



UNIVERSIDADE FEDERAL DE PERNAMBUCO
CENTRO ACADÊMICO DA VITÓRIA

CAROLAYNE BARBOSA DE OLIVEIRA

**JUDICIALIZAÇÃO DAS DOENÇAS RARAS E SUAS POSSÍVEIS
REPERCUSSÕES NA GESTÃO DO SUS**

VITÓRIA DE SANTO ANTÃO

2025

UNIVERSIDADE FEDERAL DE PERNAMBUCO

CENTRO ACADÊMICO DA VITÓRIA

BACHARELADO EM SAÚDE COLETIVA

CAROLAYNE BARBOSA DE OLIVEIRA

**JUDICIALIZAÇÃO DAS DOENÇAS RARAS E SUAS POSSÍVEIS
REPERCUSSÕES NA GESTÃO DO SUS**

TCC apresentado ao Curso de Bacharelado em Saúde Coletiva da Universidade Federal de Pernambuco, Centro Acadêmico da Vitória, como requisito para a obtenção do título de bacharel em Saúde Coletiva.

Orientador(a): Prof.º Dr. José Ronaldo Vasconcelos Nunes

VITÓRIA DE SANTO ANTÃO

2025

Ficha de identificação da obra elaborada pelo autor,
através do programa de geração automática do SIB/UFPE

Oliveira, Carolayne Barbosa de.

Judicialização das doenças raras e suas possíveis repercussões na gestão do SUS
/ Carolayne Barbosa de Oliveira. - Vitória de Santo Antão, 2025.
35 p. : il.

Orientador(a): José Ronaldo Vasconcelos Nunes
(Graduação) - Universidade Federal de Pernambuco, Centro Acadêmico de
Vitória, , 2025.
Inclui referências.

1. doenças raras. 2. judicialização da saúde. 3. sistema único de saúde. I.
Nunes, José Ronaldo Vasconcelos. (Orientação). II. Título.

610 CDD (22.ed.)

CAROLAYNE BARBOSA DE OLIVEIRA

**JUDICIALIZAÇÃO DAS DOENÇAS RARAS E SUAS POSSÍVEIS
REPERCUSSÕES NA GESTÃO DO SUS**

TCC apresentado ao Curso de Bacharelado em Saúde Coletiva da Universidade Federal de Pernambuco, Centro Acadêmico da Vitória, como requisito para a obtenção do título de bacharel em Saúde Coletiva.

Aprovado em: 11/04/2025.

BANCA EXAMINADORA

Profº. Dr. José Ronaldo Vasconcelos Nunes (Orientador)
Universidade Federal de Pernambuco

Profº. Dr. Mercês de Fátima dos Santos Silva (Examinador Interno)
Universidade Federal de Pernambuco

Me. Marcelo Victor de Arruda Freitas (Examinador Externo)
Secretaria de Saúde e Bem-Estar de Vitória de Santo Antão

Dedico esse trabalho a Deus e a todos que me apoiaram nessa jornada, em especial, a minha mãe e namorado que sempre estiveram comigo, nos dias bons e ruins.

AGRADECIMENTOS

Agradeço, primeiramente, a Deus e a Nossa Senhora por serem meu ponto de equilíbrio e paz e por estarem comigo nos momentos de ansiedade, medo e tristeza me dando forças para prosseguir, me guiando e iluminando nos caminhos mais escuros.

Sou grata a minha mãe, Claudécia Barbosa, minha heroína, que foi mãe e pai ao mesmo tempo, uma guerreira que batalhou com afincos para que sua única filha pudesse obter seu diploma e ter uma vida melhor, e a minha avó paterna, Maria José *in memoriam*, que em conjunto com minha mãe fez o que estava a seu alcance para que sua neta prosperasse e realizasse seus sonhos.

Pai, mesmo com sua ausência e apesar dela, sou grata por tudo o que o senhor fez por mim, compreendeu a importância que os estudos tinham em minha vida e me auxiliou nos momentos em que precisei.

Meus avós, paternos Maria José e Antônio Marcionilo *in memoriam* e aos maternos Doralice Ferreira e Antônio Barbosa, que ajudaram a me criar e sempre estiveram ao meu lado, aquela garotinha que andava grudada com os avós para todo lado só tem a agradecer pelas boas memórias.

Aos meus tios, Claine, José, Cleiton, Jane e Clênio, obrigada por todo apoio, em especial a Clênio Barbosa, este que foi mais que um tio, foi irmão, amigo e professor, esteve ao meu lado nos anos iniciais, antes mesmo de obter seu diploma, e mesmo agora está comigo me incentivando a prosseguir e não desistir.

Jeyms Alves, meu namorado, que me ajudou nessa jornada, que foi o ensino superior, muito obrigada por todo incentivo, amor e carinho. Com você os dias ficaram mais leves e alegres.

Agradeço também aos meus primos, irmãos e amigos não citarei nomes, mas vocês são especiais e sempre estiveram comigo, serão os próximos a obterem seus diplomas e estarei ao lado de vocês comemorando e vibrando por suas conquistas. Enfim, sou grata a minha família por sempre incentivarem a buscarmos por uma vida melhor e a lutarmos pelos nossos sonhos.

Aos queridos mestres, todos os professores que contribuíram com minha formação, em especial ao meu orientador, Ronaldo Vasconcelos, sou grata pelo apoio, incentivo, paciência, por toda dedicação e auxílio durante esse processo.

A todos, meu mais sincero agradecimento!

RESUMO

Este trabalho teve por objetivo analisar as repercussões da judicialização das doenças raras na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS). Para tanto, foi utilizada uma revisão de literatura integrativa que analisou artigos produzidos entre os anos de 2010 a 2025 disponíveis nas seguintes bases de dados: Scielo, BVS e google acadêmico também utilizou-se os operadores booleanos AND e OR para refinamento das buscas. A revisão foi executada respeitando seis etapas metodológicas, e a amostragem para compor a presente pesquisa foi de 13 artigos e, por meio da análise de conteúdo criou-se três categorias, sendo elas Efeitos da judicialização no SUS; Complexidade dos cuidados com portadores de doenças raras: A busca dos caminhos de efetivação da assistência e Repercussões da judicialização de tratamentos/medicamentos para doenças raras na gestão do SUS, as quais evidenciaram que é de suma importância estudar a presente temática, pois esta ocasiona implicações no campo da Saúde, nos âmbitos sociais e econômicos, já que afeta no financiamento do SUS e na distribuição de medicamentos. Assim, diante de todo o contexto encontrado, é imprescindível o investimento em pesquisas e no desenvolvimento, tanto de medicamentos/tratamentos, quanto de políticas públicas, voltadas para as doenças raras, contribuindo para amenizar as problemáticas ocasionadas.

Palavras-chave: doenças raras; judicialização da saúde; sistema único de saúde.

