

## **RECLAMAÇÃO 75.188 DISTRITO FEDERAL**

<b>RELATOR</b>	<b>: MIN. GILMAR MENDES</b>
<b>RECLTE.(s)</b>	<b>: UNIÃO</b>
<b>PROC.(A/S)(ES)</b>	<b>: ADVOGADO-GERAL DA UNIÃO</b>
<b>RECLDO.(A/S)</b>	<b>: JUIZ FEDERAL DA 21ª VARA FEDERAL CÍVEL DA SEÇÃO JUDICIÁRIA DO DISTRITO FEDERAL</b>
<b>ADV.(A/S)</b>	<b>: SEM REPRESENTAÇÃO NOS AUTOS</b>
<b>BENEF.(A/S)</b>	<b>: C.C.N. REPRESENTADO POR L.N.N.</b>
<b>ADV.(A/S)</b>	<b>: SEM REPRESENTAÇÃO NOS AUTOS</b>

**DECISÃO:** Trata-se de reclamação constitucional, com pedido liminar, ajuizada pela União contra decisão do Juiz Federal da 21ª Vara Federal Cível da Seção Judiciária do Distrito Federal, nos autos do Processo n. 1069072-37.2024.4.01.3400.

A reclamante relata que C. C. N., ao ser diagnosticado com Atrofia Muscular Espinal Tipo 2, aos 16 meses de idade, ajuizou ação requerendo o fornecimento do medicamento *Zolgensma*.

Alega que, em 9.12.2024, a autoridade reclamada deferiu a liminar pleiteada pelo menor e determinou à União que fornecesse o medicamento pleiteado, conforme prescrição médica. Sustenta que interpôs agravo de instrumento em face da referida decisão, o qual ainda não foi apreciado pelo Tribunal Regional Federal da 1ª Região.

Afirma que, ao deferir a liminar, a autoridade reclamada deixou de observar o disposto nas Súmulas Vinculantes 60 e 61. A esse propósito, aduz o seguinte:

“A incidência de ambos os verbetes sumulares ao caso dos autos se justifica em razão do fato de que a parte autora da ação originária, nascida em 08/03/2023, contava com 1 (um) ano e 9(nove) meses de idade à época da prolação da decisão reclamada - 09/12/2024 -, e é portador de AME Tipo 2, o que evidencia o descompasso da decisão reclamada com a Portaria SCTIE/MS n. 172, de 6 de dezembro de 2022 (Doc. 07), que, à luz do Relatório de Recomendação CONITEC n. 793 de dezembro de 2022 (Doc. 08), tornou pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o

**onasemnogeno abeparvoveque - Zolgensma - apenas para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do Tipo 1 que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas.**

Desse modo, nos termos do que consignado no item 2.1 da tese fixada no julgamento do Tema da Repercussão Geral n. 1234, o **Zolgensma, no caso, em tela, se enquadra na definição de medicamento não incorporado ao SUS**, visto que o juízo reclamado determinou a sua utilização para finalidade distinta da que foi recomendada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - CONITEC.

Estabelecida a necessidade de observância, no presente caso, das Súmulas Vinculantes n. 60 e 61, cumpre destacar, desde logo, que a decisão reclamada representa frontal violação aos requisitos previstos nas alíneas 'b', 'c' e 'd' do item 2 e nas alíneas 'a' e 'b' do item 3 da tese fixada no julgamento do Tema de Repercussão geral n. 06 (RE 566.471/RN), que reproduz em parte o que consignado no item 4 do Tema de Repercussão Geral n. 1234 (RE 1.366.243/SC)". (eDOC 1, p. 10-11; grifos no original).

A reclamante sustenta que não consta da decisão reclamada análise sobre a legalidade do ato da CONITEC, que incorporou o Zolgensma no âmbito do SUS apenas para tratamento de paciente pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do Tipo 1, à luz das circunstâncias do caso concreto e da legislação de regência, notadamente os critérios estabelecidos nos arts. 19-Q e 19-R da Lei n. 8.080/1990 e no Decreto n. 7.646/2011.

Afirma ainda que “também não demonstrou, à luz da medicina baseada em evidências, a eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja,

*unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise*", e tampouco restou demonstrada "a inexistência de substituto terapêutico do Zolgensma por outro medicamento constante das listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas" (eDOC 1, p. 15).

Por fim, requer o deferimento da medida liminar para suspender os efeitos da decisão reclamada e do trâmite do Processo 1069072-37.2024.4.01.3400 na origem. No mérito, pede a cassação do ato.

Em 21.1.2025, solicitei a manifestação dos especialistas Dra. Ludhmila Hajjar e Dr. Salmo Raskin, para que: 1) analisem os argumentos da Conitec para a não incorporação do Zolgensma para todas as situações aprovadas pela Anvisa; e 2) avaliem se tais argumentos se sustentam à luz das evidências científicas disponíveis e esclareçam se há substitutos terapêuticos eficazes fornecidos pelo SUS para o tratamento da condição clínica do menor em questão.

Os especialistas encaminharam relatório, respondendo aos quesitos formulados (eDOC 22), tendo sido determinada a intimação das partes (eDOC 20).

**É o relatório. Decido.**

Extrai-se do autos que o menor C. C. N. ajuizou ação de obrigação de fazer em desfavor da União, pleiteando o fornecimento do medicamento Zolgensma para tratamento da doença Atrofia Muscular Espinal Tipo 2 (eDOC 2, p. 2-28).

Após a realização de perícia técnica, o juiz deferiu a liminar nos seguintes termos:

"O Supremo Tribunal Federal, recentemente, no julgamento virtual do RE 1.366.243, com repercussão geral (Tema 1234, DJE divulgado em 18/09/2024, publicado em 19/09/2024) e no julgamento virtual do RE 566.471 (DJe divulgado em 27/09/2024, publicado 30/09/2024, estabeleceu novos critérios a serem observados pelas partes e pelo Poder Judiciário para a tramitação dos pedidos judiciais de fornecimento de medicamentos.

