

**CENTRO UNIVERSITÁRIO SANTA AMÉLIA  
UNISECAL**

**HELOISA DE ALMEIDA GREGOL**

**O TRÂMITE LEGAL PARA RECEBIMENTO DE MEDICAMENTOS  
PELO SUS (SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE), COM ENFOQUE EM  
MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS**

**PONTA GROSSA**

**2025**

**CENTRO UNIVERSITÁRIO SANTA AMÉLIA**  
**UNISECAL**

**HELOISA DE ALMEIDA GREGOL**

**O TRÂMITE LEGAL PARA RECEBIMENTO DE MEDICAMENTOS  
PELO SUS (SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE), COM ENFOQUE EM  
MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS**

Artigo apresentado ao Centro Universitário Santa Amélia – Unisecal, como parte dos requisitos para conclusão do curso de Graduação em Direito.

Professora Orientadora: Suellen Iasketivz Carneiro.

**PONTA GROSSA**

**2025**

## **AGRADECIMENTO**

Agradeço, primeiramente à Deus e aos meus pais, Márcio José Gregol e Débora Cristina de Almeida, que dedicaram suas vidas para que eu tivesse acesso à educação e pudesse buscar um futuro melhor. Com amor, esforço e dedicação, eles me ensinaram valores fundamentais como a honestidade, a humildade e a perseverança, que levarei comigo para toda a vida.

Também expresso minha gratidão ao meu namorado, Paulo Leonardo Timóteo de Lima, que compreendeu os desafios dessa caminhada e sempre esteve disposto a tornar minha rotina menos cansativa. Sua paciência, carinho e incentivo fizeram toda diferença.

Em especial, agradeço à minha mãe, Débora Cristina de Almeida, que não apenas me incentivou a continuar nos momentos difíceis, mas também esteve ao meu lado de forma incansável, ajudando no meu trabalho, na minha empresa, para que eu tivesse mais tempo para estudar. Seu apoio foi essencial para que eu conseguisse equilibrar minhas responsabilidades e seguir em frente, mesmo diante dos desafios.

Se hoje cheguei até aqui, é porque tive ao meu lado pais que nunca mediram esforços para me apoiar. Essa conquista não é só minha, mas de vocês também. Obrigado por tudo!

## **O TRÂMITE LEGAL PARA RECEBIMENTO DE MEDICAMENTOS PELO SUS (SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE), COM ENFOQUE EM MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS**

Heloisa de Almeida Gregol<sup>1</sup> (Centro Universitário UniSecal)  
Prof.<sup>a</sup> Ma. Suellen Iaskevitz Carneiro<sup>2</sup> (Centro Universitário UniSecal)

**Resumo:** O trâmite legal para o recebimento de medicamentos pelo Sistema Único de Saúde (SUS) envolve uma série de etapas burocráticas e normativas, especialmente quando se trata de medicamentos para doenças raras. A incorporação desses medicamentos ao SUS passa por análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), que avalia eficácia, custo-benefício e impacto orçamentário. Quando o medicamento não está disponível na rede pública, o paciente pode recorrer à judicialização da saúde, um processo que obriga o Estado a fornecer o tratamento necessário. No entanto, esse caminho pode ser demorado e enfrenta desafios como a alta demanda e os custos elevados. Além disso, o Programa de Assistência aos Pacientes com Doenças Raras busca oferecer suporte a essas pessoas, garantindo o direito ao tratamento adequado. A regulação desses medicamentos, muitas vezes importados, exige aprovação da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) antes da distribuição. Assim, o acesso ao tratamento depende de uma complexa interação entre políticas públicas, judicialização, regulação sanitária e orçamento.

**Palavras-chave:** SUS (Sistema único de saúde). Judicialização. Medicamentos. Doenças raras.

## **THE LEGAL PROCESS FOR RECEIVING MEDICINES THROUGH THE SUS (UNIVERSAL HEALTH SYSTEM), WITH A FOCUS ON MEDICINES FOR RARE DISEASES**

**Abstract:** The legal process for receiving medications from the Unified Health System (SUS) involves a series of bureaucratic and regulatory steps, especially when it comes to medications for rare diseases. The incorporation of these medications into the SUS is subject to analysis by the National Commission for the Incorporation of Technologies into the SUS (CONITEC), which assesses their effectiveness, cost-benefit, and budgetary impact. When the medication is not available in the public health system, the patient can resort to the judicialization of health care, a process that forces the State to provide the necessary treatment. However, this path can be time-consuming and faces challenges such as high demand and high costs. In addition, the Assistance Program for Patients with Rare Diseases seeks to provide support to these people, guaranteeing the right to adequate treatment. The regulation of these medications, often imported, requires approval from the National Health Surveillance Agency (ANVISA) before distribution. Thus, access to treatment depends on a complex interaction between public policies, judicialization, health regulation, and budget.