ABSTRACT

This study aimed to analyze the repercussions of the judicialization of rare diseases in the management of the Unified Health System (SUS). To this end, an integrative literature review was conducted, analyzing articles produced between 2010 and 2025 available in the following databases: Scielo, BVS, and Google Scholar. Boolean operators AND and OR were also used. The review was conducted following six methodological steps, and the sample for this research consisted of 13 articles. Through content analysis, three categories were established: Effects of judicialization on SUS; Complexity of care for individuals with rare diseases: Seeking paths to effective assistance; and Repercussions of the judicialization of treatments/medications for rare diseases in SUS management. These categories highlighted the crucial importance of studying this topic, as it has implications in the health sector, social and economic spheres, affecting SUS funding and medication distribution. Therefore, given the entire context, investment in research and development, both in terms of medications/treatments and public policies aimed at rare diseases, is essential to mitigate the associated challenges.

Keywords: rare diseases; judicialization of health; unified health system.

SUMÁRIO

1 INTRODUÇÃO	9
2 REVISÃO DE LITERATURA	12
2.1 Panorama acerca da judicialização da saúde	12
2.2 Doenças raras: conhecimento, diagnóstico e cuidados	13
2.3 Judicialização das doenças raras e suas possíveis repercussões	15
3 OBJETIVOS	18
3.1 Objetivo Geral	18
3.2 Objetivos Específicos	18
4 METODOLOGIA	19
4.1 Tipologia do estudo	19
4.2 Local do estudo	19
4.3 Coleta de dados	19
4.4 Processamento e análise dos dados	20
4.5 Questões éticas	20
5 RESULTADOS E DISCUSSÕES	22
5.1 Efeitos da judicialização no SUS	26
5.2 Complexidade dos cuidados com os portadores de doenças raras: a busca dos caminhos de efetivação da assistência	27
5.3 Repercussões da judicialização de tratamentos/medicamentos para doenças raras na gestão do SUS	29
6 CONSIDERAÇÕES FINAIS	32
REFERÊNCIAS	33

1 INTRODUÇÃO

O Sistema Único de Saúde (SUS) surgiu em um contexto de proteção social repleto de adversidades, no Brasil. A saúde pública, após muitas lutas e reivindicações, passou a ser compreendida como um direito de todos os cidadãos, garantida na Constituição Federal de 1988. O SUS pode ser considerado um marco histórico, um dos maiores e mais complexos sistemas de saúde pública do mundo.

Entre os princípios do SUS destaca-se o da integralidade, o qual garante que qualquer indivíduo tenha acesso a um tratamento integral, levando em consideração todas as suas necessidades de saúde, de forma a considerar as dimensões: social, física, mental e espiritual. Sendo, portanto, a garantia da assistência em saúde diversa e complexa uma característica que exige do sistema respostas a problemas sanitários muitas vezes não cotidianos, como por exemplo as chamadas doenças raras (D'Ippolito; Gadelha, 2019).

Segundo a Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR), são consideradas doenças raras aquelas que afetam até 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos, ou seja, um baixo número de pessoas, ocorrendo, em sua maioria, por meio de fatores relacionados à genética, a causas infecciosas, imunológicas, entre outras (Brasil, 2014).

No Brasil, há uma estimativa de 16 a 17 milhões de pessoas que vivem com alguma destas patologias (Novaes; Soárez, 2019), fazendo com que haja uma parcela significativa de usuários em busca de medicamentos e/ou tratamentos específicos, que por muitas vezes podem não estar incluídos, respectivamente, na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) e/ou na Relação Nacional de Ações e Serviços de Saúde (RENASES), ou seja, não estão a disposição no SUS, o que faz com que os mesmos optem por processos judiciais para que haja acesso a bens e serviços em saúde (Brasil, 1990).

A judicialização da saúde é um fenômeno complexo que ocorre em decorrência de ações judiciais contra o SUS. Recorre-se a este meio quando as vias administrativas não atendem às necessidades dos usuários, fazendo-os reivindicarem medicações, insumos e/ou tratamentos médicos com base no direito constitucional à saúde. Através desses processos instiga-se uma resposta legítima dos agentes públicos, tanto do sistema de justiça quanto do setor saúde, a alegação utilizada para

a obtenção dos recursos desejados é a deficiência da rede prestadora de serviços (Rechmann, 2018).

Há consenso quando o assunto é o aumento de contendas jurídicas envolvendo o fenômeno da judicialização da saúde e observa-se, em especial, seus efeitos no âmbito do SUS enquanto política pública que visa garantir o acesso da mesma aos cidadãos (Freitas; Fonseca; Queluz, 2020; Pascarelli; Pereira, 2022; Wang; Terrazas; Ferreira, 2021). Neste cenário, abre-se um parêntese para destacar processos judiciais que envolvam as doenças raras como forma de assegurar que pessoas acometidas por essas enfermidades, que em grande demandam tratamentos complexos e de alto custo.

Quando o tema é judicialização da saúde, observa-se uma dualidade entre salvar uma vida, mediante o dispêndio de altas quantias financeiras, e considerar a manutenção da prestação de serviços no combate a doenças tidas como “comuns”, como diabetes e/ou hipertensão, que embora tenham, teoricamente, um dispêndio de recursos financeiros reduzido, podem abranger um quantitativo elevado de pessoas (Nunes; Lehfeld, 2021). Porém, como já falado anteriormente, um dos princípios do SUS assegura a integralidade do acesso, o que faz com que o sistema precise responder e atender às necessidades desses indivíduos.

A judicialização da saúde relacionada às doenças raras, objeto do presente estudo, caracteriza-se por situações de pessoas adoecidas, cujo tratamento pode estar incluso em alguma das listas oficiais do SUS, e apesar disso, não tenham sido fornecidos regularmente. Entende-se que nesse caso possa ter havido falhas na prestação da assistência farmacêutica por parte do Estado, dificultando o cuidado à saúde, uma vez que esses medicamentos podem vir a ser de uso prolongado (Rechmann, 2018).

Diante desse cenário será feito um estudo abordando diversas perspectivas de estudiosos sobre o tema, tendo como principal ponto de discussão a judicialização das doenças raras como um meio para garantir o acesso ao direito fundamental da saúde. Expondo informações acerca da temática e dos principais efeitos que a mesma pode acarretar em relação às políticas públicas de saúde.

Compreende-se a importância de analisar sobre o assunto supracitado, principalmente, pelas implicações no campo da Saúde, e suas possíveis repercussões nos âmbitos sociais e econômicos, já que afeta no financiamento do SUS, considerando que gasta-se valores exorbitantes para a compra dos tratamentos e/ou

medicações solicitadas. Em relação ao acesso a medicamentos, considera-se a possibilidade de existir um reduzido interesse da indústria farmacêutica, em decorrência do pouco faturamento que a produção de drogas órfãs pode gerar. Também valoriza-se nesse estudo a interação entre os Poderes Judiciário e Executivo em associação com a implementação de políticas públicas voltadas para as doenças raras.

