



# **Doenças Raras e os Impactos na Judicialização**

**Palestrante:**  
**JULIANA HASSE**  
**Advogada Especialista  
em Direito Médico**





## INTRODUÇÃO

Inicia-se a imersão no intrigante universo das doenças raras, delineando sua definição pela Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014.

Nesse panorama, essas condições se destacam por afetar uma parcela diminuta da população em contraste com enfermidades mais comuns.

Durante esta apresentação, será elucidado o entendimento e os desafios enfrentados por aqueles que vivenciam essas condições singulares, mergulhando em estatísticas, abrangência e impactos profundos na vida dos afetados.



## Quando uma doença é considerada rara?

Sob a égide da Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014, consideram-se doenças raras aquelas que afetam até 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos, equivalendo a uma média de 1,3 pessoas a cada 2 mil indivíduos.

Calcula-se que haja uma variedade de 7 mil a 8 mil tipos diferentes de doenças raras. Dessas, 80% têm origem em fatores genéticos, enquanto as restantes derivam de causas ambientais, infecciosas, imunológicas, entre outras.



## **Organização da Política Nacional de Atenção às Doenças Raras**

Para propósitos de organização e credenciamento de serviços, a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras delineou-se em dois eixos distintos:

**I. Doenças Raras de Origem Genética:**

**II. Doenças Raras de Origem Não Genética:**

## Diagnóstico de Doenças Raras

A estruturação do sistema de saúde para o atendimento de pessoas com doenças raras é um desafio notável.

Segundo dados recentes da Fiocruz, existem 17 centros no Brasil designados como referência para atendimento integral a indivíduos com doenças raras.

Esses centros dispõem de meios para tornar mais acessíveis exames de alta complexidade, como o sequenciamento de última geração do DNA, colaborando para diagnósticos precisos, identificação de causas, fornecimento de orientações às famílias, prognósticos e aconselhamento genético.

Contudo, muitos estudos indicam que, ao percorrer o itinerário terapêutico, algumas doenças raras podem levar de 10 a 15 anos para terem seu diagnóstico conclusivo.

## Medicamentos Órfãos

Os medicamentos órfãos são desenvolvidos para tratar doenças raras, porém, devido ao reduzido número de pacientes afetados, não atraem investimentos para produção em larga escala.

Esse cenário resulta em custos elevados e limitações de acesso a esses tratamentos essenciais, cruciais para tratar, prevenir sintomas incapacitantes e retardar ou controlar doenças raras.

No contexto brasileiro, as Resoluções da Diretoria Colegiada (RDC) nº 205/2017 e nº 260/2018 são marcos regulatórios significativos. Elas estabelecem diretrizes para aprovação e condução de ensaios clínicos desses medicamentos específicos, definindo parâmetros e procedimentos para sua autorização e acompanhamento no país.



## Impacto da Judicialização na Saúde

A obtenção de medicamentos de alto custo para tratar doenças raras tem impulsionado a judicialização da saúde.

De acordo com dados recentes do Conselho Nacional de Justiça (CNJ), houve um aumento aproximado de 130% no número de ações judiciais relacionadas à saúde.

Em 2022, houve o registro de 164 mil processos judiciais na área da saúde suplementar, conforme informações do Painel de Estatísticas Processuais de Direito da Saúde do CNJ. Esse cenário resultou em um impacto substancial no orçamento do Ministério da Saúde.

Ao longo desse ano, aproximadamente R\$ 1,1 bilhão foram desembolsados pelo Ministério da Saúde na aquisição direta de fármacos por meio de decisões judiciais. Desse montante, mais da metade (53,25%), o equivalente a R\$ 575 milhões, foi direcionado à compra de três medicamentos eficientes para o tratamento de doenças raras.



Além das aquisições diretas de medicamentos por decisões judiciais, o Ministério da Saúde alocou mais de R\$ 500 milhões em depósitos judiciais ao longo do ano de 2022. Até julho de 2023, essas despesas atingiram um montante de R\$ 1,4 bilhão.

O gasto global relacionado à judicialização em 2022, englobando tanto depósitos quanto aquisições de fármacos, alcançou a marca de R\$ 1,6 bilhão. Isso representa um aumento de 335% em relação a 2012, quando os custos atingiram R\$ 370 milhões.

A nível mundial, estima-se que até 2026 os investimentos em terapias genéticas alcancem a cifra de US\$25 bilhões nos Estados Unidos, com o intuito de beneficiar aproximadamente 2,7% da população.





## Desafios Financeiros e Éticos

Os investimentos em saúde revelaram um compromisso abrangente com o tratamento de doenças raras, destacando a atuação tanto do Sistema Único de Saúde (SUS) quanto dos planos de saúde privados.