**Keywords:** SUS (Unified Health System). Judicialization. Medicines. Rare diseases.

---

<sup>1</sup> Acadêmica do 9º período do Curso de Bacharelado em Direito do Centro Universitário Santa Amélia – e-mail: heloisagregol@icloud.com

<sup>2</sup> Mestre em Administração pela Universidade Estadual de Maringá – UEM – e-mail: suiaskevitz@gmail.com

## 1 INTRODUÇÃO

O Sistema Único de Saúde (SUS) é uma das maiores redes de saúde pública do mundo, garantindo a universalidade do acesso à saúde no Brasil. Entre os inúmeros desafios enfrentados pelo SUS, está a concessão de medicamentos para doenças raras e de alto custo. O processo de acesso a esses medicamentos, por vezes, envolve uma longa batalha judicial devido à ausência de políticas claras para determinadas terapias. Este trabalho busca investigar o trâmite legal para obtenção de medicamentos pelo SUS, com enfoque nas dificuldades enfrentadas por pacientes com doenças raras.

Apesar das políticas estabelecidas, o acesso regular e universal a medicamentos pelo SUS ainda enfrenta muitos desafios. Um dos principais é o subfinanciamento crônico da saúde pública, que compromete tanto a compra de medicamentos quanto sua distribuição regular aos usuários (Paim, 2011).

A desigualdade regional também representa um obstáculo importante. Pesquisas demonstram que o acesso gratuito a medicamentos é mais garantido nas regiões Sul e Sudeste, enquanto nas regiões Norte e Nordeste a disponibilidade é significativamente menor (Luz, 2009). Fatores como a infraestrutura precária, a falta de profissionais e a gestão ineficiente contribuem para esse cenário.

Outro desafio crescente é a judicialização da saúde. Muitas vezes, usuários do SUS recorrem ao Judiciário para obter medicamentos que não estão incluídos na RENAME ou que não foram disponibilizados em tempo hábil. Embora represente o exercício do direito à saúde, essa prática pode gerar distorções no planejamento e no orçamento do SUS, além de comprometer a equidade (Vieira, Zucchi, 2007).

A incorporação de novas tecnologias e medicamentos, sobretudo para doenças raras, também enfrenta barreiras. A criação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), em 2011, visou tornar esse processo mais técnico e transparente. No entanto, as demandas por medicamentos de alto custo continuam crescendo, o que pressiona ainda mais os recursos públicos (Brasil, 2011).

O aumento expressivo nos gastos com medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica é um reflexo disso. Entre 2003 e 2015, o Ministério da Saúde viu esses gastos saltarem de R\$ 500 milhões para mais de R\$ 6 bilhões — um aumento de quase 1.200% (Vasconcelos, 2017).

Esse contexto evidencia que, embora o SUS tenha avançado na garantia do acesso a medicamentos, ainda é necessário enfrentar questões estruturais, econômicas e gerenciais para assegurar a efetividade desse direito, especialmente no caso dos medicamentos para doenças raras, que exigem maior investimento e políticas específicas, as quais se discutirá a seguir.

## **2 SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE (SUS) E O ACESSO A MEDICAMENTOS**

Nesse tópico, será abordado sobre o Sistema único de saúde e o acesso aos medicamentos, se fazendo em subtópicos pela extensão do tema.

### **2.1 HISTÓRICO, EVOLUÇÃO LEGISLATIVA E PRINCÍPIOS DO SUS**

A criação do Sistema Único de Saúde (SUS), em 1988, marcou um avanço histórico na democratização da saúde no Brasil. A saúde passou a ser reconhecida como um direito de todos e dever do Estado, nos termos do artigo 196 da Constituição Federal: “a saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos” (Brasil, 1988).

Antes do SUS, o acesso aos serviços de saúde era restrito aos trabalhadores com carteira assinada, por meio do Instituto Nacional de Assistência Médica da Previdência Social (INAMPS), o que deixava uma grande parcela da população sem cobertura. A redemocratização do país e as reivindicações populares nos anos 1980, durante a 8ª Conferência Nacional de Saúde, foram fundamentais para garantir a universalidade e a integralidade do acesso à saúde (Paim, 2011).

As Leis nº 8.080/1990 e nº 8.142/1990 regulamentaram o SUS. A primeira trata da organização dos serviços e ações de saúde, enquanto a segunda estabelece a participação social e o financiamento do sistema (BRASIL, 1990a; BRASIL, 1990b). Os princípios do SUS — universalidade, integralidade e equidade — orientam a estrutura de prestação de serviços e refletem os fundamentos do Estado Democrático de Direito.

A garantia do acesso a medicamentos no SUS foi consolidada pela Política Nacional de Medicamentos (PNM), instituída pela Portaria nº 3.916/1998. Ela orienta ações voltadas à promoção do uso racional de medicamentos, à regulação sanitária e à garantia de acesso, com base na seleção de medicamentos essenciais (Brasil, 1998).