Convém deixar claro que percebe-se dificuldades no levantamento de conhecimento sobre o objeto pelo pouco quantitativo de obras elaboradas que se debruçam sobre a temática ou que objetivam se aprofundar na mesma; algo que torna estudos como esse essenciais para a sociedade científica e para os gestores da rede de saúde pública. Pois, podem esclarecer possíveis dúvidas relacionadas ao tema em questão e aos seus possíveis efeitos, em especial na gestão do SUS, o que poderá auxiliar na tomada de decisão e aprimorar as ações e serviços de saúde. Diante de tudo exposto, a pesquisa buscará responder a seguinte pergunta norteadora, como a judicialização das doenças raras repercute na gestão do Sistema Único de Saúde?

2 REVISÃO DE LITERATURA

2.1 Panorama acerca da judicialização da saúde

A história da judicialização da saúde no Brasil demonstra que seu início deu-se por meio de processos judiciais tanto individuais quanto coletivos, que ocorreram no princípio da década de 1990. Indivíduos que conviviam com o HIV/AIDS começaram a buscar por seus direitos, lutando para ter acesso a procedimentos médicos e remédios que lhes proporcionassem uma melhor qualidade de vida, a partir dos preceitos garantidos na Constituição (Ventura *et al.*, 2010). A positivação do direito à saúde caracterizou uma nova relação entre a norma legal e a condução da saúde pública.

Os campos da Saúde e do Direito são deveras politizados. Tendo como espectadores dessa interação as instituições jurídicas e sanitárias, que possuem uma importância relevante nas interações sociais e na formulação de estratégias de reivindicação de direitos pelos indivíduos envolvidos. No Brasil, a relação entre direito e saúde assumiu seu atual modelo há pouco mais de 35 anos, a contar da Constituição Federal de 1988. Essa consolidação foi fruto de amplos debates que envolveram grupos de pressão, sociedade civil e Estado (Asensi; Pinheiro, 2015).

A judicialização da saúde pública é considerada um fenômeno de admirável complexidade, definindo-se por ações judiciais propostas contra o Poder Público para a obtenção do custeio de bens e serviços de saúde. Nos últimos anos o quantitativo dessas ações tem crescido exponencialmente, nas três esferas de governo, sendo elas a Federal, Estadual e Municipal (Wang; Terrazas; Ferreira, 2021). As condições complexa e multifacetada que caracterizam a judicialização da saúde encontram respaldo na conjuntura, que abarca a diversidade das demandas judiciais, as questões éticas envolvidas, as implicações financeiras e as lacunas legislativas, visto que, embora a legislação brasileira garanta o direito à saúde, a mesma apresenta lacunas e divergências interpretativas, o que dificulta a tomada de decisão e gera insegurança jurídica (Freitas; Fonseca; Queluz, 2020).

São as referidas lacunas tratadas pelos autores supracitados que retardam ou inviabilizam tomadas de decisão importantes no tocante à gestão em saúde, pois, com a ausência de diretrizes e normativas pertinentes ao assunto, o concreto torna-se abstrato fazendo com que cidadãos comuns ou os gestores da saúde não saibam que

rumo seguir, pois uma mesma demanda a depender do processo pode ser julgada de diversas maneiras.

Com o avançar dos anos, emergiram novas necessidades de saúde o que ocasionou em um aumento circunstancial da judicialização da saúde, isso decorre, dentre outros fatores, do subfinanciamento do SUS, isso dificulta o fornecimento de remédios e tratamentos em uma quantidade satisfatória para suprir com as carências de saúde da população (Pascarelli; Pereira, 2022). As doenças raras (DR's), que por serem, como o próprio nome faz compreender, raras, há um escasso número de tratamentos medicamentosos efetivos, e por essa razão, existem poucas drogas criadas, sendo essas denominadas de “drogas órfãs” ou “medicamentos órfãos”, tornando-as de alto custo, ou fazendo com que não estejam incluídas na RENAME e na RENASES, por não terem sido avaliadas pela Agência Nacional de Vigilância em Saúde (ANVISA) (Rechmann, 2018).

2.2 Doenças raras: conhecimento, diagnóstico e cuidados

No Brasil, a definição adotada para conceituar Doenças Raras (DR's) é a utilizada pela Organização Mundial de Saúde (OMS), nesta consideram-se raras aquelas doenças que acometem até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos. Estima-se que existam, aproximadamente, de seis a oito mil doenças raras catalogadas no mundo (Novaes; Soárez, 2019). Ademais, sabe-se que cerca de 75% das DRs se manifestam no início da vida, entre 0 e 5 anos de idade, e contribuem significativamente para a morbimortalidade nos primeiros 18 anos de vida (Pascarelli; Pereira, 2022).

A baixa incidência de uma doença rara resulta na limitada oferta de medicamentos disponíveis no mercado para seu tratamento. Os poucos remédios existentes, tanto por falta de concorrência quanto pelo alto investimento e baixa produção, pois não despertam o interesse da indústria farmacêutica, são vendidos a valores exorbitantes em contraste com medicamentos disponíveis para a maioria dos tratamentos de doenças mais corriqueiras (D'Ippolito; Gadelha, 2019; Interfarma, 2013).

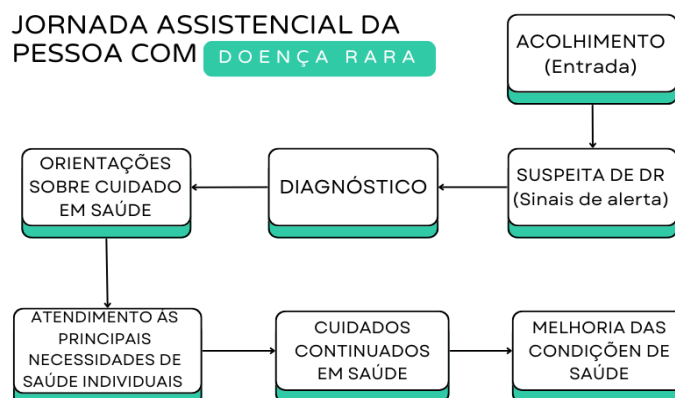
Sobre suas características, via de regra, elas apresentam-se a partir de um adoecimento progressivo, degenerativo e incapacitante, tendo necessidades assistenciais complexas no que diz respeito ao diagnóstico, acompanhamento e

tratamento. Com esse fato, acaba por ser imprescindível cuidados contínuos e ações multidisciplinares, integradas e multiprofissionais. As DR's tendem a causar, nas pessoas acometidas e em seus familiares sofrimentos exacerbados, tanto físicos quanto psicossociais, pois consistem em um grupo de problemas de saúde numeroso e diverso, são exemplos de DR's fibrose cística, condição hereditária que prejudica o funcionamento dos pulmões e o sistema digestivo; Atrofia Muscular Espinhal (AME), doença genética que afeta os músculos, causando fraqueza progressiva e Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA), condição neurodegenerativa que afeta os neurônios motores, causando a perda da capacidade muscular (Nunes; Lehfeld, 2021; Brasil, [s.d.]).