Além disso, editou as súmulas vinculantes 60 e 61, determinado a observância, nos pedidos administrativos e judiciais, dos acordos interfederativos (Tema 1234) e das teses fixadas no julgamento no tema 6.

Ainda, referendou a decisão do plenário do Supremo Tribunal Federal, no julgamento do RE 657.718, com repercussão geral reconhecida, de que o Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamento experimental ou sem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), salvo em casos excepcionais.

Diante disso, considerando a jurisprudência mais abalizada, deve a parte autora demonstrar o preenchimento dos seguintes requisitos: (a) negativa de fornecimento do medicamento na via administrativa, nos termos do item '4' do Tema 1234 da repercussão geral; (b) ilegalidade do ato de não incorporação do medicamento pela Conitec, ausência de pedido de incorporação ou da mora na sua apreciação, tendo em vista os prazos e critérios previstos nos artigos 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080/1990 e no Decreto nº 7.646/2011; (c) impossibilidade de substituição por outro medicamento constante das listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas; (d) comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise; (e) imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado; e (f) incapacidade financeira de arcar com o custeio do medicamento.

Em caso de medicamento sem registro sanitário, o autor deverá demonstrar ainda: (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos

órfãos para doenças raras e ultrarraras); (ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior e (iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.

**No caso dos autos, neste juízo de cognição sumária, restou comprovada a eficácia do medicamento pleiteado para a doença que acomete a parte autora.**

Isto é o que dá a saber o laudo pericial (id 2162610934) e demais documentos juntados aos autos, os quais evidenciam que a parte autora apresenta Atrofia Muscular Espinhal, tipo II - CID CID 10 - G12.1, deleção homozigótica do exón 7 do gene SMN1 com presença de 3 cópias do gene SMN2, fazendo uso do medicamento Ridisplan.

Embora não haja estudos comparativos entre os medicamentos fornecidos para a doença (Spiranza, Ridisplan e Zolgensma), é possível realizar a comparação indireta, sendo que:

‘Em análise indireta, após 12 a 24 meses da infusão do Zolgensma, observou-se sobrevida global de 97%, 95,3% dos pacientes que estavam livres do desfecho avaliado (morte ou ventilação permanente) e 82,2% apresentaram melhora da resposta motora, enquanto para os pacientes tratados com Spinzara, houve sobrevida global de 83,7% e apenas 61,3% livres do evento desfecho (morte ou ventilação mecânica). As evidências disponíveis de efetividade do risdiplam no tratamento de AME tipo II e III são provenientes do estudo clínico SUNFISH, multicêntrico, randomizado, controlado por placebo, duplo-cego, com pacientes com AME Tipo II ou III e idade de 2 a 25 anos. Ao final de 12 meses, 56% dos pacientes da Parte 1 do estudo SUNFISH atingiram uma mudança de pelo menos 3 pontos na pontuação total MFM-32, e ao

final de 24 meses 54% dos participantes obtiveram essa mudança mínima. Na Parte 2, após 12 meses de acompanhamento, 38,3% (IC95%: 28,9 a 47,6; n = 44/115) dos pacientes tratados com risdiplam alcançaram ≥ 3 pontos de aumento na MFM-32, comparado a 23,7% (IC95%: 12,0 a 35,4; n = 14/59) no grupo placebo. Portanto, quando comparado às alternativas disponíveis no SUS, o Zolgensma apresenta melhores resultados quando avaliados melhora do desenvolvimento e habilidades motoras, morte e necessidade de ventilação mecânica.'

Além disso, os medicamentos tem funções distintas. O Ridisplan ajuda o corpo a produzir a proteína SMN e a manter seus níveis elevados, o que pode melhorar a força e a função muscular. Já o Zolgensma é um medicamento que substitui o gene do neurônio motor de sobrevivência 1 (SMN1) ausente nos portadores de AME. O Zolgensma é um tratamento genético pioneiro que modifica o DNA do paciente, possibilitando que o corpo produza a proteína SMN.

O autor preenche os requisitos necessários para o recebimento da terapia genética, inclusive quanto ao peso.

O custo benefício do medicamento também restou demonstrado pelo perito:

**'2º) Existe algum outro medicamento, com menor custo, fornecido pelo SUS para o tratamento da doença que acomete a parte autora?** R: Não. O Zolgensma é de aplicação única, com valor de R\$7.077.090,55 (preço máximo de venda ao governo), segundo Relatório de Recomendação da CONITEC de agosto de 2022. Sobre o Spiranza: Custo anual do tratamento: De acordo com a prescrição, no primeiro ano seriam necessárias 6 doses (O preço da dose é R\$ 468.091,59) ao custo de R\$ R\$ 2.808.549,

50, sendo necessário dose de manutenção a cada 4 meses (3 frascos/ano nos anos subsequentes), totalizando R\$1.404.274,25/ ano, por tempo indeterminado. Fonte de custo da tecnologia: CMED, atualizada em 07/02/2023. O Spiranza é um medicamento para tratamento contínuo, devendo sua infusão continuar enquanto houver benefício clínico, não sendo possível determinar o total de doses que serão necessárias. Além disso, por ser infusão intra-tecal (necessário medidas invasivas de sistema nervoso central), há gastos envolvidos ao procedimento, como internação hospitalar, anestesia, equipe médica, centro cirúrgico e manejo de potenciais complicações. O Ridisplan deve ser administrado por via oral, na dose 0,25mg/kg. Neste caso, a dose seria de 2,75mg ao dia, por tempo indeterminado e em doses crescentes, a depender do peso. A dose é crescente até o peso de 20kg, quando é fixa em 5mg ao dia. O preço máximo de venda ao governo é R\$ 48.980,46 pelo frasco de 80ml, que duraria, aproximadamente, entre 16-29 dias, a depender do peso da criança. Logo, preço anual do tratamento, estimado em R\$ 600.000,00 a R\$ 1.100.000,00/ano, por tempo indeterminado. Portanto, após 4 anos, o valor de tratamento com Spinraza ultrapassa o valor do tratamento com Zolgensma. Após 6 a 7 anos, o valor de tratamento com Ridisplan ultrapassa o valor do Zolgensma'.