Posteriormente, a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF), aprovada pela Resolução nº 338/2004 do Conselho Nacional de Saúde, passou a regulamentar a organização das atividades farmacêuticas no âmbito do SUS. Essa política estabelece que a assistência

farmacêutica deve ser parte integrante da atenção à saúde, assegurando a oferta e o uso racional de medicamentos (Brasil, 2004).

Além disso, o Programa Farmácia Popular do Brasil (PFPPB), criado em 2004, representa uma importante estratégia de ampliação do acesso a medicamentos essenciais, por meio de parcerias com farmácias privadas e unidades próprias. Em 2011, o programa passou a incluir medicamentos gratuitos para hipertensão, diabetes e asma, o que ampliou significativamente seu alcance (Brasil, 2011).

A Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) é outro instrumento importante para a organização da assistência farmacêutica. Ela orienta os gestores do SUS quanto à aquisição e distribuição de medicamentos, com base em critérios de eficácia, segurança, qualidade e custo-efetividade (Brasil, 2020). Sua atualização periódica busca refletir as necessidades epidemiológicas da população brasileira.

O SUS possui como princípios a universalização; acesso para todos os cidadãos o direito ao atendimento à saúde, sem qualquer tipo de discriminação, a equidade; consiste em reconhecer as diferenças entre as pessoas e dar a cada uma o que precisa para que tenham as mesmas oportunidades e integralidade; a integralidade implica olhar o paciente como um todo e garantir que ele tenha acesso a todas as ações e serviços necessários para seu cuidado.

Além disso, são princípios Organizativos: a Regionalização; organiza os serviços de saúde por região, com base nas necessidades da população local, Hierarquização; é a organização dos serviços de saúde em níveis de complexidade, para garantir o acesso progressivo e ordenado ao cuidado, Descentralização; determina que a gestão dos serviços de saúde deve ser compartilhada entre os entes federativos (União, Estado e Municípios) e o Comando Único; significa que em cada esfera do governo (Federal, Estadual e Municipal) deve haver uma autoridade única responsável pela coordenação das ações de saúde, garantindo unidade na gestão.

## 2.2. POLÍTICA NACIONAL DE ATENÇÃO INTEGRAL ÀS PESSOAS COM DOENÇAS RARAS – PORTARIA 199, de 30 de janeiro de 2014

Antes de adentrar no tema propriamente dito, faz-se necessária a conceituação de doença rara. De acordo com o Ministério da Saúde “As Doenças Raras correspondem a um conjunto diverso de condições médicas que afetam um número relativamente pequeno de pessoas em comparação com doenças mais comuns.” (Brasil, 2014)

Ainda, de acordo, Rare Diseases International - RDI, aliança global de pessoas que vivem com uma doença rara e as suas famílias em todos os países e em todas as doenças raras, mais de 300 milhões de pessoas vivem com uma doença rara em todo o mundo, elas afetam de 3,5 a 5,9% da população global. Sendo que 2% das doenças raras são genéticas e 70% começam da infância. Além disso, as doenças raras incluem infecções raras (bacterianas ou virais), reações alérgicas e cânceros raros. (rare diseases internacional, 2022)

A Política Nacional de Atenção Integral às pessoas com Doenças Raras, que será tratada de forma mais detalhada a seguir, estrutura as doenças raras em dois eixos principais: doenças genéticas e não genéticas (Wiest; Balbinotto, Neto; Jacinto,2014).

As doenças genéticas são subdivididas em anomalias congênitas ou de manifestação tardia, deficiência intelectual e erros inatos de metabolismo. As doenças não genéticas, por outro lado, incluem doenças infecciosas, inflamatórias e autoimunes (Cavalcante,2014).

Segundo a RDI,

As doenças raras são frequentemente crônicas, progressivas e ameaçadoras de vida. As pessoas que vivem com a mesma doença rara estão muitas vezes dispersas geograficamente em muitos países. Portanto, nenhum país ou região pode agir sozinho. (RARE DISEASES INTERNATIONAL,2022)

A portaria 199/2014 aprovou diretrizes para Atenção Integral as Pessoas com doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos de custeio. A Política visa garantir a atenção integral e humanizada às pessoas com doenças raras, que afetam até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, considerando a complexidade e diversidade dessas condições, que englobam anomalias congênitas, doenças de manifestação tardia, deficiências intelectuais e erros inatos do metabolismo, a política busca promover ações de promoção, prevenção, diagnóstico precoce, tratamento adequado e cuidados paliativos. (Brasil, 2014)

Antes de sua implementação, pacientes com doenças raras frequentemente enfrentavam dificuldades significativas para obter diagnósticos precisos e acesso a tratamentos adequados, devido à falta de políticas específicas e infraestrutura insuficiente.