Em decorrência da sua raridade, um grande número de equipes de saúde tem dificuldades em determinar diagnóstico com exatidão e definir os cuidados de saúde adequados (Nunes; Lehfeld, 2021). Aqueles profissionais de saúde que detêm maior aptidão para lidar com essas condições são aqueles que lidam com genética, como os geneticistas, os que trabalham em centros de pesquisa ou de referência, ou em hospitais universitários (Novaes; Soárez, 2019; Brasil, [s.d.]). Este fato pode revelar as possíveis potencialidades e fraquezas da gestão do SUS, pois necessitará de processos relacionais com profissionais de diversas áreas que conduzirão os tratamentos em distintos serviços de saúde, para que eles possam ter suas necessidades atendidas (D'Ippolito; Gadelha, 2019; Lima; Gilbert; Horovitz, 2018).

Em vista disso, elaborou-se a portaria GM/MS nº 199 de 30 de janeiro de 2014, que institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR), a qual estabelece incentivos financeiros e os protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT), os últimos tendo como foco unificar os estudos existentes acerca das DR's para que os profissionais de saúde e as famílias compreendam os passos para cuidar desses pacientes (Brasil, 2014). Ademais, o Ministério da Saúde desenvolveu um fluxograma sobre a jornada assistencial da pessoa com DR's, o mesmo encontra-se ilustrado a seguir:

Figura 1 - Fluxograma da jornada assistencial da pessoa com Doença Rara.



Fonte: Adaptado do Ministério da Saúde (2025).

As DR's comumente ocasionam inúmeras implicações na qualidade de vida dos portadores, resultando em condições que podem ser graves e até levar à morte. Por vezes, os sinais e sintomas de parte dessas condições podem ser confundidos com doenças habituais, o que pode atrasar o diagnóstico, acabando por se tornar um contratempo para o SUS, levando em conta que ocasionalmente podem coexistir com epidemias e outros agravos de saúde que afetam a população brasileira (Rechmann, 2018; Brasil, [s.d.]). Todo esse panorama resulta em processos judiciais envolvendo as DR's, tendo como foco a garantia do direito fundamental à saúde que são garantidos por meio de tratamentos e/ou medicamentos que possam proporcionar uma melhor qualidade de vida para os pacientes.

2.3 Judicialização das doenças raras e suas possíveis repercussões

A judicialização das DR's ocorre, em sua maioria, pela demanda judicial por tratamentos e/ou medicamentos que em grande parte são, respectivamente, complexos e de alto custo financeiro. Ademais, é válido ressaltar que o SUS não disponibiliza em suas listas fármacos que não foram registrados pela ANVISA, que é o caso da maior parte dos tratamentos para as DR's (Nunes; Lehfeld, 2021). Ademais, de acordo com dados disponibilizados pelo Ministério da Saúde, só entre os anos de

2010 á 2015 os gastos com demandas judiciais saltaram de 139,6 milhões para 1,2 bilhão, sendo a maior parte relacionada a demandas das DR's (Thomé, 2016).

Outrossim, existem casos em que o tratamento pode estar incluso em alguma das listas oficiais do SUS, e apesar disso, não ter sido fornecido regularmente. Nestes casos entende-se que possa ter havido falhas na prestação da assistência farmacêutica por parte do Estado, dificultando o cuidado à saúde, uma vez que esses medicamentos podem vir a ser de uso prolongado (Rechmann, 2018).

Um exemplo recente de decisão judicial favorável é o caso do menino Gabriel Carvalho Zamboni, de 2 anos, que recebeu o medicamento Zolgensma, utilizado no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME). O remédio, cujo custo é de 6 milhões de reais, foi aprovado pela Anvisa em 2020 (G1, 2024).

Contamos, ainda, com a dificuldade de estabelecer a coerência entre o direito vigente e o direito vivido. Ou seja, o direito vigente, que reconhece o direito à saúde de forma universal, integral e gratuita, como uma lei justa. E o direito vivido, que aponta violações diárias decorrentes das profundas desigualdades sociais e pessoais, combinadas com as deficiências dos sistemas públicos de saúde, que espelham a incapacidade do Estado (ou a ausência de vontade política) de atender às necessidades dos cidadãos. (Ventura *et al.*, 2010, p.94).

Sob a perspectiva de política pública de saúde, arcar com os custos de um tratamento excepcionalmente caro pode provocar efeitos financeiros negativos, e que será benéfico apenas para um pequeno quantitativo de pessoas, acarretando em um desvio orçamentário que poderia ser destinado a uma maior quantidade de pessoas, podendo prejudicar o interesse de um coletivo (D'Ippolito; Gadelha, 2019; Nunes; Lehfeld, 2021).

É importante salientar, que o direito fundamental à saúde é assegurado na Lei nº 8.080/90, pleiteado na Constituição Federal de 1988 nos artigos 6º e 196, nos quais o Estado assume o encargo de garantir o mesmo, por intermédio de formulação e execução de políticas sociais e econômicas que visam a diminuição dos agravos e doenças, bem como propiciar o acesso integral, universal e equânime aos bens e serviços de saúde que possibilitem a promoção, proteção e recuperação da saúde (Brasil, 1990; Rechmann, 2018). Essa situação leva os familiares a recorrerem às vias judiciais para garantir o acesso aos tratamentos adequados às suas necessidades de saúde. Em muitos casos, isso também envolve a participação de movimentos sociais, grupos ou associações relacionadas às DR's, que oferecem apoio e ampliam a visibilidade das demandas.

Ademais, em 17 de outubro de 2024, o Supremo Tribunal Federal (STF) estabeleceu um novo regramento, debatido no Recurso Extraordinário (RE) 566.471 (tema 6), por meio de um acordo interfederativo, determinando que medicamentos não incluídos nas listas de dispensação do SUS não poderão ser disponibilizados por via judicial (Brasil, 2024). Essa decisão gerou ampla repercussão nas mídias sociais, especialmente entre grupos e associações ligados às doenças raras. Essas organizações têm desempenhado um papel crucial na discussão do tema, oferecendo orientações e apoio aos que necessitam, além de promoverem ações coletivas para ampliar o debate e assegurar direitos (Lima; Gilbert; Horovitz, 2018).

O estímulo ao controle social deve ser promovido pelos gestores em todos os níveis, podendo ocorrer por meio de enquetes e consultas públicas realizadas pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). Essas iniciativas têm como objetivo identificar temas que necessitem de avaliação prioritária e incorporar a opinião pública na formulação de recomendações (Brasil, 2011). Além disso, é essencial incluir associações e grupos no processo, garantindo que suas vozes sejam ouvidas e ampliando o acesso a informações sobre novas tecnologias voltadas às DR's.

