico de pessoas com DMD, nota-se também o delineamento de um “itinerário judicial” também muito complexo, permeado de questões éticas, sanitárias, políticas e técnico-científicas. As reformas constantes das decisões geram certa insegurança para os demandantes que por vezes tem seu fornecimento interrompido e por vezes só recebem deferimento depois de meses de processo por conta desses dissensos. A análise dos processos indica a necessidade e importância de explorar as possibilidades não só do Sistema de Saúde no momento anterior à judicialização, mas também do próprio Sistema Judiciário no momento da judicialização de maneira a potencializar órgãos e estruturas que subsidiem as decisões proferidas.

REFERÊNCIAS

- AITH, Fernando *et al.* Os princípios da universalidade e integralidade do SUS sob a perspectiva da política de doenças raras e da incorporação tecnológica. **Revista de Direito Sanitário**, São Paulo, v. 15, n. 1, p. 10-39, 2014. DOI: <https://doi.org/10.11606/issn.2316-9044.v15i1p10-39>.
- AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA. Translarna (Atalureno): ampliação de uso. **ANVISA**, 13 out 2021. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/translarna-atalureno-ampliacao-de-uso>. Acesso em: 10 jan. 2024.
- AGÊNCIA SENADO. Criado o Dia Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne. **Senado Notícias**, 26 abr. 2023. Disponível em: <https://www12.senado.leg.br/noticias/materias/2023/04/26/criado-o-dia-nacional-de-conscientizacao-sobre-a-distrofia-muscular-de-duchenne#:~:text=A%20chamada%20S%C3%ADndrome%20de%20Duchenne,um%20em%20cada%203.500%20nascidos>. Acesso em: 10 jan. 2024.
- AMARAL, Tarsila Costa do. Direito à saúde: dilemas do fenômeno da judicialização da saúde. **Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário**, Brasília, v. 8, n. 2, p. 123-132, abr./jun., 2019. DOI: <https://doi.org/10.17566/ciads.v8i2.530>.
- ARAÚJO, Alexandra P. Q. C. *et al.* Consenso brasileiro sobre distrofia muscular de Duchenne - Parte 1 diagnóstico, corticoterapia e perspectivas. **Arquivos de Neuropsiquiatria**, São Paulo, v. 75, n. 8, 2017. DOI: <https://doi.org/10.1590/0004-282X20170112>.
- BARBOSA, Oriana Piske de Azevêdo *et al.* Os dilemas da bioética e da judicialização da saúde no Brasil. **Revista Judiciária**, [s. l.], 2017. Disponível em: <https://www.tjdft.jus.br/institucional/imprensa/campanhas-e-produtos/artigos-discursos-e-entrevistas/artigos/2017>. Acesso em: 10 jan. 2024.
- BATISTA, Bianca *et al.* Gestores municipais de saúde da Paraíba: percepções, abordagens e práticas inerentes ao fenômeno da judicialização. **Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário**, Brasília, v. 12, n. 2, p. 78-92, 2023. DOI: <https://doi.org/10.17566/ciads.v12i2.980>.
- BIGLIA, Luiza Vasconcelos *et al.* Incorporações de medicamentos para doenças raras no Brasil: é possível acesso integral a estes pacientes? **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 26, n. 11, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-812320212611.26722020>.
- BRASIL. Lei nº 14.557, de 25 de abril de 2023. Institui o Dia Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne e a Semana Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 26 abr. 2023.

BRASIL. Lei nº 13.930, de 10 de dezembro de 2019. Altera a Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, para garantir aplicação de percentual dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde em atividades relacionadas ao desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e outras modalidades terapêuticas destinados ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 11 dez. 2019.

BRASIL. Lei nº 13.105, de 16 de março de 2015. Código de Processo Civil. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 17 mar. 2015.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2014.

BRASIL. Ministério da Saúde. Conselho Nacional de Saúde. Resolução nº 466, de 12 de dezembro de 2012. Dispõe sobre diretrizes e normas regulamentadoras de pesquisas envolvendo seres humanos. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 13 jun. 2012.

BRASIL. Ministério da Saúde. Conselho Nacional de Saúde. Resolução nº 338, de 06 de maio de 2004. Aprova a Política Nacional de Assistência Farmacêutica. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 2004.

BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 3.916, de 30 de outubro de 1998. Política nacional de medicamentos. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 1998.

BRASIL. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 24 abr. 2011.