A formalização da referida Política foi um marco importante, consolidando anos de esforço e advocacia por parte de profissionais de saúde e organizações de pacientes. A política não só definiu diretrizes claras para o manejo e tratamento de doenças raras, mas também estabeleceu incentivos financeiros para apoiar a implementação dessas diretrizes (Brasil,2014). Tal classificação visa garantir uma abordagem direcionada e mais eficaz no tratamento das doenças raras permitindo uma melhor organização dos serviços de saúde.

As diretrizes visam o cuidado contínuo e coordenado em todos os níveis do SUS sendo que atenção básica “é responsável pela coordenação do cuidado e por realizar a atenção contínua da população que está sob sua responsabilidade adstrita, além de ser a porta de entrada prioritária do usuário na rede” (Brasil, 2014), enquanto a Atenção Especializada é

composta pelo conjunto de pontos de atenção com diferentes densidade tecnológicas para a realização de ações e serviços de urgência, ambulatorial especializado e hospitalar, apoiando e complementando os serviços da atenção básica de forma integral, resolutiva e em tempo oportuno, apoiando e complementando os serviços da atenção básica de forma integral. (Brasil,2010)

Segundo Gusmão (2017), as diretrizes da política incluem medidas para garantir que os pacientes e seus familiares recebam apoio psicológico e social, reconhecendo que o impacto das doenças raras vai além do físico e inclui aspectos emocionais e financeiros. Há, também, a promoção a educação contínua dos profissionais de saúde, assegurando que estejam atualizados quanto às melhores práticas de doenças raras.

Apesar da implementação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, é evidente que muitas pessoas ainda encontram dificuldades para obtenção de acesso ao tratamento adequado, o que vem causando a necessidade de recorrer ao Judiciário.

### 2.3 POLÍTICAS PÚBLICAS DE ACESSO A MEDICAMENTOS

A Política Nacional de Medicamentos (PNM) e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF) são fundamentais para garantir o acesso da população brasileira a medicamentos essenciais, promovendo a saúde pública e consolidando o Sistema Único de Saúde (SUS). Ambas as políticas refletem o compromisso do Estado com a saúde como direito universal e dever do Estado, conforme estabelecido pela Constituição Federal de 1988 e regulamentado pela Lei nº 8.080/1990.

A PNM foi instituída pela Portaria nº 3.916, de 1998, com o objetivo de assegurar a segurança, eficácia e qualidade dos medicamentos, além de promover seu uso racional e ampliar o acesso da população aos medicamentos essenciais. Para alcançar esses objetivos, a PNM estabelece diretrizes como a adoção da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), a regulamentação sanitária dos medicamentos, a reorientação da assistência farmacêutica, o desenvolvimento científico e tecnológico, a promoção da produção nacional de medicamentos e a capacitação de recursos humanos. A RENAME, em particular, serve como referência para a seleção de medicamentos que atendem às necessidades prioritárias de saúde da população, considerando sua eficácia, segurança e custo-benefício.

A PNAF, por sua vez, foi aprovada pela Resolução nº 338 do Conselho Nacional de Saúde, em 2004, como resultado da 12ª Conferência Nacional de Saúde. Ela amplia a

abordagem da PNM, reconhecendo a assistência farmacêutica como um componente essencial da atenção à saúde, que vai além da simples distribuição de medicamentos. A PNAF visa garantir o acesso da população a medicamentos de qualidade, promover o uso racional desses medicamentos e qualificar a gestão da assistência farmacêutica em todos os níveis do SUS. Para isso, a PNAF propõe ações como a descentralização da gestão, a articulação interinstitucional, a educação permanente dos profissionais de saúde e a participação social no processo de gestão.

Ambas as políticas enfrentam desafios significativos, como a escassez de recursos financeiros, a desigualdade no acesso aos serviços de saúde, a resistência à mudança por parte de alguns profissionais e a necessidade de constante atualização das práticas e tecnologias. No entanto, elas têm alcançado avanços importantes, como a ampliação do acesso a medicamentos essenciais, a redução de custos com medicamentos e a melhoria na qualidade da assistência farmacêutica prestada à população.

A implementação eficaz da PNM e da PNAF requer a colaboração entre os diferentes níveis de governo, a capacitação contínua dos profissionais de saúde e o envolvimento ativo da sociedade civil. Além disso, é fundamental que haja um monitoramento constante das políticas, com a coleta e análise de dados sobre o uso de medicamentos, para identificar áreas de melhoria e garantir que os objetivos das políticas sejam alcançados de forma equitativa e sustentável.

### **3 JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E O DIREITO AO ACESSO A MEDICAMENTOS**

Nesse item passar-se-á à conceitualização de judicialização da saúde e os outros tópicos; Conceito de Judicialização e o Impacto da Judicialização do SUS, o que faz em subdivisão diante da complexidade do assunto.