“Esse movimento associativo de pessoas com DR's e seus familiares estabelecem redes, expandem fronteiras identitárias e ampliam seus limites geográficos, o que tem permitido transformar indivíduos em sujeitos.” (Novaes; Soárez, 2019, p.350) .Um aspecto importante a ser destacado sobre as associações é que sua “luta” por direitos não se limita apenas à saúde, mas também abrange questões sociais, como aposentadoria, isenção de tributos, acesso à educação, entre outros. Por conta disso, essas organizações são amplamente reconhecidas como agentes de transformação (Lima; Gilbert; Horovitz, 2018). Nesse contexto, torna-se evidente o impacto significativo que as ações desses grupos geram na sociedade e nos casos de judicialização das DR's.

3 OBJETIVOS

3.1 Objetivo Geral

Analisar as repercussões da judicialização das doenças raras na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS).

3.2 Objetivos Específicos

- a) Problematizar o fenômeno da judicialização de medicamentos/tratamentos;
- b) Compreender a relação entre judicialização, doenças raras e gestão do SUS;
- c) Identificar os efeitos da judicialização das doenças raras no âmbito da gestão do SUS.

4 METODOLOGIA

4.1 Tipologia do estudo

O estudo trata-se de uma revisão integrativa de literatura, método que permite analisar e sintetizar os estudos existentes, promovendo uma ampla diversidade de perspectivas sobre a temática. Essa abordagem possibilita identificar lacunas no conhecimento atual e propor direcionamentos para pesquisas futuras. Além disso, utilizará uma metodologia qualitativa, que busca compreender a profundidade e a complexidade de fenômenos sociais, explorando significados, interpretações e experiências subjetivas, valorizando a riqueza e a diversidade dos dados coletados (Souza; Silva; Carvalho, 2010; Gil, 2007).

4.2 Local do estudo

Foram analisados estudos disponíveis nas seguintes bases de dados: BVS, SciELO, Google acadêmico (literatura cinzenta) e os descritores utilizados no DECS são: Doenças raras, judicialização da saúde e Sistema Único de Saúde. Além disso, utilizou-se os operadores booleanos AND e OR. Os artigos usados para a construção do presente estudo foram publicados em revistas brasileiras.

4.3 Coleta de dados

A revisão foi executada respeitando seis passos Souza; Silva; Carvalho, (2010); Gil, (2007), sendo elas:

- A elaboração da pergunta norteadora, neste momento definiu-se o foco do estudo e orientou o processo de análise dos trabalhos;
- A busca ou amostragem na literatura nas bases de dados que foram realizadas de forma ampla e diversificada, abarcando a procura em bases eletrônicas e análise das referências descritas nos estudos escolhidos;
- Para coleta de dados foram utilizados dois instrumentos, um deles foi o **Quadro 1** e o outro foi o zotero, ambos possuindo a capacidade de assegurar que todos os dados relevantes tenham sido extraídos, o que

oportunizou minimizar os riscos de erros na transcrição, garantindo a precisão na checagem das informações e servindo como registros;

- Análise crítica dos estudos incluídos, fez-se uso de uma abordagem organizada para considerar o rigor e as características de cada estudo;
- A discussão dos resultados, com base na interpretação e síntese dos artigos selecionados, aferiu-se os dados expostos na análise dos dados ao referencial teórico. Além de identificar possíveis lacunas do conhecimento;
- Buscou-se por fim apresentar a revisão integrativa de modo claro e completo, no sentido de permitir ao leitor avaliar criticamente os resultados.

Foram considerados como critérios de inclusão estudos originais e revisões de literatura que abordam a temática da presente pesquisa, sendo eles publicados no idioma português (Brasil) que tenham sido publicados no período de 2010 a 2025. Como critérios de exclusão, os artigos não disponíveis na íntegra ou que não estejam com o acesso liberado (Souza; Silva; Carvalho, 2010; Gil, 2007).

4.4 Processamento e análise dos dados

Foi aplicada um processo organizado para considerar os pontos cruciais de cada estudo, para isso utilizou-se da técnica de Bardin (2011), por meio da mesma pôde-se definir três categorias, prezando pela clareza, evitando ambiguidades para que houvesse a consistência de dados; relevância, almejando garantir que estivessem de acordo com os objetivos da pesquisa; exclusividade, evitou sobreposições e garantiu a objetividade da análise e a homogeneidade, os elementos agrupados nas categoria são semelhantes. Por meio do uso dessa análise objetivou-se uma compreensão mais abrangente e atual dos fenômenos estudados, o que ocasionou na construção de uma tabela com dados de interesse, a saber: ano e local do estudo, autores, título e objetivo do estudo, que estão apresentados em tabela nos resultados.

4.5 Questões éticas

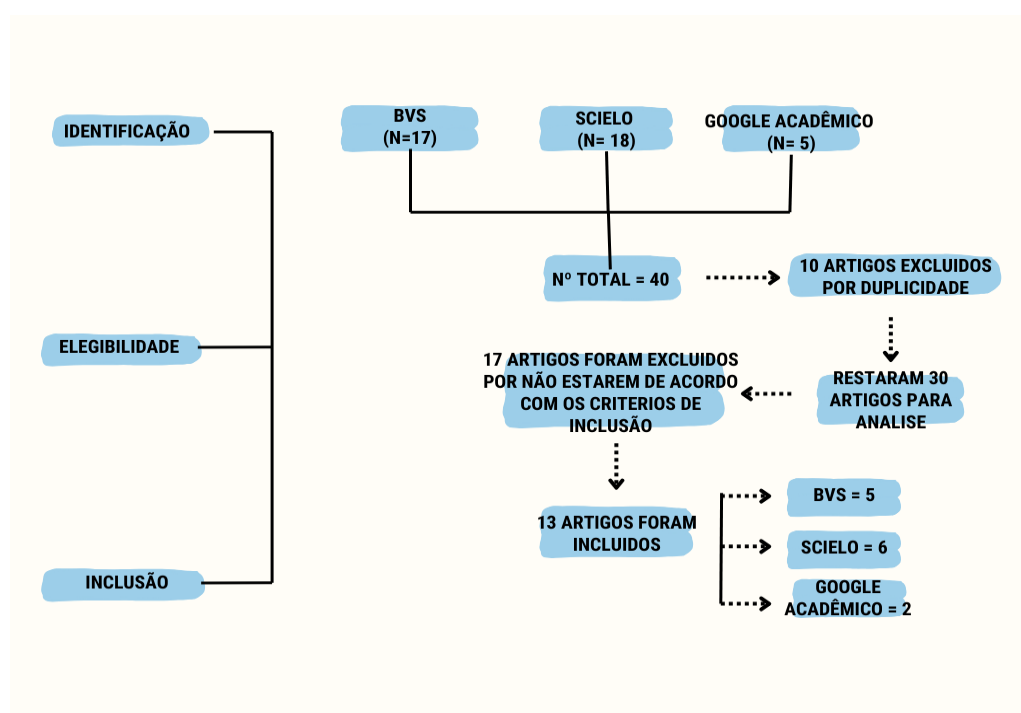
De acordo com a resolução do Conselho Nacional de Saúde (CNS) Nº 466 de 12 de dezembro de 2012, quaisquer pesquisas que usem dados de origem

secundária, e artigos que sejam de domínio público, não informando dados pessoais ou que assegurem a confidencialidade, estarão isentas de serem submetidas ao Comitê de Ética em Pesquisa.