BRASIL. Portaria nº 3.916, de 30 de outubro de 1998. Aprova a Política Nacional de Medicamentos. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 30 out. 1998.

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. **Diário Oficial da União**: seção 1, Brasília, DF, 20 set. 1990.

BRASIL. [Constituição (1988)]. **Constituição da República Federativa do Brasil**. Brasília: Senado Federal, 1988.

BRUNA, Maria Helena Varella. Distrofia de Duchenne. **Dráuzio Varella**, 20 abr. 2011. Disponível em: <https://drauziovarella.uol.com.br/doencas-e-sintomas/distrofia-de-duchenne/>. Acesso em: 10 jan. 2024.

CATENHEIDE, Izamara Damasceno *et al.* Características da judicialização do acesso a medicamentos no Brasil: uma revisão sistemática. **Physis**: Revista de Saúde Coletiva, Rio de Janeiro, v. 26, n. 4, 2016. DOI: <https://doi.org/10.1590/S0103-73312016000400014>.

CHIEFFI, A. L.; BARATA, R. B. Judicialização da política pública de assistência farmacêutica e equidade. **Cadernos de Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v. 25, n. 8, p. 1839-1849, 2009. DOI: <https://doi.org/10.1590/S0102-311X2009000800020>.

CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. Resolução nº 388, de 13 de abril de 2021. Dispõe sobre a reestruturação dos Comitês Estaduais de Saúde, fixados pela Resolução CNJ no 238/2016, e dá outras providências. **DJe/CNJ**, n. 95, p. 2-5, 15 abr. 2021.

CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. **Judicialização e sociedade**: ações para acesso à Brasília: CNJ, 2021.

CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. Ministério da Saúde alerta sobre custos da judicialização. **CNJ**, 2017. Disponível em: <https://www.cnj.jus.br/ministerio-da-saude-alerta-sobre-custos-da-judicializacao/#:~:text=Quando%20se%20trata%20de%20judicializa%C3%A7%C3%A3o,tomada%20por%20todos%20os%20envolvidos>. Acesso em: 10 jan. 2024.

CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. Recomendação nº 31 de 30 de março de 2010. Recomenda aos Tribunais a adoção de medidas visando melhor subsidiar os magistrados e demais operadores do direito, para assegurar maior eficiência na solução das demandas judiciais envolvendo a assistência à saúde. **DJe/CNJ**, n. 61, p. 4-6, 07 abr. 2010.

CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA. Sistema e-NatJus. **Portal CNJ**, 2019. Disponível em: <https://www.cnj.jus.br/programas-e-acoeforum-da-saude-3/e-natjus/#:~:text=Finalidade%20reduzir%20a%20possibilidade%20de,dados%20estat%C3%ADsticos%20pelos%20agentes%20>. Acesso em: 10 jan. 2024.

CONITEC. **Monitoramento do horizonte tecnológico**: medicamentos para tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne. Brasília: CONITEC, 2022.

COSTA, Kemily Benini; SILVA, Lia Mota; OGATA, Marcia Niituma. A judicialização da saúde e o Sistema Único de Saúde: revisão integrativa. **Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário**, Brasília, v. 9, n. 2, abr./jun., 2020. DOI: <https://doi.org/10.17566/ciads.v9i2.635>

EUROPEAN MEDICINES AGENCY. EMA confirms recommendation for non-renewal of authorisation of Duchenne muscular dystrophy medicine Translarna. **EMA**, 2023. Disponível em: <https://www.ema.europa.eu/en/news/ema-confirms-recommendation-non-renewal-authorisation-duchenne-muscular-dystrophy-medicine-translarna>. Acesso em: 10 jan. 2024.

ESPIÑOSA, Andreia Über. **A interferência da judicialização na gestão em saúde**. 2013. 23 f. Trabalho de Conclusão de Curso (Especialização em Gestão da Organização Pública) – universidade de Santa Maria, Palmeira das Missões, 2013. Disponível em: https://repositorio.ufsm.br/bitstream/handle/1/164/Espinosa_Andreia_Uber.pdf. Acesso em: 10 jan. 2024.

FIOCRUZ PARANÁ. Instituto Carlos Chagas. Centro de Saúde Pública de Precisão. **ICC/Fiocruz Paraná**, [2022]. Disponível em: <https://www.icc.fiocruz.br/cspp/#:~:text=As%20doen%C3%A7as%20raras%20s%C3%A3o%20classificadas,at%C3%A9%20cinco%20anos%20de%20idade>. Acesso em: 10 jan. 2024.