Com efeito, após minuciosa análise, assim conclui o médico perito:

'Considerando o custo a longo prazo comparativamente entre as medicações disponíveis pelo SUS e a medicação pleiteada; Considerando os riscos inerentes aos procedimentos invasivos necessários para realização de medicação intra-tecal, levando em consideração a segurança e conforto do autor; Considerando as expressivas melhorias esperadas,

baseadas em estudos clínicos de alta qualidade, na qualidade de vida, expectativa de vida, independência para atividades básicas diárias, obtenção de marcos do desenvolvimento motor, Concluo, nesta avaliação pericial, como favorável à dispensação da medicação pleiteado ao autor.'

Da análise crítica do laudo e dos elementos objetivos dele constantes, chego à conclusão de que o medicamento postulado é imprescindível, sobretudo, considerando o grau de evolução da doença e o risco de agravamento de seu quadro clínico, e a maior efetividade do medicamento caso aplicado até os dois anos de idade do autor.

**Outrossim, entendo que não deve prevalecer a análise da CONITEC de não incorporação do medicamento** (disponível em:

[https://www.gov.br/conitec/ptbr/midias/consultas/relatorios/2022/20220912\\_relatorio\\_cp\\_zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_cp58.pdf](https://www.gov.br/conitec/ptbr/midias/consultas/relatorios/2022/20220912_relatorio_cp_zolgensma_ame_tipo_i_cp58.pdf)) para o caso dos autos (Ame tipo 2 e paciente com idade superior a 6 meses).

Isto porque **restou demonstrada a eficácia do medicamento nos estudos apresentados pelo médico perito.**

Quanto ao ponto, ressalte-se que o medicamento tem registro na ANVISA e parecer favorável de diversas agências estrangeiras para paciente com até 3 cópias do gene SMN2, exatamente o quadro do autor.

Não bastasse isso, a análise de custo **evidencia que o medicamento é mais barato aos cofres públicos se comparado ao Ridisplan ou Spiranza, que demandam aplicação contínua.**

E, ainda que não o fosse, o valor do medicamento e a disponibilidade orçamentária não devem sobrepor à dignidade da pessoa humana ou o direito constitucional à saúde, sobretudo quando já reconhecido o benefício do medicamento

no impedimento da progressão da doença que pode cursar ao óbito prematuro do autor, já que a expectativa de vida para pacientes com Ame tipo 2 é de 25 anos.

Não se desconhece a notória realidade de escassez de recursos disponíveis para as políticas públicas de saúde voltadas a toda uma coletividade carente de tratamentos básicos, leitos de UTI, e a falta de serviços e insumos mínimos para os casos de atendimento em prontos socorros.

**No entanto, comprovados os benefícios do medicamento para a melhora no quadro-clínico do autor, por meio de estudos clínicos de alto nível, bem como a ausência de outro medicamento que atue no defeito genético do autor, entendo que deve prevalecer, neste caso, o direito da autora à vida digna e à saúde.**

Note-se que o parecer é digno de credibilidade, porque se baseia em dados constantes em exames e relatórios médicos, bem como em literatura médica especializada, e, juntamente com os demais documentos constantes dos autos, apresenta os elementos necessários ao deferimento da tutela provisória de urgência postulada.

Em razão disso, entendo que estão atendidos todos os requisitos que autorizam o reconhecimento da obrigação do Sistema Único de Saúde (SUS) em fornecer à parte autora o tratamento na forma requerida na peça vestibular.

Por seu turno, o risco na demora encontra-se consubstanciado, na eficácia do medicamento se aplicado até os dois anos de idade.

À vista disso, DEFIRO pedido de tutela de urgência para determinar que a UNIÃO, no prazo de 15 (quinze) dias, forneça ao autora o medicamento ZOLGENSMA®, conforme prescrição médica, com custeio de todas as despesas inerentes a efetiva administração do medicamento: aquisição, internação, despesas

hospitalares, honorários médicos e eventual deslocamento do autor". (eDOC 3).

Daí o ajuizamento da presente reclamação, na qual a União aduz, em síntese, que a autoridade reclamada, ao deferir liminar determinando o fornecimento do medicamento *Zolgensma*, violou o entendimento firmado nas Súmulas Vinculantes 60 e 61, que estabelecem a observância das teses firmadas no julgamento dos Temas 6 e 1234 da repercussão geral, que assim dispõem:

#### **Súmula vinculante n. 60**

"O pedido e a análise administrativos de fármacos na rede pública de saúde, a judicialização do caso, bem ainda seus desdobramentos (administrativos e jurisdicionais), devem observar os termos dos 3 (três) acordos interfederativos (e seus fluxos) homologados pelo Supremo Tribunal Federal, em governança judicial colaborativa, no tema 1.234 da sistemática da repercussão geral (RE 1.366.243)."

#### **Súmula vinculante n. 61**

A concessão judicial de medicamento registrado na ANVISA, mas não incorporado às listas de dispensação do Sistema Único de Saúde, deve observar as teses firmadas no julgamento do Tema 6 da Repercussão Geral (RE 566.471)".

#### **Tema 6**

"1. A ausência de inclusão de medicamento nas listas de dispensação do Sistema Único de Saúde - SUS (RENOME, RESME, REMUME, entre outras) impede, como regra geral, o fornecimento do fármaco por decisão judicial,

independentemente do custo.