5 RESULTADOS E DISCUSSÕES

Através da coleta de dados pôde-se identificar 40 artigos os quais foram analisados e por meio dos critérios de inclusão e exclusão foram definidos 13 destes como base para a produção do presente estudo (**figura 2**). É importante ressaltar que alguns desses trabalhos podem ser encontrados nas três bases de dados selecionadas.

Figura 2 - Fluxograma de seleção dos artigos



Fonte: A autora (2025).

A caracterização dos artigos incluídos abrange desde a análise da judicialização no acesso à saúde até o estudo do impacto econômico e social das doenças raras no SUS, destacando as repercussões desses fatores na gestão do sistema. Os mesmos estão listados abaixo, apresentando os dados considerados de interesse para a pesquisa (**Quadro 1**).

Quadro 1 – Dados de interesse para a pesquisa

ANO E LOCAL	AUTORES	TÍTULO	OBJETIVO DO ESTUDO
2019; Brasil	D'IPPOLITO, P. I. M. C.; GADELHA, C. A. G.	O tratamento de doenças raras no Brasil: a judicialização e o Complexo Econômico-Industrial da Saúde	Analisar a interação entre a judicialização da saúde e o desenvolvimento do CEIS no contexto do tratamento de doenças raras no Brasil.
2023; Brasil	FLORIANO, F. R. et al.	Estratégias para abordar a judicialização da Saúde no Brasil	Analisar o crescente fenômeno da judicialização da saúde no Brasil, ou seja, o uso do sistema judicial para garantir acesso a tratamentos, medicamentos e procedimentos de saúde.
2020; Brasil	FREITAS, B. C.; FONSECA, E. P.; QUELUZ, D. P.	A judicialização da saúde nos sistemas público e privado de saúde	Analisar o fenômeno da judicialização da saúde nos sistemas público e privado, buscando compreender suas particularidades, os desafios que impõe e as possíveis soluções para garantir o acesso à saúde de forma mais justa e eficiente.
2018; Brasil	GADELHA, C. A. G.; TEMPORÃO, J. G.	Desenvolvimento, Inovação e Saúde: a perspectiva teórica e política do Complexo Econômico-Industrial da Saúde	Analisar o Complexo Econômico-Industrial da Saúde como um motor de desenvolvimento econômico e social, destacando a importância da inovação tecnológica e das políticas públicas para o crescimento do setor.
2013; Brasil	INTERFARMA.	Doenças Raras: Contribuições para uma Política Nacional	Analisar o cenário das doenças raras no Brasil e contribuir para a construção de uma política nacional abrangente e eficaz.
2018; Brasil	LIMA, M. A. D. F. D. D.; GILBERT, A. C. B.; HOROVITZ, D. D. G.	Redes de tratamento e as associações de pacientes com doenças raras.	Analisar como as associações de pacientes com doenças raras utilizam as redes de tratamento, incluindo as redes sociais virtuais, para facilitar o acesso ao tratamento no Brasil.
2015; Brasil	NETO, J. P. G.; SCHULZE, C. J.	Direito à saúde. Análise à Luz da judicialização	Analisar o fenômeno da judicialização da saúde no Brasil à luz do direito fundamental à saúde, buscando compreender seus diferentes aspectos, seus impactos e suas possíveis soluções.

2019; Brasil	NOVAES, H. M. D., SOÁREZ, P. C.	Doenças raras, drogas órfãs e as políticas para avaliação e incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde.	Analisar as políticas de avaliação e incorporação de tecnologias em saúde, com foco em doenças raras e drogas órfãs, buscando identificar os desafios e propor soluções para garantir o acesso a tratamentos eficazes e equitativos para pacientes com essas condições.
2021; Brasil	NUNES, D. H.; LEHFELD, L. S..	Saúde e doenças raras: análise da judicialização do acesso ao tratamento e suas limitações	Analisar o papel da judicialização no acesso a tratamentos para doenças raras, buscando compreender seus benefícios, suas limitações e suas implicações para o sistema de saúde e para os pacientes.
2022; Brasil	PASCARELLI, D. B. N.; PEREIRA, É. L.	Doenças raras no Congresso Nacional brasileiro: análise da atuação parlamentar.	Analisar a atuação do Congresso Nacional brasileiro em relação às doenças raras, buscando compreender como o tema tem sido tratado no âmbito legislativo e quais as implicações para as políticas públicas e o acesso a tratamentos para pacientes com essas condições.
2018; Brasil	RECHMANN, Itana.	Portadores de doenças raras e as demandas judiciais individuais para obtenção de medicamentos de alto custo previstos nas listas oficiais	Analisar o fenômeno das demandas judiciais individuais por medicamentos de alto custo para doenças raras, mesmo quando esses medicamentos constam nas listas oficiais do governo, buscando compreender as causas, os desafios e as implicações dessa situação.
2010; Brasil	VENTURA, Miriam <i>et al</i>	Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde	Analisar a judicialização da saúde como instrumento de acesso à justiça e sua efetividade na garantia do direito à saúde, buscando compreender seus benefícios, desafios e implicações para o sistema de saúde e para os cidadãos.
2021; Brasil	WANG, D. W. L.; TERRAZAS, F. V.; FERREIRA, J. A.	Coleção judicialização da saúde nos municípios	Fornecer informações e análises sobre o tema da judicialização da saúde no âmbito municipal, buscando contribuir para o debate e para a formulação de políticas públicas que garantam o acesso à saúde de forma justa e eficiente.

Fonte: A autora (2025).

Na análise dos estudos, nota-se que a efetivação do direito à saúde encontra respaldo legal na Constituição Federal de 1988, que estabelece o direito à saúde como integral, equitativo e universal. Essa base constitucional fundamenta as concessões judiciais, assegurando o acesso igualitário e abrangente aos serviços de saúde necessários para a promoção do bem-estar da população.

A partir da análise dos dados foram definidas três categorias, que estão apresentadas abaixo (**Quadro 2**). Sendo as mesmas pontos chaves para que os objetivos da presente pesquisa fossem alcançados.

QUADRO 2 – Categorias definidas a partir da análise de dados, suas definições e exemplos de frases que contribuíram para sua criação.

CATEGORIA	DEFINIÇÃO	PALAVRAS OU FRASES QUE CONTRIBUÍRAM PARA DEFINIR AS CATEGORIAS
Efeitos da judicialização no SUS	Os possíveis impactos que processos de judicialização ocasionam ao SUS	“Obtenção do custeio de bens e serviços de saúde”; “Dificulta o fornecimento de remédios e tratamentos em uma quantidade satisfatória para suprir com as carências de saúde da população”; “Subfinanciamento”.
Complexidade dos cuidados com os portadores de doenças raras: A busca dos caminhos de efetivação da assistência	Quais repercussões os cuidados dos pacientes ocasionam na gestão do SUS	“Dificuldades em determinar diagnóstico com exatidão e definir os cuidados de saúde adequados”
Repercussões da judicialização de tratamentos/medicamentos para doenças raras na gestão do SUS	Como a judicialização dos tratamentos para DR's afetou a gestão do SUS	“Arcar com os custos de um tratamento excepcionalmente caro pode provocar efeitos financeiros negativos”; “Desvio orçamentário”; “Podendo prejudicar o interesse de um coletivo”.