FONAJUS. Fórum Nacional do Judiciário para Saúde. **Enunciados sobre direito da saúde**. [S. l.]: CNJ, [2023]. Disponível em: <https://www.cnj.jus.br/wp-content/uploads/2023/06/todos-os-enunciados-consolidados-jornada-saude.pdf> . Acesso em: 10 jan. 2024.

INTERFARMA. Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa. **Doenças raras: a urgência do acesso à saúde**. São Paulo: Interfarma, 2018.

IRIART, Jorge Alberto Bernstein *et al.* Da busca pelo diagnóstico às incertezas do tratamento: desafios do cuidado para as doenças genéticas raras no Brasil. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 24, n. 10, p. 3637-3659, 2019. DOI: <https://doi.org/10.1590/1413-812320182410.01612019>.

LUZ, Geisa dos Santos; SILVA, Mara Regina Santos da; DEMONTIGNY, Francine. Doenças raras: itinerário diagnóstico e terapêutico das famílias de pessoas afetadas. **Acta Paulista de Enfermagem**, São Paulo, v. 28, n. 5, p. 395-400, 2015. DOI: <https://doi.org/10.1590/1982-0194201500067>.

MATOS, Amanda Mendonça de. **Doenças raras e a judicialização para obtenção de medicamentos no Brasil**. 2017. 19 f. Trabalho de Conclusão de Curso (Graduação em Enfermagem) – Centro Universitário de Brasília, Brasília, 2017. Disponível em: <https://repositorio.uniceub.br/jspui/bitstream/235/11740/1/21339911.pdf>. Acesso em: 10 jan. 2024.

MEDEIROS, Marcelo. Princípios de justiça na alocação de recursos em saúde. **Ipea - Texto para Discussão**, n. 687, 1999. Disponível em: https://portalantigo.ipea.gov.br/agencia/images/stories/PDFs/TDs/td_0687.pdf. Acesso em: 10 jan. 2024.

MEDICINA S/A. Saúde acumula 2,5 milhões de processos entre 2015 e 2020. **Medicina S/A**, 9 jun. 2021. Disponível em: <https://medicinasa.com.br/judicializacao-saude-cnj/>. Acesso em: 10 jan. 2024.

MOVIMENTO DUCHENNE. A evolução da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD). **Movimento Duchenne**, c2020a. Disponível em: <https://movimentoduchenne.com.br/evolucao-da-dmd/>. Acesso em: 10 jan. 2024.

MOVIMENTO DUCHENNE. O que é a Distrofia Muscular de Duchenne? **Movimento Duchenne**, c2020b. Disponível em: <https://movimentoduchenne.com.br/o-que-e-dmd/>. Acesso em: 10 jan. 2024.

NARDINI, Lívia B. Distrofia Muscular de Duchenne. **Genética na Prática**, UFSCAR. 2021. Disponível em: <https://www.geneticanapratica.ufscar.br/temas/sindrome-de-duchenne>. Acesso em: 10 jan. 2024.

NICE. National Institute for Health and Care Excellence. Eteplirsén for treating Duchenne muscular dystrophy [ID1003]. **NICE**, 2022. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/guidance/discontinued/gid-hst10007>. Acesso em: 10 jan. 2024.

PASCARELLI, Dhiogo Bayma Nespolo; PEREIRA, Éverton Luís. Doenças raras no Congresso Nacional brasileiro: análise da atuação parlamentar. **Cadernos de Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v. 38, n. 6, 2022. DOI: <https://doi.org/10.1590/0102-311XPT167721>.

PEPE, Vera Lúcia Edais *et al.* A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 15, n. 5, p. 2405-2414, 2010. DOI: <https://doi.org/10.1590/S1413-81232010000500015>.

PFIZER. Distrofia Muscular de Duchenne. **Laboratórios Pfizer Ltda.**, 2022. Disponível em: <https://www.pfizer.com.br/sua-saude/doencas-raras/distrofia-muscular-de-duchenne#:~:text=A%20preval%C3%A7%C3%A3o%20da%20distrofia%20muscular,da%20doen%C3%A7a%20a%20cada%20ano>. Acesso em: 10 jan. 2024.

RARAS. Rede Nacional de Doenças Raras. Disponível em: <https://raras.org.br/>. Acesso em: 10 jan. 2024.