2. É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento registrado na ANVISA, mas não incorporado às listas de dispensação do Sistema Único de Saúde, desde que preenchidos, cumulativamente, os seguintes requisitos, cujo ônus probatório incumbe ao autor da ação:

(a) negativa de fornecimento do medicamento na via administrativa, nos termos do item '4' do Tema 1234 da repercussão geral;

(b) ilegalidade do ato de não incorporação do medicamento pela Conitec, ausência de pedido de incorporação ou da mora na sua apreciação, tendo em vista os prazos e critérios previstos nos artigos 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080/1990 e no Decreto nº 7.646/2011;

(c) impossibilidade de substituição por outro medicamento constante das listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas;

(d) comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise;

(e) imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado; e

(f) incapacidade financeira de arcar com o custeio do medicamento.

3. Sob pena de nulidade da decisão judicial, nos termos do artigo 489, § 1º, incisos V e VI, e artigo 927, inciso III, § 1º, ambos do Código de Processo Civil, o Poder Judiciário, ao apreciar pedido de concessão de medicamentos não

incorporados, deverá obrigatoriamente:

- (a) analisar o ato administrativo comissivo ou omissivo de não incorporação pela Conitec ou da negativa de fornecimento da via administrativa, à luz das circunstâncias do caso concreto e da legislação de regência, especialmente a política pública do SUS, não sendo possível a incursão no mérito do ato administrativo;
- (b) aferir a presença dos requisitos de dispensação do medicamento, previstos no item 2, a partir da prévia consulta ao Núcleo de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NATJUS), sempre que disponível na respectiva jurisdição, ou a entes ou pessoas com expertise técnica na área, não podendo fundamentar a sua decisão unicamente em prescrição, relatório ou laudo médico juntado aos autos pelo autor da ação; e
- (c) no caso de deferimento judicial do fármaco, oficiar aos órgãos competentes para avaliarem a possibilidade de sua incorporação no âmbito do SUS”.

**Tema 1234** (tese transcrita no que interessa ao caso dos autos)

“I - Competência.

(...)

II - Definição de Medicamentos Não Incorporados.

2.1) Consideram-se medicamentos não incorporados aqueles que não constam na política pública do SUS; medicamentos previstos nos PCDTs para outras finalidades; medicamentos sem registro na ANVISA; e medicamentos off label sem PCDT ou que não integrem listas do componente básico.

2.1.1) Conforme decidido pelo Supremo Tribunal Federal

na tese fixada no tema 500 da sistemática da repercussão geral, é mantida a competência da Justiça Federal em relação às ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa, as quais deverão necessariamente ser propostas em face da União, observadas as especificidades já definidas no aludido tema.

(...)

IV - Análise judicial do ato administrativo de indeferimento de medicamento pelo SUS.

4) Sob pena de nulidade do ato jurisdicional (art. 489, § 1º, V e VI, c/c art. 927, III, § 1º, ambos do CPC), o Poder Judiciário, ao apreciar pedido de concessão de medicamentos não incorporados, deverá obrigatoriamente analisar o ato administrativo comissivo ou omissivo da não incorporação pela Conitec e da negativa de fornecimento na via administrativa, tal como acordado entre os Entes Federativos em autocomposição no Supremo Tribunal Federal.

4.1) No exercício do controle de legalidade, o Poder Judiciário não pode substituir a vontade do administrador, mas tão somente verificar se o ato administrativo específico daquele caso concreto está em conformidade com as balizas presentes na Constituição Federal, na legislação de regência e na política pública no SUS.

4.2) A análise jurisdicional do ato administrativo que indefere o fornecimento de medicamento não incorporado restringe-se ao exame da regularidade do procedimento e da legalidade do ato de não incorporação e do ato administrativo questionado, à luz do controle de legalidade e da teoria dos motivos determinantes, não sendo possível incursão no mérito administrativo, ressalvada a cognição do ato administrativo discricionário, o qual se vincula à existência, à veracidade e à legitimidade dos motivos apontados como

**fundamentos para a sua adoção, a sujeitar o ente público aos seus termos.**

4.3) Tratando-se de medicamento não incorporado, é do autor da ação o ônus de demonstrar, com fundamento na Medicina Baseada em Evidências, a segurança e a eficácia do fármaco, bem como a inexistência de substituto terapêutico incorporado pelo SUS.

4.4) Conforme decisão da STA 175-AgR, não basta a simples alegação de necessidade do medicamento, mesmo que acompanhada de relatório médico, sendo necessária a demonstração de que a opinião do profissional encontra respaldo em evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados, revisão sistemática ou meta-análise.

(...)" (grifo nosso).

Pois bem.

No que interessa ao caso dos autos, observa-se que esta Corte, no julgamento dos referidos paradigmas, assentou que devem ser considerados como medicamentos não incorporados *"aqueles que não constam na política pública do SUS; medicamentos previstos nos PCDTs para outras finalidades; medicamentos sem registro na ANVISA; e medicamentos off label sem PCDT ou que não integrem listas do componente básico"*.

No que se refere ao *Zolgensma*, verifica-se que fármaco tem registro na ANVISA para tratamento de crianças com até 2 anos de idade diagnosticadas com: 1) mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e diagnóstico clínico de AME do tipo I, ou; 2) mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e até 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2).

Entretanto, verifica-se que a CONITEC, ao proceder com a

incorporação do medicamento Zolgensma ao Sistema Único de Saúde (SUS), restringiu sua disponibilização exclusivamente a crianças com até 6 meses de idade que possuem diagnóstico de Atrofia Muscular Espinhal (AME) Tipo 1.

Nesse contexto, considerando que, no caso dos autos, o autor, atualmente com 1 ano e 10 meses de idade, pleiteia o fornecimento do *Zolgensma* para tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME) Tipo 2, o fármaco deve receber tratamento de medicamento não-incorporado, à luz do entendimento firmado no tema 1.234.