#### **3.1 CONCEITO DE JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE**

A judicialização da saúde é um fenômeno crescente no Brasil, diretamente relacionado à busca da efetivação do direito fundamental à saúde, assegurado pela Constituição Federal de 1988. De acordo com o artigo 196 da Constituição, “a saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação” (Brasil, 1988).

Nesse contexto, quando o cidadão não consegue obter, pela via administrativa, o acesso a determinados serviços, tratamentos ou medicamentos, recorre ao Poder Judiciário como meio de garantir a efetividade desse direito. Segundo Silva (2019), a judicialização da saúde surge como uma resposta à ineficiência ou à insuficiência das políticas públicas em atender

determinadas demandas, sobretudo relacionadas a medicamentos de alto custo ou não disponibilizados pelo Sistema Único de Saúde (SUS).

A busca pela via judicial ocorre, em muitos casos, devido ao avanço da ciência médica e ao surgimento de novos tratamentos que ainda não foram incorporados às listas oficiais do SUS. Este cenário se agrava especialmente no tratamento de doenças raras, cujos medicamentos frequentemente possuem custos elevados e limitada disponibilidade no mercado nacional (PIRES, 2020).

Portanto, a judicialização reflete tanto a luta pela concretização de direitos fundamentais como também os desafios estruturais enfrentados pelo sistema público de saúde no Brasil.

### 3.2 O IMPACTO DA JUDICIALIZAÇÃO NO SUS

Embora a judicialização da saúde se apresente como uma importante ferramenta de acesso ao direito à saúde, ela também gera inúmeros impactos no funcionamento e na sustentabilidade do SUS.

De acordo com Ferreira e Santos (2021), uma das principais consequências é o desvio de recursos financeiros. As ordens judiciais que determinam o fornecimento de medicamentos fora das listas oficiais ou sem previsão orçamentária obrigam os gestores públicos a realocar verbas, comprometendo o financiamento de outras áreas essenciais da saúde pública.

Além disso, a judicialização pode provocar uma desorganização na gestão do SUS. O sistema é estruturado segundo os princípios da equidade e do planejamento, de modo a priorizar os recursos de acordo com as necessidades coletivas. As demandas judiciais, porém, atendem casos individuais e podem, inadvertidamente, gerar favorecimento a quem recorre ao Judiciário, em detrimento daqueles que aguardam atendimento na via administrativa (Costa Ribeiro, 2018).

Outro problema relevante refere-se à ampliação das desigualdades sociais. O acesso ao Judiciário, muitas vezes, é mais facilitado para quem dispõe de melhores condições econômicas, conhecimento ou acesso a serviços jurídicos, aprofundando, assim, as disparidades no acesso à saúde (Ferreira; Santos, 2021).

Por fim, há também desafios de ordem técnica e ética. Muitas das demandas judiciais envolvem medicamentos sem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) ou sem comprovação científica robusta quanto à eficácia e segurança. Nessas situações, juízes, que não possuem formação na área da saúde, acabam decidindo sobre questões extremamente complexas, que exigiriam análise técnica especializada (Pires, 2020).

Apesar dos impactos negativos, é inegável que a judicialização também desempenha um papel importante ao expor as fragilidades do sistema de saúde e pressionar o poder público

a aprimorar as políticas públicas, atualizar protocolos clínicos e incorporar novos tratamentos. Contudo, é essencial que sejam buscadas soluções estruturais que equilibrem a proteção dos direitos individuais com a sustentabilidade e a efetividade das políticas públicas de saúde.

#### **4 ACESSO A MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS VIA DECISÕES JUDICIAIS E OS PROCESSOS NORMATIVOS DE INCORPORAÇÃO DE MEDICAMENTOS DO SUS**

O acesso a medicamentos para doenças raras no Brasil constitui um dos maiores desafios enfrentados pelo Sistema Único de Saúde (SUS). A escassez de terapias aprovadas, o elevado custo de muitos desses medicamentos e a lentidão dos processos administrativos de incorporação tecnológica têm conduzido um número crescente de pacientes à via judicial como alternativa para garantir o tratamento necessário. Nesse contexto, a judicialização da saúde se torna um fenômeno marcante, especialmente no que diz respeito às doenças raras, cuja complexidade demanda uma abordagem diferenciada por parte do Estado.

Conforme acima já narrado, as doenças raras, por definição do Ministério da Saúde, afetam até 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos. Devido à sua baixa prevalência, o desenvolvimento de medicamentos para essas condições é limitado e geralmente envolve altos investimentos em pesquisa e desenvolvimento, o que reflete no preço final do produto. Além disso, muitos desses medicamentos, chamados “medicamentos órfãos”, não possuem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) ou não são incorporados ao SUS por meio da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), órgão responsável por avaliar a eficácia, segurança e custo-efetividade das tecnologias em saúde.