RIBEIRO, Marco A. Schramm. A importância da Política Nacional de Medicamentos (PNM). **O Povo**, 27 out. 2009. Disponível em: <https://www.saude.ce.gov.br/2009/10/27/a-importancia-da-politica-nacional-de-medicamentos-pnm/>. Acesso em: 10 jan. 2024.

RUBIN, Michael. Distrofia muscular de Duchenne e distrofia muscular de Becker. **Manual MSD**, 2022. Disponível em: <https://www.msmanuals.com/pt-br/profissional/pediatria/disfun%C3%A7%C3%B5es-musculares-heredit%C3%A1rias/distrofia-muscular-de-duchenne-e-distrofia-muscular-de-becker>. Acesso em: 10 jan. 2024.

SADEK, Maria Tereza (org.). **O sistema de justiça**. Rio de Janeiro: Centro Edelstein de Pesquisas Sociais, 2010.

SANTOS, Nubia Mendes *et al.* Perfil clínico e funcional dos pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne assistidos na Associação Brasileira de Distrofia Muscular (ABDIM). **Revista Neurociências**, São Paulo, v. 14, n. 1, 2006. DOI: <https://doi.org/10.34024/rnc.2006.v14.8782>.

SEPODES, B.; MOTA-FILIFE. Doenças raras e medicamentos órfãos. **Acta Farmacêutica Portuguesa**, Lisboa, v. 2, n. 1, p. 59-62, 2013.

SILVA, Cleandra. Doenças raras: o que são os medicamentos órfãos? **Mendelics - Teste da Bochechinha**, 2022. Disponível em: <https://testedabochechinha.com.br/doencas-raras-o-que-sao-medicamentos-orfaos/>. Acesso em: 10 jan. 2024.

SILVA, Pâmela da Silva Campos da *et al.* Doenças raras e o grau de informação da população. **Revista Científica Multidisciplinar Núcleo do Conhecimento**, São Paulo, v. 7, n. 8, p. 199-218, 2022. DOI: [10.32749/nucleodoconhecimento.com.br/saude/doencas-raras](https://doi.org/10.32749/nucleodoconhecimento.com.br/saude/doencas-raras).

SILVA, Regina Célia dos Santos. **Medicamentos excepcionais no âmbito da assistência farmacêutica no Brasil**. 2000. 2016 f. Dissertação (Mestrado em Saúde Pública) – Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca, Fundação Oswaldo Cruz, Rio de Janeiro, 2000.

SILVEIRA, Pâmela da Silva Campos da *et al.* Doenças raras e o grau de informação da população. **Revista Científica Multidisciplinar Núcleo do Conhecimento**, São Paulo, v. 7, n. 8, p. 199-218, 2022. DOI: [10.32749/nucleodoconhecimento.com.br/saude/doencas-raras](https://doi.org/10.32749/nucleodoconhecimento.com.br/saude/doencas-raras).

TEIXEIRA, Raquel. Doenças raras atingem cerca de 13 milhões de brasileiros. **Senado Federal**, 2022. Disponível em: <https://www12.senado.leg.br/radio/1/noticia/2022/02/02/doencas-raras-atingem-cerca-de-13-milhoes-de-brasileiros>. Acesso em: 10 jan. 2024.

VASCONCELOS, Natalia Pires de. Entre justiça e gestão: colaboração interinstitucional na judicialização da saúde. **Revista de Administração Pública**, São Paulo, v. 55, n. 4, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1590/0034-761220200121>.

VENTURA, Miriam da Silva. **O processo decisório judicial e a assessoria técnica: a argumentação jurídica e médico-sanitária na garantia do direito à assistência terapêutica no Sistema Único de Saúde**. 2012. 186 f. Tese (Doutorado em Saúde Pública) – Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca, Fundação Oswaldo Cruz, Rio de Janeiro, 2012.

VENTURA, Miriam da Silva *et al.* Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde. **Physis: Revista de Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 20, n. 1, p. 77-100, 2010. DOI: <https://doi.org/10.1590/S0103-73312010000100006>.

VENTURA, Miriam da Silva; SIMAS, Luciana. Uma experiência interinstitucional de resolução de litígios em saúde: percursos dos usuários no acesso ao direito e à justiça. **Revista Direito e Práxis**, Rio de Janeiro, v. 12, n. 3, 2020. DOI: <https://doi.org/10.1590/2179-8966/2020/51143>.