Portanto, no caso dos autos, ao tratar o *Zolgensma* como um medicamento não incorporado, é essencial que o Poder Judiciário observe de forma cumulativa os requisitos estipulados pelo Tema 6 para que possa determinar seu fornecimento, quais sejam:

“(a) negativa de fornecimento do medicamento na via administrativa, nos termos do item '4' do Tema 1234 da repercussão geral;

(b) ilegalidade do ato de não incorporação do medicamento pela Conitec, ausência de pedido de incorporação ou da mora na sua apreciação, tendo em vista os prazos e critérios previstos nos artigos 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080/1990 e no Decreto nº 7.646/2011;

(c) impossibilidade de substituição por outro medicamento constante das listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas;

(d) comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise;

(e) imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado,

descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado; e

(f) incapacidade financeira de arcar com o custeio do medicamento”.

Feitas essas considerações, entendo que, no caso dos autos, ao contrário do alegado pela União, tem-se como preenchidos todos os requisitos necessários para a concessão do medicamento pelo Poder Judiciário, inexistindo desrespeito aos temas da repercussão geral, como será adiante demonstrado.

Nesse ponto, cabe uma breve consideração no sentido de que, ao verificar o preenchimento dos requisitos previstos no paradigma para a concessão de medicamento não incorporado pela Conitec, não há qualquer desvirtuamento do que foi decidido nos temas 6 e 1.234 da repercussão geral. Muito pelo contrário, trata-se da aplicação pura do entendimento firmado pela Corte.

A trajetória para que fossem realizados os acordos interfederativos sobre a judicialização da saúde no âmbito nacional, que culminou na fixação das teses nos Temas 6 e 1234 da repercussão geral, exigiu esforços e concessões de todas as partes envolvidas. Foi um longo e exitoso caminho que visou a assegurar o equilíbrio entre a necessidade genuína dos pacientes, muitas vezes em situações emergenciais, e a viabilidade orçamentária do Estado, preservando a integridade das políticas públicas de saúde.

Ao aplicar o entendimento firmado pela Corte no presente caso, ressalto que estão sendo respeitados todos os princípios estabelecidos, o que é essencial para legitimar a concessão do medicamento e demonstrar a responsabilidade judicial de se alinhar aos temas da repercussão geral.

Com o julgamento dos referidos temas (e das súmulas vinculantes), houve críticas de que o STF estaria proibindo, **em qualquer situação**, todos os provimentos judiciais que demandassem medicamentos não incorporados na política pública do SUS. De fato, a regra é a deferência

judicial à escolha administrativa, salvo quando se verificar alguma ilegalidade no ato da Conitec, situação na qual o Poder Judiciário poderá exercer o controle de legalidade, como sói acontecer com qualquer ato administrativo.

Esta abertura excepcional e fundamentada está descrita no item 4 e subitens 4.1 e 4.2 das teses do tema 1234:

**"4) Sob pena de nulidade do ato jurisdicional (art. 489, § 1º, V e VI, c/c art. 927, III, § 1º, ambos do CPC), o Poder Judiciário, ao apreciar pedido de concessão de medicamentos não incorporados, deverá obrigatoriamente analisar o ato administrativo comissivo ou omissivo da não incorporação pela Conitec e da negativa de fornecimento na via administrativa, tal como acordado entre os Entes Federativos em autocomposição no Supremo Tribunal Federal.**

4.1) No exercício do controle de legalidade, o Poder Judiciário não pode substituir a vontade do administrador, mas tão somente verificar se o ato administrativo específico daquele caso concreto está em conformidade com as balizas presentes na Constituição Federal, na legislação de regência e na política pública no SUS.

4.2) A análise jurisdicional do ato administrativo que indefere o fornecimento de medicamento não incorporado restringe-se ao exame da regularidade do procedimento e da legalidade do ato de não incorporação e do ato administrativo questionado, à luz do controle de legalidade e da teoria dos motivos determinantes, não sendo possível incursão no mérito administrativo, ressalvada a cognição do ato administrativo discricionário, o qual se vincula à existência, à veracidade e à legitimidade dos motivos apontados como fundamentos para a sua adoção, a sujeitar o ente público aos seus termos". (grifo nosso).

Portanto, no caso de medicamento não incorporado, a análise

judicial “restringe-se ao exame da regularidade do procedimento e da legalidade do ato de não incorporação e do ato administrativo questionado, à luz do controle de legalidade e da teoria dos motivos determinantes, não sendo possível incursão no mérito administrativo, ressalvada a cognição do ato administrativo discricionário, o qual se vincula à existência, à veracidade e à legitimidade dos motivos apontados como fundamentos para a sua adoção, a sujeitar o ente público aos seus termos”.

Assim, em regra, não é possível incursão no mérito administrativo, salvo em caso de eventual controle ato administrativo da Conitec, sendo possível sindicar a **existência, a veracidade e a legitimidade** dos “motivos apontados como fundamentos para a sua adoção, a sujeitar o ente público aos seus termos”.

Do mesmo modo, em relação ao tema 6 da sistemática da repercussão geral do STF, é necessário perscrutar:

“(a) negativa de fornecimento do medicamento na via administrativa, nos termos do item '4' do Tema 1234 da repercussão geral;

(b) ilegalidade do ato de não incorporação do medicamento pela Conitec, ausência de pedido de incorporação ou da mora na sua apreciação, tendo em vista os prazos e critérios previstos nos artigos 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080/1990 e no Decreto nº 7.646/2011;

(c) impossibilidade de substituição por outro medicamento constante das listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas;

(d) comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise;

(e) imprescindibilidade clínica do tratamento,

comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado; e

(f) incapacidade financeira de arcar com o custeio do medicamento".

Pois bem.