A sustentabilidade financeira, equidade no acesso aos recursos de saúde e os dilemas éticos associados à alocação de recursos limitados no sistema de saúde são desafios enfrentados durante os casos de judicialização.

Em 2022, no âmbito do SUS, a destinação de aproximadamente R\$ 7 bilhões de reais pelo Ministério da Saúde para medicamentos especializados, destinados a 93 Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs) abrangendo 102 indicações clínicas, evidencia um esforço significativo em proporcionar acesso universal a tratamentos de alto custo.



## Busca por Soluções

Muitos países têm buscado soluções para reduzir a dependência da judicialização na área da saúde.

Essas soluções incluem:

- Políticas que facilitam o acesso a medicamentos órfãos;
- Programas que oferecem suporte financeiro a pacientes e família;
- Parcerias colaborativas entre governo, setor privado e organizações da sociedade civil.

Essas iniciativas visam encontrar alternativas eficazes e mais acessíveis para garantir tratamentos adequados, aliviando a pressão sobre o sistema judicial e promovendo um acesso mais equitativo aos cuidados de saúde.

## Judicialização da saúde no STF

**Tema 6 de Repercussão Geral – Ministro Luis Roberto Barroso.**

**O Estado não pode ser obrigado por decisão judicial a fornecer medicamento não incorporado pelo SUS, independentemente de custo, salvo hipóteses excepcionais, em que preenchidos cinco requisitos:**

- A incapacidade financeira de arcar com o custo correspondente;**
- A demonstração de que a não incorporação do medicamento não resultou de decisão expressa dos órgãos competentes;**
- A inexistência de substituto terapêutico incorporado pelo SUS;**
- A comprovação de eficácia do medicamento pleiteado à luz da medicina baseada em evidências;(…)**

## **Tema 500 – RE 657.7181.**

**O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais. 2. A ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial. 3. É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:**

- (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras;**
- (ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior;**
- (iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil. 4. As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União.**

## Judicialização da Saúde no STJ

**Tese/Tema 106 – Resp 1.657.156**

**A concessão dos medicamentos não incorporados em atos normativos do SUS exige a presença cumulativa dos seguintes requisitos:**

- (i) comprovação, por meio de laudo médico fundamentado e circunstanciado expedido por médico que assiste o paciente, da imprescindibilidade ou necessidade do medicamento, assim como da ineficácia, para o tratamento da moléstia, dos fármacos fornecidos pelo SUS;**
- (ii) incapacidade financeira de arcar com o custo do medicamento prescrito;**
- (iii) existência de registro do medicamento na ANVISA, observados os usos autorizados pela agência. Tese definida no acórdão dos embargos de declaração publicado no DJe de 21/9/2018.**

**Tese/Tema 84 – Resp 1.069.810/RS**

**Tratando-se de fornecimento de medicamentos, cabe ao Juiz adotar medidas eficazes à efetivação de suas decisões, podendo, se necessário, determinar até mesmo o sequestro de valores do devedor (bloqueio), segundo o seu prudente arbítrio, e sempre com adequada fundamentação.**



## CONCLUSÃO


Em resumo, esta apresentação destaca a complexidade e os desafios enfrentados no universo das doenças raras.


Desde a definição pela Portaria GM/MS nº 199/2014 até a impactante mudança na legislação do Rol da ANS, observa-se um panorama em constante evolução.

A judicialização, ainda necessária diante da falta de regulamentação efetiva, reflete as dificuldades enfrentadas pelos pacientes na busca por tratamentos específicos.

É indubitável a colaboração entre diversos setores, incluindo o judiciário, órgãos reguladores e profissionais de saúde, para construir um caminho mais acessível e eficiente no cuidado das pessoas afetadas por doenças raras.

# Obrigada!

 @julianaphasse

 <https://julianahasse.com.br/>

 julianahasse@julianahasse.com.br

Juliana Hasse, Advogada formada há cerca de 21 anos, com MBA em gestão empresarial com ênfase em Saúde – Fundação Escola de Comércio Álvares Penteado, especializada em Direito Médico e Hospitalar (EPD - Escola Paulista de Direito), especializada em Direito da Saúde e de Dados em Saúde pela Faculdade de Direito de Coimbra, em Portugal, Presidente das Comissões Especiais de Direito Médico e da Saúde da OAB Estadual SP (2019/2024 - recondução ao cargo) e da OAB São José dos Campos (2019/2021).

Membro efetivo do Conselho Estadual de Saúde do Tribunal de Justiça de SP.

Membro efetivo da Aliança pela Saúde no Brasil, de iniciativa da AMB - Associação Médica Brasileira.

Palestrante e escritora de artigos de livros sobre Direito Médico e Telemedicina.