VENTURA, Miriam da Silva; VENTURA, Deisy. Articulando os direitos humanos à saúde e aos benefícios do progresso científico no processo de avaliação e incorporação de medicamentos: do global ao local. **Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário**, Brasília, v. 10, supl., 2021. DOI: <https://doi.org/10.17566/ciads.v10iSuplemento.856>.

WANG, Daniel Wei Liang *et al.* **Judicialização da saúde nos municípios: como responder e prevenir**. [S. l.]: CONASEMS, 2021.

WANNMACHER, Lenita. Medicina paliativa: cuidados e medicamentos. **Uso racional de Medicamentos: Temas Selecionados**, Brasília, v. 5, n. 1, dez. 2007. Disponível em: https://www3.paho.org/bra/dmdocuments/V5N1_DEZ2007_MEDICINA_PALIATIVA.pdf. Acesso em: 10 jan. 2024.

WESTIN, Ricardo. Senadores querem política pública para paciente com doenças raras. **Senado Notícias**, Doenças raras, edição 675, 8 maio 2019. Disponível em: <https://www12.senado.leg.br/noticias/especiais/especial-cidadania/senadores-querem-politica-publica-para-pacientes-com-doencas-raras>. Acesso em: 10 jan. 2024.

ANEXOS

ANEXO A – INSTRUMENTO DE COLETA DA PESQUISA PRINCIPAL

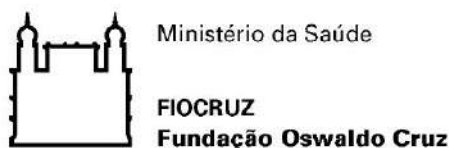
0.1.0	N. Processo CNJ
0.2.0	Data da distribuição da ação
0.3.0	Data cópia processo
0.4.0	Número do processo SEI-DGIUD
01 - CARACTERÍSTICAS DOS DEMANDANTES	
1.1.2000	Nome do primeiro autor
1.2.2000	Estado civil
1.3.2000	Nacionalidade
1.3.2001	--- Se outra nacionalidade, qual?
1.4.2000	Email do autor (9 - sem informação)
1.5.2000	Sexo/gênero autor
1.6.2000	CPF do primeiro autor
1.7.2000	Data de nascimento
1.8.2000	Ocupação
1.9.2000	Escolaridade
1.10.2000	Renda mensal bruta individual (valor estimado)
1.11.2000	Renda mensal bruta familiar
1.12.2000	Número de integrantes na família (incluindo o autor)
1.13.0	Município de domicílio
1.14.0	Estado de domicílio
1.15.0	CEP
1.16.0	Observações
02 - CARACTERÍSTICAS PROCESSUAIS	
2.1.2000	Situação do processo (STATUS)
2.1.2001	--- Se extinto ou suspenso informar o motivo (8. Não se aplica)
2.2.2000	TRF/TJ de origem
2.3.2000	Vara Federal / Juizado de origem
2.4.2000	Tipo de assunto
2.5.2000	Tipo de procedimento
2.5.2001	--- Se Outro, qual? (8. Não se aplica)
2.6.2000	Origem do processo com atuação no plantão judiciário?
2.7.2000	Representação do autor de ação
2.7.2001	--- Se Outro qual (8. Não se aplica)
2.8.2000	Registro
2.9.2000	Há prioridade legal determinada pelo juiz?
2.10.2000	Autor manifesta desinteresse na conciliação?
2.11.2000	Observações
03 - CARACTERÍSTICAS DA PETIÇÃO INICIAL (ARGUMENTOS E PEDIDOS)	
3.1.2000	O autor da ação se refere a acompanhamento no SUS antes da ação judicial
3.1.2001	--- Se sim, onde? (8. Não se aplica)
3.2.2000	Houve intervenção de alguma instância/uso de método extrajudicial de resolução de conflitos
3.2.2001	--- Se sim, qual?
3.3.2000	Tentativa de obter o medicamento no SUS antes da ação judicial
3.3.2001	--- Se sim, onde? (8. Não se aplica)
3.3.2002	--- Se sim, número cadastro no SUS
3.4.2000	Afirmações do autor no pedido inicial para fornecimento de medicamento.
3.4.2001	--- Se marcou "6" especifique as alternativas numéricas e outras separando por ponto e vírgula.
3.5.2000	Gratuidade de justiça
3.6.2000	Autor representado e/ou integrante de OSC
3.6.2001	--- Se sim, qual? (8. Não se aplica)
3.7.2000	Óbito do autor no curso da ação
3.7.2001	--- Se sim, onde?
3.8.2000	Data de óbito do autor da ação
3.9.2000	Número de réus da ação
3.10.2000	Réus da ação
3.10.2001	--- Se outros, quais? (8. Não se aplica)
3.11.2000	Observações
04 - ANTECIPAÇÃO DE TUTELA/LIMINAR	
4.1.2000	Parecer liminar do MP?
4.2.2000	O MP opinou por algum método alternativo do conflito?
4.3.2000	Concessão da liminar ou antecipação de tutela
4.3.2001	--- Se concessão parcial. O que não foi concedido? (8. Não se aplica)