No que tange à necessidade de comprovação da negativa de fornecimento do medicamento na via administrativa (alínea *a* do item 2 do Tema 6), entendo que a negativa de incorporação pela Conitec, por si só, cumpre o requisito, ao menos neste momento de implementação das mudanças trazidas nos citados temas 6 e 1.234.

Quanto ao cumprimento dos requisitos previstos nas alíneas *b*, *c*, *d* e *e* do item 2 do tema 6, entendo que estão cumpridos no caso dos autos. Senão vejamos.

Extrai-se do Relatório de Recomendação elaborado pela Conitec (eDOC 8), os seguintes fundamentos que justificariam a incorporação do *Zolgensma* apenas para crianças com até 6 meses de idade, diagnosticadas com AME Tipo I:

#### "15. RECOMENDAÇÃO FINAL DA CONITEC

Diante do exposto, os membros do Plenário, presentes na 115<sup>a</sup> Reunião Ordinária da Conitec, no dia 01 de dezembro de 2022, deliberaram, por maioria simples, recomendar a incorporação ao SUS do onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de pacientes pediátricos com até 6 meses de idade com AME tipo I em que estejam fora de ventilação mecânica invasiva acima de 16 horas por dia, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco. Foi assinado o registro de deliberação nº 790/2022. Os membros do Plenário consideraram para esta recomendação que, apesar de a proposta de incorporação e a bula da terapia gênica indicarem o uso do onasemnogeno abeparvoveque em pacientes de até 2

anos de idade, a evidência clínica disponível sobre eficácia e segurança sugere sucesso do tratamento apenas para uma população de até 6 meses de idade, não submetidas ao uso de ventilação mecânica invasiva permanente. Majoritariamente, os membros concordaram que os questionamentos feitos à empresa demandante foram esclarecidos satisfatoriamente. Consideraram adequada a análise de custo-efetividade apresentada pela empresa, onde a terapia gênica resulta em menor custo por QALY ganho em relação aos seus comparadores, terapia de suporte, nusinersena e risdiplam, ao longo do tempo. Nesta estratégia, foram equalizadas as sobrevidas das coortes entre as três tecnologias ativas, o que resultou em economia para o SUS, no uso de onasemnogeno abeparvoveque em 8 anos. Para os membros do Plenário, os itens sugeridos pelo Ministério da Saúde e incorporados à atualização da proposta do Acordo de Compartilhamento de Risco, apresentado pela empresa, também foram satisfatoriamente atendidos". (Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207\\_relatorio\\_zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_793\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf). Acesso em: 20.1.2025, grifo nosso).

Como visto, a Conitec concluiu, em síntese, que, embora a proposta de incorporação e a bula recomendem o uso do *Zolgensma* para pacientes com até 2 anos de idade, as evidências clínicas disponíveis sobre eficácia e segurança indicam sucesso do tratamento apenas para uma população de até 6 meses de idade, que não foram submetidas ao uso permanente de ventilação mecânica invasiva.

Inicialmente, ressalto que é necessário que se reconheça a singularidade das questões que envolvem o fornecimento de medicamentos destinados a doenças raras. É necessária uma análise minuciosa e cautelosa dessas demandas, não sendo possível conferir-lhes o mesmo tratamento dispensado às ações que pleiteiam outros tipos de

medicamentos.

Devido à raridade e complexidade dessas condições, na maioria das vezes há escassez de tratamentos disponíveis e cada opção terapêutica representa uma esperança significativa para os pacientes e suas famílias.

**Estudos científicos de alto nível de evidência devem ser sazonalmente revisitados pelo órgão de recomendação, sob pena de engessamento e obsolência administrativos e descasamento do tratamento na rede pública e privada de saúdes, trazendo desrespeito ao direito fundamental à saúde.**

Portanto, passo à análise da **existência**, da **veracidade** e da **legitimidade** dos “*motivos apontados como fundamentos para a sua adoção, a sujeitar o ente público aos seus termos*”.

Diante desse cenário, para subsidiar minha decisão, além dos documentos juntados aos autos e já analisados pelo juízo de 1º grau, entendi necessário solicitar a manifestação de *experts* no assunto, tendo em vista que se trata de criança com 1 ano e 10 meses de idade, diagnosticada com uma doença rara (AME tipo 2) na iminência de passar a janela de oportunidade para fazer uso de um medicamento, que, segundo indicação registrada na Anvisa, poderia melhorar sua condição clínica e qualidade de vida.

E aqui chamo atenção para o descasamento institucional das análises realizadas pela Anvisa, pela Conitec e pela ANS, as quais, nada obstante as diferenças técnico-regulatórias, acabam produzindo um cenário de incompreensões e diferenças de tratamento que - repito -, apesar de respaldadas em dispositivos legais, podem vulnerar o postulado da isonomia, na medida em que promovem visão míope de cobertura de nichos de mercado diferenciados, que podem afetar sistemática e reciprocamente uns e outros, sem que possam ser analisadas todas as variáveis de forma conjunta, circunstância em que uma agência única de incorporação poderia otimizar custos do erário e do mercado, além de induzir comportamentos públicos e privados, inclusive na regulação de preços. Esse é um debate público que demanda alteração legislativa, mas

deixo registrado minhas perplexidades, as quais foram destacadas em seminário realizado por esta Corte nos autos do tema 1.234 (RE 1.366.243), em dezembro do ano passado, ocasião em diversos especialistas foram ouvidos sobre o tema.