A atuação da CONITEC, instituída pela Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011, representa um dos pilares do processo normativo de incorporação de medicamentos ao SUS. Suas decisões são baseadas em critérios técnicos e científicos, além de análises de impacto orçamentário, o que pode resultar em certa morosidade na inclusão de novas terapias, principalmente quando se trata de medicamentos de alto custo para doenças de baixa incidência. Isso acaba criando um vácuo entre a necessidade clínica imediata dos pacientes e a oferta disponível na rede pública de saúde.

Diante desse cenário, a via judicial se apresenta como um mecanismo de urgência e pressão. Pacientes e familiares, muitas vezes amparados por laudos médicos e relatórios clínicos, recorrem ao Judiciário com o objetivo de obter a concessão do medicamento necessário, mesmo que ele ainda não esteja incorporado às diretrizes terapêuticas do SUS. As decisões judiciais, em grande parte, têm favorecido os pacientes, com base nos princípios

constitucionais da dignidade da pessoa humana, do direito à saúde (art. 6º e art. 196 da Constituição Federal) e da integralidade da assistência.

Contudo, a judicialização da saúde, embora represente um importante instrumento de efetivação de direitos, também traz implicações para o planejamento orçamentário e para a equidade no acesso às políticas públicas de saúde. O fornecimento de medicamentos fora dos protocolos clínicos estabelecidos pode comprometer a previsibilidade dos gastos públicos e gerar tratamento desigual entre os usuários do SUS, já que o acesso via decisão judicial acaba por beneficiar quem tem melhores condições de recorrer ao sistema judiciário.

Ainda assim, não se pode ignorar que, em muitos casos, a judicialização tem servido como catalisadora de mudanças institucionais. Há exemplos em que o volume de ações judiciais em torno de determinado medicamento levou à aceleração dos trâmites para sua análise e eventual incorporação pelo SUS. Isso evidencia que a via judicial pode atuar, simultaneamente, como mecanismo de acesso emergencial e como ferramenta de pressão sobre os órgãos responsáveis pela regulação sanitária.

Nesse sentido, o diálogo entre o Poder Judiciário e o Executivo tem se intensificado nos últimos anos, com o intuito de alinhar decisões judiciais com as diretrizes da política pública de saúde. A Recomendação nº 31/2010 do Conselho Nacional de Justiça (CNJ), bem como a criação de Núcleos de Apoio Técnico do Judiciário (NAT-JUS), são exemplos de iniciativas que visam fornecer subsídios técnicos aos magistrados, evitando decisões descoladas da realidade orçamentária e da política nacional de medicamentos.

Ademais, é fundamental que os processos normativos de incorporação de medicamentos no SUS sejam cada vez mais ágeis, transparentes e sensíveis às especificidades das doenças raras. A criação de políticas públicas específicas para doenças raras, como a Portaria nº 199/2014 do Ministério da Saúde, foi um passo importante, mas ainda insuficiente frente à complexidade do tema. A incorporação de medicamentos deve considerar, além da análise de custo-efetividade, a inexistência de alternativas terapêuticas, a gravidade da condição e o potencial de impacto na qualidade de vida do paciente.

Portanto, a discussão sobre o acesso a medicamentos para doenças raras não pode se limitar à dicotomia entre judicialização e incorporação normativa. É necessário pensar em um sistema que seja simultaneamente técnico e humanizado, capaz de garantir equidade, sustentabilidade e respeito à dignidade humana. O desafio posto ao SUS é o de equilibrar, de maneira ética e eficiente, a gestão de recursos públicos com a promoção do acesso a terapias inovadoras e de alto custo, sem depender exclusivamente da via judicial como única alternativa possível para os pacientes.

#### 4.1 DESAFIOS NO TRÂMITE LEGAL DE MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS

O trâmite legal para a disponibilização de medicamentos para doenças raras no Sistema Único de Saúde (SUS) envolve uma série de etapas técnicas, administrativas e jurídicas que, embora necessárias para garantir a segurança e eficácia dos tratamentos, representam significativos desafios à celeridade e à equidade no acesso. No contexto das doenças raras — caracterizadas por sua baixa prevalência e, muitas vezes, pela ausência de tratamentos consolidados, essas dificuldades se tornam ainda mais evidentes, comprometendo a efetivação do direito à saúde.

Um dos principais entraves está relacionado à morosidade do processo de incorporação de novas tecnologias em saúde, regulamentado pela Lei nº 12.401/2011. Essa norma estabelece que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) deve realizar análises baseadas em critérios técnico-científicos e econômicos, levando em conta a eficácia, a segurança, o custo-efetividade e o impacto orçamentário (Brasil, 2011). No entanto, para medicamentos destinados a doenças raras — que frequentemente não possuem estudos clínicos robustos devido à limitação de amostras —, a avaliação acaba sendo dificultada, o que atrasa ainda mais a tomada de decisão por parte do sistema público de saúde (Costa; Machado, 2020).