4.4.2000	Data da decisão liminar (tutela antecipada)
4.5.2000	Exigências médico-sanitárias ao autor para a decisão de antecipação de tutela ou (Liminar)?
4.5.2001	--- Se sim, quais? (8. Não se aplica)
4.6.2000	O juiz solicitou parecer técnico para a decisão liminar/antecipação?
4.6.2001	--- Se sim, para qual(is) órgão(s)/instâncias (8. Não se aplica)
4.7.2000	A decisão judicial liminar refere-se a argumentos/informações da nota técnica?
4.7.2001	--- Se sim, a decisão concorda ou discorda do parecer técnico?
4.8.2000	A decisão judicial estipula prazo em dias para entrega do medicamento na liminar
4.8.2001	--- Se sim, quantos dias? (8. Não se aplica)
4.9.2000	Qual a forma de cumprimento determinada na liminar?
4.9.2001	--- Se Outra qual? (8. Não se aplica)
4.10.2000	Liminar com medidas constritivas contra o gestor por descumprimento?
4.10.2001	--- Se outras, quais? (8. Não se aplica)
4.11.2000	Liminar com medidas específicas médico-sanitárias para o seu cumprimento.
4.11.2001	--- Se sim, quais? (8. Não se aplica)
4.12.2000	Agravos da decisão liminar?
4.12.2001	--- Se sim, quais? (8. Não se aplica)
4.13.0	Número do agravo na 2.ª Instância
4.14.0	Decisão judicial na segunda instância – Agravo
4.14.1	--- Se reforma parcial, qual?
4.15.0	Observações
05 - ATUAÇÃO DO NAT/NAT-JUS	
5.1.2000	Juiz solicita parecer do Núcleo de Assistência Técnica (NAT/NAT-JUS)?
5.2.2000	Data do encaminhamento para o NAT-JUS
5.3.2000	Elementos médico-científicos do parecer do NAT-JUS
5.3.2001	---Se marcou "10" especifique as alternativas numéricas e outras separando por ponto e vírgula. (8. Não se aplica)
5.4.2000	NAT-JUS apresentou alternativas ao pedido do autor
5.4.2001	--- Se sim, quais? (8. Não se aplica)
5.5.2000	Observações
06 - ATUAÇÃO DO DGJUD-MS	
6.1.2000	Encaminhamento à DJUD/CGJUD?
6.2.2000	Origem da remessa a CGJUD:
6.2.2001	--- Se Outro Qual?
6.3.2000	Qual a data do encaminhamento para o CGJUD/DGJUD-MS
6.4.2000	Nota técnica DGJUD
6.5.2000	Se sim, Elementos médico-científicos da Nota técnica CGJUD/DGJUD
6.5.2001	--- Se marcou "10" especifique as alternativas numéricas e outras separando por ponto e vírgula. (8. Não se aplica)
6.6.2000	Observações
07 - FORNECIMENTO DO MEDICAMENTO	
7.1.2000	Data do recebimento da intimação para entrega do medicamento pelo gestor de saúde
7.2.2000	Qual o órgão/departamento foi intimado para entrega
7.3.2000	Houve entrega do medicamento?
7.3.2001	--- Se sim, informar data do primeiro cumprimento (08/08/8888 - Não se aplica)
7.4.2000	Inclusão em programa para tratamento contínuo no SUS
7.5.2000	O gestor e/ou juízo alteraram a forma de cumprimento para entrega de valor para compra direta pelo autor?
7.6.2000	Foram aplicadas medidas constritivas contra os gestores por descumprimento da liminar
7.6.2001	--- Se múltiplas quais (separar por ponto e vírgula), se outras, quais? (8. Não se aplica)
7.7.2000	Houve tentativa de conciliação judicial para resolução do conflito
7.8.2000	Réu aceitou/propos acordo
7.9.2000	Usuário aceitou o acordo
7.10.2000	Data de assinatura do Termo de acordo
7.11.2000	Observações
08 - SENTENÇA E ACÓRDÃO	
8.1.2000	Parecer de mérito do MP?
8.2.2000	O MP opinou por algum método alternativo do conflito em sede recursal?
8.3.2000	Houve sentença?
8.4.2000	Data sentença (primeira instância)
8.5.2000	Exigências judiciais ao Autor entre liminar e sentença?
8.5.2001	--- Se sim, quais? (8. Não se aplica)
8.6.2000	Decisão da Sentença
8.6.2001	--- Se parcial, o que não foi concedido? (8. Não se aplica)
8.7.2000	Forma de cumprimento determinada pelo juiz