Consta do relatório elaborado pelos renomados médicos Dra. Ludhmila Hajjar e Dr. Salmo Raskin que, após a análise e incorporação do Zolgensma pela CONITEC, em 2022, foram divulgados novos estudos de alto nível que demonstram a eficácia do medicamento para crianças de até 24 meses de idade, diagnosticadas, inclusive, com AME tipo 2. Confira-se:

“O onasemnogene abeparvovec, comercialmente conhecido como Zolgensma, é uma terapia gênica aprovada pela FDA para o tratamento de pacientes pediátricos com menos de 2 anos de idade com atrofia muscular espinhal (AME) com mutações bialélicas no gene SMN1.[1] Embora a maioria dos estudos e aprovações se concentrem em pacientes com AME tipo 1, há evidências que sugerem benefícios potenciais para pacientes com AME tipo 2, especialmente quando o tratamento é iniciado precocemente.

Um estudo sistemático e meta-análise indicam que onasemnogene abeparvovec melhora a sobrevivência e a função motora em pacientes com AME tipos 1 e 2, com uma taxa de sobrevivência de 95%. [2] Além disso, o tratamento reduziu a necessidade de suporte ventilatório e melhorou significativamente as pontuações no teste de desordens neuromusculares infantis da Children's Hospital of Philadelphia (CHOP INTEND). [2]

(...)

Weib e cols. em recente estudo publicado em outubro de 2024, demonstram que a efetividade do Zolgensma realmente é melhor em crianças pré-sintomáticas tratadas nas primeiras seis

semanas de vida, mas as pontuações motoras funcionais também aumentaram significativamente após o tratamento em todas as faixas etárias até 24 meses.[7]

Outro estudo, de McMillan e cols, publicado em janeiro de 2025, analisou por 52 semanas o resultado da aplicação de Zolgensma em 24 crianças, sendo que 11 tinham AME tipo 2. Concluíram que a maioria dos participantes demonstrou manutenção ou melhora da função motora, sugerindo benefício clínico para pacientes com AME com peso de até 21 kg.[8]

A aprovação inicial de Zolgensma pela CONITEC em 2022 para o tratamento exclusivo da AME tipo 1 foi baseada nas evidências científicas disponíveis à época, que demonstravam benefício significativo em crianças com até seis meses de idade e diagnosticadas com AME tipo 1, a forma mais grave da doença. A decisão visava alinhar eficácia, segurança e custo-efetividade com os dados consolidados então apresentados. Desde então, novos estudos acima descritos vêm sugerindo benefícios em pacientes com AME tipo 2, ampliando as possibilidades terapêuticas para grupos previamente não contemplados.

(...)

Em suma, o Zolgensma, uma terapia gênica inovadora, representa um marco no tratamento da Atrofia Muscular Espinal (AME) devido à sua capacidade de corrigir diretamente a causa genética da doença, substituindo o gene SMN1 defeituoso. Enquanto inicialmente aprovado para AME tipo 1, estudos recentes têm demonstrado que pacientes com AME tipo 2 também podem se beneficiar significativamente desta abordagem terapêutica. Evidências emergentes indicam que o uso precoce de Zolgensma em pacientes com AME tipo 2 pode levar a ganhos substanciais em força muscular, função motora e redução da necessidade de suporte ventilatório.

impactando positivamente a qualidade de vida e a sobrevida desses pacientes. A AME tipo 2, embora menos severa que o tipo 1, ainda causa limitações motoras importantes e progressivas. Dados de estudos observacionais e de ensaios clínicos sugerem que a intervenção precoce com Zolgensma é crucial para maximizar os benefícios, preservando as funções motoras antes que a deterioração irreversível ocorra. Além disso, a terapia oferece uma alternativa mais prática e possivelmente mais custo efetiva a longo prazo, eliminando a necessidade de tratamentos contínuos, como ocorre com outras terapias para AME.

Dada a evolução do conhecimento científico e os resultados promissores obtidos em pacientes com AME tipo 2, é fundamental que as agências reguladoras e os tomadores de decisão revisem as diretrizes atuais à luz dessas novas evidências. A ampliação da indicação para o uso de Zolgensma nesse grupo não apenas proporcionará uma oportunidade de melhoria na qualidade de vida desses pacientes, mas também fortalecerá o compromisso do sistema de saúde com a incorporação de inovações que oferecem benefícios transformadores". (eDOC 22, grifo nosso).

Tendo em vista os robustos dados científicos apresentados, no relatório acima transcrito, amparado em medicina baseada em evidências, no sentido de que “*evidências emergentes indicam que o uso precoce de Zolgensma em pacientes com AME tipo 2 pode levar a ganhos substanciais em força muscular, função motora e redução da necessidade de suporte ventilatório, impactando positivamente a qualidade de vida e a sobrevida desses pacientes*”, bem como que “*a intervenção precoce com Zolgensma é crucial para maximizar os benefícios, preservando as funções motoras antes que a deterioração irreversível ocorra*”, verifica-se a superveniente deslegitimidade (análise acerca da **legitimidade**) do ato inicial de não incorporação do medicamento pela Conitec e a comprovação da eficácia, da acurácia, da

efetividade e da segurança do fármaco, para crianças com AME Tipo 2 até 2 anos, diante das novos estudos científicos de alto nível produzidos pela comunidade científica internacional.

Nesse cenário, não mais se sustentam, ou pelo menos merecem revisitação, os argumentos apresentados pela Conitec no sentido de que as evidências clínicas disponíveis sobre eficácia e segurança indicam sucesso do tratamento apenas para uma população de até 6 meses de idade, diagnosticadas com AME Tipo 1.

Desse modo, considero preenchidos os requisitos previstos nas alíneas “b” e “d” do item 2 do tema 6, bem ainda item 4.2 do tema 1234, ambos da sistemática da repercussão geral.