Outro desafio importante diz respeito à exigência de registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) como condição para o fornecimento de medicamentos no SUS. Muitos tratamentos para doenças raras são desenvolvidos fora do país, com registros aprovados apenas por agências internacionais, como a FDA (Estados Unidos) ou EMA (Europa). O processo de registro no Brasil, embora necessário para garantir a segurança do paciente, é complexo e pode levar anos, agravando a espera dos pacientes por tratamentos (Garrafa; Porto, 2003).

Além disso, há o desafio da escassez de dados epidemiológicos e da ausência de diretrizes clínicas específicas para muitas dessas doenças, o que dificulta a formulação de políticas públicas assertivas e o planejamento logístico e financeiro por parte do poder público. Segundo Silva (2018), a falta de uma política nacional estruturada voltada às doenças raras gera um cenário de desigualdade e insegurança tanto para pacientes quanto para profissionais de saúde, o que leva à judicialização como caminho recorrente para garantir o acesso a medicamentos. Nesse contexto, a judicialização surge não como exceção, mas como resposta à omissão ou lentidão estatal. No entanto, embora possa ser eficaz no caso concreto, essa via legal pode desestruturar as prioridades do SUS, já que decisões judiciais isoladas obrigam o sistema

a atender demandas individuais sem considerar o impacto coletivo e orçamentário (Chieffi; Barata, 2009).

Portanto, o trâmite legal de medicamentos para doenças raras exige não apenas revisão e aprimoramento de processos burocráticos, mas também a implementação de políticas públicas voltadas à agilidade na avaliação, registro e distribuição de terapias inovadoras. A articulação entre os órgãos reguladores, a produção científica e os direitos dos pacientes é indispensável para garantir que o acesso à saúde seja efetivo, equitativo e humanizado, mesmo diante de quadros clínicos tão específicos e delicados.

## **5 CONSIDERAÇÕES FINAIS**

O presente trabalho teve como objetivo analisar, sob uma perspectiva jurídica e administrativa, o trâmite necessário para que os cidadãos tenham acesso a medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras. Essa análise revelou uma realidade permeada por entraves burocráticos, deficiências estruturais e a frequente necessidade de intervenção judicial como meio de efetivação de direitos.

A Constituição Federal de 1988, em seu artigo 196, estabelece que a saúde é direito de todos e dever do Estado. No entanto, a realidade cotidiana mostra-se distante dessa previsão normativa, evidenciando a discrepância entre o texto constitucional e sua concretização prática.

Os processos de incorporação de medicamentos ao Sistema Único de Saúde (SUS), conduzidos pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), exigem rigorosas avaliações técnicas e econômicas. Embora essas exigências sejam necessárias para garantir a segurança dos usuários e o uso racional dos recursos públicos, acabam se tornando obstáculos consideráveis para aqueles que necessitam de tratamento imediato, especialmente em casos de doenças raras.

Nesse cenário, a judicialização da saúde emerge como resposta à lentidão ou omissão do Poder Público. O estudo revelou falhas e lacunas na formulação e na execução das políticas públicas de saúde, evidenciando que a intervenção judicial, embora assegure o acesso a tratamentos e medicamentos não disponíveis formalmente na rede pública, também provoca impactos significativos, principalmente no planejamento orçamentário do SUS.

A atuação do Poder Judiciário, apesar de garantir direitos fundamentais, pode gerar distorções no funcionamento do sistema público de saúde ao priorizar demandas individuais em detrimento de soluções coletivas. Assim, a judicialização configura-se como um instrumento ambíguo: ao mesmo tempo que viabiliza o acesso a muitos, revela a urgência de

uma reforma estrutural no setor e a necessidade de políticas públicas mais eficientes, justas e equitativas.

O estudo apontou ainda que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, instituída pela Portaria nº 199/2014, representou um marco importante no que se refere ao diagnóstico, tratamento e acompanhamento especializado. Contudo, mesmo após sua implementação, persistem diversos desafios: a escassez de medicamentos registrados pela ANVISA, a insuficiência de infraestrutura adequada e a carência de profissionais capacitados para o atendimento especializado a pacientes com essas condições.

Outro aspecto crítico é a morosidade na tramitação dos pedidos de incorporação de medicamentos, especialmente os classificados como “órfãos”, destinados a um número restrito de pacientes. A ausência de estudos clínicos robustos, decorrente da raridade das enfermidades, dificulta a realização das avaliações técnicas exigidas, o que culmina em um ciclo de ineficiência. Nesse contexto, muitos pacientes, diante da urgência do tratamento e da ineficiência administrativa, veem-se obrigados a recorrer ao Judiciário como última alternativa.

Ainda que cercada de contradições, a judicialização da saúde também exerce papel relevante como indutora de mudanças institucionais. Em diversos casos, a pressão gerada pelas decisões judiciais impulsiona revisões em políticas públicas e acelera a análise de medicamentos pela CONITEC. Todavia, torna-se urgente a construção de um sistema mais ágil, transparente e humanizado, capaz de conciliar o rigor técnico necessário à segurança com a sensibilidade indispensável ao atendimento das necessidades dos pacientes com doenças raras.