8.7.2001	--- Se outras, quais? (8. Não se aplica)
8.8.2000	Sentença reconhece solidariedade dos Réus?
8.9.2000	Juiz refere Parecer técnico na sentença?
8.9.2001	--- Se sim, quais? NAT NATJUS CGJUD outros (8. Não se aplica)
8.10.2000	Recurso da sentença?
8.10.2001	--- Se outras, quais? (8. Não se aplica)
8.11.2000	Acórdão sobre a APELAÇÃO (Decisão judicial de segunda instância)
8.11.2001	--- Se reformada, quais? (8. Não se aplica)
8.12.2000	Data do ACORDÃO DA APELAÇÃO (Decisão judicial na segunda instância) (08/08/8888 para Não se aplica)
8.13.0	Recurso contra o acórdão da segunda instância?
8.14.0	Parecer recursal do MP?
8.15.0	O MP opinou por algum método alternativo do conflito em sede recursal?
8.16.0	Observações
09 - DOCUMENTOS MÉDICOS DO PEDIDO INICIAL	
9.1.2000	Prescrição médica
9.2.2000	Relatório do médico
9.3.2000	Há exames complementares pensados ao processo?
9.3.2001	--- Se sim, quais?
9.4.2000	Há pedido de outros serviços, exames ou outros insumos. (ver inicial)
9.4.2001	--- Se sim, quais?
9.5.2000	Há pedido de medicamentos futuros?
9.5.2000	O relatório médico faz referência a tratamentos anteriores (laudo médico)
9.6.2001	--- Se sim, qual?
9.7.2000	O relatório médico faz referência ao tempo de evolução da doença? (laudo médico)
9.7.2001	--- Se sim, quanto tempo?
9.8.2000	O relatório médico faz referência a exames complementares? (laudo médico)
9.10.2000	O relatório médico traz justificativa individualizada e expressa para a prescrição? (laudo médico)
9.11.2000	O relatório médico traz o diagnóstico principal? (laudo médico)
9.12.2000	O relatório médico traz o(s) diagnóstico(s) secundário(s)?
9.13.0	Observações
10 - CARACTERÍSTICAS MÉDICO SANITÁRIAS	
10.1.2000	Diagnóstico principal
10.2.2000	Classificação Internacional de Doença do Diagnóstico principal (CID)
10.3.2000	Diagnósticos secundários
10.4.2000	Classificação Internacional de Doença do Diagnóstico secundário (CID)
10.5.2000	Número de medicamentos solicitados
10.6.2000	Prescrição com medicamento em nome comercial?
10.7.2000	Nome medicamento conforme prescrição
10.8.2000	Medicamentos demandados - substância ativa
10.9.2000	Medicamentos demandados - nome comercial
10.9.2001	--- Se outro, qual?
10.10.2000	Medicamentos demandados - Posologia e via de administração
10.11.2000	Medicamentos demandados - apresentação
10.12.2000	Medicamentos demandados - Classificação pelo Sistema Anatômica Terapêutica e Química (ATC)
10.13.0	Origem da prescrição
10.14.0	Origem da prescrição de medicamentos de acordo com a natureza jurídica do Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde (CNES)
10.15.0	Data da prescrição
10.16.0	Médico prescriptor - CRM
10.17.0	Há alternativa terapêutica no SUS?
10.17.1	--- Se sim, quais?
10.18.0	Há perícia médica judicial solicitada no curso do processo?
10.19.0	A perícia médica solicitada foi realizada?
10.19.1	--- Se sim, informar a conclusão
10.20.0	A concessão ou não do medicamento pelo juiz foi condicionada ao relatório médico, laudo médico ou outro documento médico?
10.21.0	Valor pago pelo MS
10.22.0	Observações
11 - ANÁLISE COMPLEMENTAR SISTEMA REGULATÓRIO	
11.1.2000	Medicamento registrado da Anvisa na data do pedido do autor?
11.2.2000	Medicamento comercializado na data do pedido do autor?
11.3.2000	Indicação de uso off label na data do pedido do autor?
11.4.2000	Medicamento avaliado pela CONITEC?
11.4.2001	--- Se sim, recomendação Conitec