Fonte: A autora (2025).

5.1 Efeitos da judicialização no SUS

A judicialização ocasiona impactos no SUS, sendo estes negativos e/ou positivos. Pode-se citar como exemplo o fato dos processos judiciais garantirem a efetivação do direito a saúde, assegurando que os pacientes tenham acesso aos cuidados adequados e tenham suas necessidades de saúde supridas (Freitas; Fonseca; Queluz, 2020).

Entretanto, os impactos negativos acabam por sobressair os positivos, influenciando na formulação e execução das políticas públicas, o que, por vezes, acaba por obrigar o sistema de saúde a priorizar demandas judiciais em detrimento de planejamentos estratégicos, organizados previamente pelos gestores. Outrossim, ainda pode afetar o financiamento, ocasionando desvios orçamentários, agravando o subfinanciamento das ações e serviços de saúde (Freitas; Fonseca; Queluz, 2020; Neto, 2014).

Como diz Nunes e Lehfeld (2021),

Com o advento da judicialização, alguns problemas surgiram, sendo eles: i) déficit financeiro do Estado por precisar adquirir medicamentos não previstos em orçamento, utilizando da verba para compra de medicamentos não previstos; ii) falta de medicamento a pacientes já cadastrados no programa de distribuição; iii) novos casos de judicialização, de indivíduos que já estavam devidamente cadastrados no programa de distribuição de medicamentos e regularmente recebendo seus medicamentos (Nunes; Lehfeld, 2021, p. 311).

Todo o panorama citado, via de regra, acaba por gerar desigualdades no SUS, já que indivíduos com uma maior capacidade de mobilização jurídica, seja esta determinada pela condição financeira ou corporativa, conseguem acesso a medicamentos e/ou tratamentos que para outros permanecem indisponíveis ou são limitados.

Segundo Wang (2021), trata-se de uma...

Desigualdade porque cria um SUS de duas portas. Uma porta para aqueles que chegam pela via do Judiciário e conseguem acesso irrestrito aos recursos públicos para satisfazer suas necessidades em saúde. A outra para os demais usuários do SUS que têm acesso a um conjunto limitado de ações e serviços de saúde. Esse conjunto é ainda mais limitado do que poderia ser porque recursos são redirecionados para beneficiar aqueles que entram pela porta do Judiciário (Wang; Terrazas; Ferreira, 2021, v. 2, p. 5).

Wang (2021) também fala sobre a ineficiência do sistema, já que gasta-se valores exorbitantes de recursos pela decisão de juízes que são levados a tomarem decisões sem conhecimento técnico em relação às evidências científicas relativas aos tratamentos demandados, às necessidades de saúde da população e ao funcionamento e prioridades do SUS. Essa falta de evidências significa que muitos dos tratamentos concedidos pelo Judiciário podem submeter os pacientes a riscos desnecessários ou não lhes beneficiar de modo algum.

Segundo Nunes e Lehfeld (2021), é possível amenizar essa problemática,

As soluções para a diminuição da judicialização de medicamentos de alto custo no Brasil estão na definição de políticas públicas que promovam uma assistência à saúde adequada e no incentivo a pesquisas e estudos sobre as doenças raras. O baixo conhecimento científico sobre medicamentos e tratamentos pelos operadores do direito, em conjunto com — em alguns casos — a falta de comprovação da eficácia de tais fármacos para doenças raras é um grande problema no país, devido à falta de políticas públicas relacionadas a tais doenças (Nunes; Lehfeld, 2021, p. 312).

Nota-se que, diante do que foi descrito, as formas para diminuir o quantitativo de ações judiciais são a definição de políticas públicas mais robustas e normatização jurídica que irá auxiliar na redução das divergências legais e promover o acesso equitativo à saúde.

5.2 Complexidade dos cuidados com os portadores de doenças raras: a busca dos caminhos de efetivação da assistência

Os cuidados para com portadores de doenças raras são complexos e demandam ações multidisciplinares e integradas, já que essas condições, geralmente progressivas e incapacitantes, exigem diagnósticos precisos, acompanhamento contínuo e tratamentos multiprofissionais especializados, que geralmente são de alto custo e baixa disponibilidade no mercado (D'Ippolito; Gadelha, 2019; Interfarma, 2013).

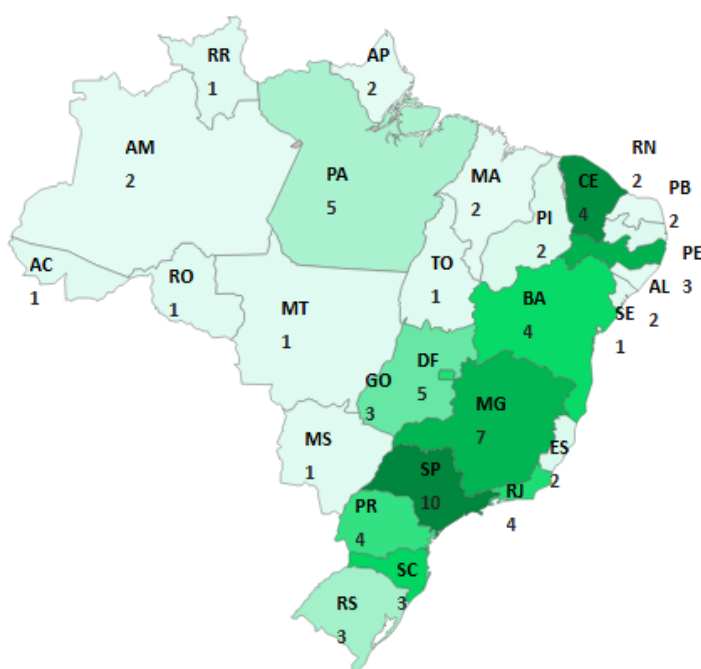
Segundo Nunes e Lehfeld (2021)

A maioria dessas doenças, ainda, não apresenta informações sobre causa, desenvolvimento e cura, como consequência da carência de pesquisas e estudos nesse campo. A discussão sobre doenças raras exige a abordagem sobre seu tratamento, os denominados medicamentos órfãos (Nunes; Lehfeld, 2021, p. 310).

Medicamentos órfãos são, geralmente, destinados a cura ou paralisação do avanço de uma determinada doença rara e por serem destinadas a um pequeno grupo de pessoas, via de regra, há relutância para serem produzidas, já que não será possível a indústria farmacêutica recuperar o capital investido nos estudos e desenvolvimento da mesmas, resultando assim em um custo exorbitante do produto (Novaes; Soárez, 2019).