Buscar o equilíbrio entre o direito individual à saúde e a sustentabilidade das políticas públicas requer uma abordagem integrada. O desafio não está apenas em assegurar o acesso aos medicamentos, mas em estruturar um modelo de saúde justo, eficiente e inclusivo. Isso implica fortalecer a atuação da CONITEC, aprimorar os mecanismos de registro sanitário da ANVISA, fomentar a produção nacional de medicamentos, investir na capacitação dos profissionais de saúde e, sobretudo, colocar o paciente no centro das decisões políticas e administrativas.

Portanto, a garantia do acesso a medicamentos para doenças raras não deve depender exclusivamente da via judicial. A efetividade desse direito pressupõe a superação de entraves históricos, a ampliação de políticas públicas específicas e o comprometimento concreto com os princípios da universalidade, equidade e integralidade, que orientam o Sistema Único de Saúde.

Por fim, o respeito à dignidade da pessoa humana, especialmente em situações de vulnerabilidade, deve ser o alicerce das ações estatais. Somente com base nesse princípio será possível promover justiça social e assegurar que a saúde pública no Brasil seja verdadeiramente universal e acessível a todos.

## REFERÊNCIAS

- ALMEIDA, Mariana. **Política de saúde e doenças raras: Desafios e perspectivas no SUS**. Rio de Janeiro: Editora Fiocruz, 2018.
- BARROSO, L. R. (2015). "**Judicialização da saúde: o problema, os remédios e as causas**". Revista Direito e Saúde, 9(1), 15-40. O artigo discute o papel do Judiciário no fornecimento de medicamentos e os desafios enfrentados.
- BRASIL. Ministério da saúde. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. **Institui a política nacional de atenção integral às pessoas com doenças raras, no âmbito do sistema único de saúde – sus**. Diário oficial da união: seção 1, Brasília, df, p. 1–3, 31 jan. 2014.
- BRASIL. Ministério da saúde. Portaria nº 4.279, de 30 de dezembro de 2010. **Estabelece diretrizes para a organização da rede de atenção à saúde no âmbito do sistema único de saúde (sus)**. Diário oficial da união: seção 1, Brasília, df, p. 88–89, 31 dez. 2010
- CARDOSO, João Paulo. **Judicialização da saúde: Reflexões sobre os medicamentos para doenças raras**. São Paulo: Editora Jurídica, 2020.
- COSTA e SILVA, Carlos. **Sistema de saúde e medicamentos: Perspectivas para o SUS**. Brasília: Editora do Ministério da Saúde, 2021.
- FERREIRA, Rafael. **A judicialização da saúde e a eficiência das políticas públicas**. São Paulo: Editora Hucitec, 2022.
- LIMA, Carolina. **Assistência farmacêutica no SUS: Avanços e desafios**. São Paulo: Editora da Universidade de São Paulo, 2019.
- LOPES, Maria. **A judicialização da saúde no Brasil: Análise das implicações jurídicas e sociais**. Belo Horizonte: Editora UFMG, 2019.
- MELLO, Luciana. **O processo de incorporação de medicamentos no SUS**. São Paulo: Editora Saraiva, 2020.
- MINAYO, Maria Cecília de Souza. **O desafio do conhecimento: pesquisa qualitativa em saúde**. 15. ed. São Paulo: Hucitec, 2017.
- PEREIRA, Renato. **Sistema Único de Saúde: Histórico e desafios para a universalização**. Brasília: Editora Fiocruz, 2014.
- RIBEIRO, Adriana. **Judicialização da saúde e seus impactos no sistema público de saúde**. São Paulo: Editora Unesp, 2021.
- SOUZA, J. R. Judicialização do direito à saúde e medicamentos de alto custo: o dilema da sustentabilidade. **Revista Brasileira de Direito Público**, v. 12, p. 90-105, 2020.
- SCHEFFER, M.; SALAZAR, L. M. A.; GROUEVITCH, I. B. et al. O desafio da cobertura universal de medicamentos no SUS: entraves e possibilidades. **Cadernos de Saúde Pública**,

Rio de Janeiro, v. 35, supl. 2, p 1-15 , 2019. Disponível em: <https://www.scielo.br/j/csp/a/ZcZn88vSGUD7nPQGTFqCztJ/>. Acesso em: 20 jun. 2025

VIEIRA, F. S. A **Judicialização da Saúde e os Medicamentos de Alto Custo**: Aspectos Jurídicos e Econômicos. São Paulo: Editora Saraiva, 2018

RARE DISEASES INTERNATIONAL. **Vida com uma doença rara**. Disponível em: <https://www.rarediseasesinternational.org/pt-br/vivendo-com-uma-doenca-rara/>. Acesso em: 6 jun. 2025.