11.4.2002	--- Se não recomendada a incorporação ou ampliação do uso, por quê?
11.5.2000	Medicamento figura lista de medicamentos essenciais (RENAME) na data do pedido do autor
11.6.2000	Medicamento figura na RENAME 2022?
11.7.2000	Data da incorporação na RENAME
11.8.2000	Alternativa terapêutica no SUS na data do pedido do autor?
11.8.2001	--- Se sim, qual?
11.9.2000	Medicamento figura nas listas oficiais do SUS que não RENAME na data do pedido do autor
11.9.2001	--- Se outras, quais?
11.10.2000	Data da inclusão na lista oficial que não RENAME
11.11.2000	Medicamento em PCDT para o diagnóstico principal na data do pedido do autor (incluir a opção 8. Não se aplica)
11.12.2000	Data da inclusão no PCDT
11.13.0	Medicamento pactuado na CIT ou CIB na data do pedido do autor
11.14.0	Data da pactuação na CIT ou CIB
11.15.0	Preço teto CMED venda ao governo
11.16.0	O juiz pergunta ao demandante se participa ou participou de ensaios clínicos?
11.16.1	--- Se sim aonde?
11.17.0	A decisão judicial solicita a comunicação dos resultados em termos de efetividade e segurança após o uso do medicamento ao MS?
11.18.0	No curso do processo identificou mais de um médico no tratamento, além do médico prescriptor?
11.18.1	--- Se sim, colocar os nomes e CRMs
11.19.0	Em que local o medicamento foi administrado? Escrever por extenso ou digitar 8. Não se Aplica; 9. Sem Informação
11.20.0	No curso do processo houve pedido de outros objetos referentes ao tratamento?
11.20.1	--- Se sim quais?
11.21.0	Observações

ANEXO B – AUTORIZAÇÃO DO USO DE DADOS



Eu, Vera Lúcia Edais Pepe, pesquisadora titular do Departamento de Políticas e Planejamento da Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca (ENSP/ FIOCRUZ), CPFn.o 667.970.047-72, coordenadora do projeto “Cenário atual e futuro das demandas judiciais em saúde contra a União – ENSP-Fiocruz/DGJUD-MS” declaro estar informada sobre o projeto de pesquisa do Trabalho de Conclusão de Curso de Graduação de Saúde Coletiva, a ser desenvolvido Melinda Marcellos Augusto, sob o título “Judicialização do acesso a medicamentos para tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD): Análise das petições dos demandantes e decisões do Magistrado nos processos judiciais em desfavor da União Federal”, orientada por Miriam Ventura da Silva, professora associada do Instituto de Estudos em Saúde Coletiva – IESC/ UFRJ.

O projeto coordenado por mim foi devidamente autorizado pelo Comitê de Ética em Pesquisa (CEP) da Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca (ENSP/ FIOCRUZ) sob o Parecer 5.733.107 de 03 de novembro de 2022. A pesquisa em andamento gerou um banco de dados com as informações dos processos judiciais em saúde relativos às doenças raras, entre elas, a Distrofia Muscular de Duchenne, objeto do estudo. Autorizo Melinda Marcellos Augusto, CPF 15083433737, endereço Avenida Tenente Coronel Muniz de Aragão- Jacarepaguá, Rio de Janeiro e a Miriam Ventura da Silva, professora universitária, CPF 405.123.207-72, a consultar e fazer uso da base de dados sob minha responsabilidade para realização da referida pesquisa referente aos processos de medicamentos para Distrofia Muscular de Duchenne.

Rio de Janeiro, 20 de janeiro de 2024.

gov.br
 Documento assinado digitalmente
 VERA LUCIA EDAIS PEPE
 Data: 30/01/2024 10:06:57 -0300
 Verifique em <https://validar.ufes.gov.br>

Vera Lúcia Edais Pepe
 Pesquisadora em saúde
 Departamento de Administração e Planejamento em Saúde
 Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca/Fiocruz