No mais, levando em consideração a atual situação clínica do autor, o relatório médico concluiu o seguinte:

“O caso em discussão refere-se ao paciente CC, gemelar, gênero masculino, atualmente com 1 ano e 10 meses. A história clínica descreve apresenta hipotonia e perda de força nos membros inferiores iniciados aos 10 meses de vida. Foi identificado atraso no desenvolvimento motor, arreflexia e fasciculações. Em julho de 2024, foi diagnosticado com AME, confirmado por testes genéticos, incluindo a coleta de swab para MLPA dos genes SMN1 e SMN2, que revelou uma deleção homozigótica do exón 7 do gene SMN1, com a presença de três cópias do gene SMN2. No momento, não faz uso de ventilação mecânica invasiva ou não-invasiva. Desde o diagnóstico, faz uso diário de Evrysdi® - Risdiplam, sem que haja melhora do tônus muscular e do desenvolvimento motor da criança. O Zolgensma (onasemnogeno abeparvoveque) é um medicamento que substitui o gene do neurônio motor de sobrevivência 1 (SMN1) ausente nos portadores de AME. O Zolgensma é a oferta artificial de milhões de cópias corretas do gene, que vão produzir a proteína SMN, não havendo substituto terapêutico no SUS”. (eDOC 22, grifo nosso).

Como se observa, ficou assentado que o medicamento utilizado pelo autor (Risdiplam) não tem sido eficaz, haja vista que não há demonstração de “*melhora do tônus muscular e do desenvolvimento motor da criança*”. Além disso, também restou registrado que não há substituto terapêutico dispensado pelo Sistema Único de Saúde para tratamento da doença que acomete o autor.

Sendo assim, considerando a perícia médica realizada na origem e o relatório médico elaborado pela Dra. Ludhimila Hajjar e pelo Dr. Salmo Raskin, especialista geneticista, nesta Corte, entendo demonstrada a imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, que descreveu o tratamento já realizado.

Por fim, considerando o elevadíssimo valor do medicamento, que gira em torno de R\$ 6 milhões, também está demonstrada a incapacidade financeira da família de arcar com o seu custeio, análise já realizada pelo juízo de 1º grau.

Levando em consideração todos os dados fáticos e jurídicos apresentados, verifica-se o cumprimento de todos os requisitos previstos nos temas 6 e 1234 da repercussão geral, motivo pelo qual inexiste fundamento que justifique a cassação da liminar deferida pelo juízo reclamado.

Por fim, reitero que há um relevante debate em aberto, que talvez deva receber uma atenção especial do legislador e dos especialistas sobre a matéria, qual seja, a viabilidade de unificação dos órgãos nacionais que realizam a aprovação e a incorporação dos medicamentos no Brasil, a fim de se evitar situações como a que ora se coloca, na qual se verifica a existência de registro do medicamento no país para tratamento da enfermidade que acomete o autor, todavia, o fármaco não foi incorporado para fornecimento pelo sistema público.

Não se desconhece que a Anvisa e a Conitec, responsáveis respectivamente pela aprovação do medicamento no Brasil e sua incorporação para dispensação pelo Sistema Único de Saúde, trabalham

de forma integrada para garantir que os medicamentos e tecnologias disponibilizados à população sejam seguros, eficazes e acessíveis, desempenhando um papel crucial na proteção da saúde pública e na otimização dos recursos do SUS.

Todavia, o sistema atual acaba gerando certas perplexidades. O tempo entre a aprovação da Anvisa e a decisão da Conitec pode ser longo, atrasando o acesso dos pacientes aos medicamentos necessários pela rede pública, impactando negativamente a saúde e qualidade de vida dos pacientes.

Além disso, a diferença entre as indicações aprovadas pela Anvisa e aquelas acolhidas pela Conitec pode gerar inconsistências na disponibilização de tratamentos através do SUS. Enquanto a bula de um medicamento pode incluir diversas indicações, a aprovação para uso pelo SUS pode ser limitada a apenas uma ou algumas delas, gerando dificuldade no tratamento da totalidade dos pacientes que poderiam se beneficiar do fármaco.

No mais, parece-me que tais situações acabam por aumentar a judicialização da saúde, já que, em muitos casos, pacientes que não têm acesso aos medicamentos por meio do SUS recorrem à Justiça para obter o direito ao tratamento, sobrecarregando o sistema jurídico e gerando altos custos para o Estado, em todas as esferas de Poder.

Em resumo, considerando: 1) a existência de estudos recentes de alto nível que evidenciam a eficácia, a efetividade e a segurança do *Zolgensma* para tratamento de crianças de até 2 anos de idade diagnosticadas com Atrofia Muscular Espinal (AME) Tipos 1 e 2; 2) a superveniente deslegitimidade do ato da Conitec de não incorporação do fármaco ao SUS para AME Tipo 2, até 2 anos de idade; 3) a inexistência de substituto terapêutico eficaz dispensado pelo sistema público; 4) a comprovação da indispensabilidade do medicamento para tratamento da enfermidade que acomete o autor; e 5) a impossibilidade de custeio pelo autor; verificam-se preenchidos todos os requisitos previstos na exceção do tema 6, que justificam a fornecimento de medicamento não incorporado ao SUS pelo

Poder Judiciário.

Por fim, é importante registrar que, para o cumprimento da liminar deferida na origem, deve-se observar o valor atribuído ao *Zolgensma* no ato de incorporação, aplicando um desconto de 3% sobre o Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG) vigente na tabela CMED, conforme oferecido pela Novartis (eDOC 8, p. 95).

### *Decisão*

**Ante o exposto, nego seguimento à reclamação, não vislumbrando qualquer descumprimento às teses dos temas 6 e 1234 da repercussão geral, consubstanciadas nas Súmulas Vinculantes 60 e 61.**

Comunique-se o teor da presente decisão à Conitec para reavaliação da incorporação do referido medicamento, à luz dos novos estudos identificados pela Dra. Ludhmila Hajjar e pelo Dr. Salmo Raskin, cumprindo o item 3, alínea “c”, do tema 6 da RG.

Intime-se.

Brasília, 31 de janeiro de 2025.

Ministro GILMAR MENDES

Relator

*Documento assinado digitalmente*