Outrossim, o diagnóstico, na maior parte da vezes, é tardio mediante a raridade das doenças e o fato de que os sintomas podem ser confundidos com os de doenças mais corriqueiras, o que demonstra a necessidade de que as equipes de saúde sejam capacitadas para lidar com esses casos, além de se fazer imprescindível uma distribuição mais igualitária dos serviços especializados relacionados a esses casos, visto que só existem cerca de 78 serviços especializados no Brasil (figura 3) (Brasil, [s.d.]).

Figura 3 - Mapa da distribuição dos estabelecimentos voltados para Doenças Raras habilitados



Fonte: Ministério da saúde, SIASUS (2025).

Os serviços são distribuídos em quatro categorias, especializados em Fibrose Cística, especializados em Osteogênese Imperfeita, Serviços de Atenção Especializada em Doenças Raras e Serviços de Referência em Doenças Raras (Brasil, [s.d.]). Estes são voltados para tratar, seja por meio de medicamentos que

possam curar, seja por intermédio de cuidados paliativos, das DR's e propiciar aos pacientes melhores condições de vida.

Para além disso, segundo Nunes e Lehfeld (2021, p.309), devido à “dificuldade em serem diagnosticadas e às características de cronicidade, gravidade e por serem muitas vezes degenerativas ou progressivas, as doenças raras apresentam alto índice de mortalidade e dificuldade no tratamento.”

O investimento na formação dos profissionais de saúde é de suma importância para a garantia do acesso à saúde, além de maiores incentivos para o desenvolvimento de novas tecnologias voltadas para os cuidados com DR's. Essas mudanças podem contribuir para um sistema de saúde mais inclusivo e eficiente, atendendo melhor às necessidades dessa população.

Para mais, é essencial a conscientização e o apoio às associações de pacientes para que haja mais inclusão social e o suporte necessário para os portadores de DR's e seus familiares (D'Ippolito; Gadelha, 2019; Lima; Gilbert; Horovitz, 2018). Entretanto, faz-se necessário salientar que as mesmas devem promover também a sustentabilidade do sistema de saúde, já que apesar de serem benéficas atuando no apoio aos pacientes e ampliando a visibilidade das DR's e suas demandas e influenciando para a criação de políticas públicas as mesmas acabam por contribuir para a sobrecarga do SUS por meio do incentivo a judicialização sem antes procurar soluções pelas vias administrativas (D'Ippolito; Gadelha, 2019; Wang, 2021).

Em complemento a isso há também a melhoria da rede integrada que conecta a atenção primária (ATS) e a especializada, para que consiga-se oferecer um fluxo contínuo de assistência, garantido assim o acesso integral aos serviços de saúde.

5.3 Repercussões da judicialização de tratamentos/medicamentos para doenças raras na gestão do SUS

Alguns dos principais efeitos da judicialização dos medicamentos e/ou tratamentos de alto custo voltados para as DR's na gestão do SUS que se destacaram no decorrer da análise de dados foram o subfinanciamento de ações e serviços de saúde, já que as DR's representam dispêndios cada vez maiores para o SUS, além do fato de que o desvio orçamentário provocado pelo financiamento das ações judiciais acaba por afetar o abastecimento farmacêutico das três esferas de governo.

A questão se torna mais complexa ao se tratar da judicialização sobre o quesito medicamentos órfãos, que decorre de ao menos três pontos, sendo eles: i) o alto custo do tratamento; ii) a não incorporação de inúmeros medicamentos na lista do SUS, e; iii) a falta de registros do medicamento na ANVISA (Nunes; Lehfeld, 2021, p. 314).

“Medicamentos órfãos”, como são chamados os tratamentos medicamentosos para DR’s são de alto custo e são de baixa comercialização, isso ocorre por não despertarem o interesse da indústria farmacêutica, já que os gastos para a produção deles superam os ganhos.

Outrossim, os medicamentos só são incluídos nas listas do SUS após serem devidamente registrados na ANVISA e passarem pela avaliação da CONITEC, sendo esse um longo processo, e como muitos ainda não foram testados ou estão em desenvolvimento acaba por levar ainda mais tempo para que ocorra essa inclusão.

Diante disso, ocorre a procura pela via judicial, para que haja a garantia da efetivação do direito à saúde, mediante a uma necessidade de saúde que não foi atendida pela primeira porta de entrada, já que essa oferta serviços limitados (Wang, 2021). Ademais, é de suma relevância, destacar as questões sobre como isso também acaba por afetar a tomada de decisão dos gestores, deixando-lhes a “deriva” em alguns quesitos, já que se tem lacunas jurídicas e pouco conhecimento sobre como lidar com essas situações.

Outrossim, vale destacar que em 2024 o STF debateu o RE 566.471 (tema 6) que determina que os medicamentos que não estejam disponíveis nas listas de dispensação do SUS não poderão ser disponibilizados por via judicial (Brasil, 2024). Levando em consideração essas questões e a criação de novas leis e diretrizes para ajudar os técnicos da gestão da saúde e agentes do Poder Judiciário, percebe-se que houve mudanças ao longo dos anos, como o regramento citado anteriormente e a PNAIPDR.

Entretanto, é sabido que ainda precisa-se de maiores investimentos e olhares voltados para a temática, já que essa ainda é um problema, do qual se tem poucos estudos buscando compreender, considerando o ponto de vista dos gestores, e seus desafios para gerir o SUS.

Além disso, Ventura et. al. (2010) sinaliza que,

Pode-se dizer, portanto, que a ampliação da atuação do sistema de justiça no acesso à assistência à saúde tem repercussões sobre a gestão,

influenciando na tomada de decisão dos profissionais envolvidos, e que, ao menos em parte, decorre das deficiências da própria administração pública (Ventura *et al.*, 2010, p. 80).

Para além disso, segundo Ventura *et. al.* (2010),

Há um relativo consenso sobre a possibilidade de se exigir judicialmente do administrador a implementação das políticas públicas, ou mesmo sua adequação às diretrizes, princípios e conteúdos determinados na Constituição Federal e leis infraconstitucionais. Porém, são muitas as dúvidas e divergências sobre como as prestações genéricas devem ser cumpridas especificamente pelo Estado, quais os limites e os meios legais e eticamente válidos de exigi-las, se não forem cumpridas (Ventura *et al.*, 2010, p. 86).

Diante desse cenário, percebe-se a importância de uma maior visibilidade voltada para a temática, levando em consideração que apesar de ser um grupo de doenças que são raras, estão cada vez mais evidentes na sociedade, devido aos avanços e investimentos em pesquisas e novas tecnologias. Decorre desta condição aprimoramentos na prevenção e tratamentos/medicamentos voltados para as DR's.

Corroborando com o que afirmam Nunes e Lehfeld (2021),

As soluções para a diminuição da judicialização de medicamentos de alto custo no Brasil estão na definição de políticas públicas que promovam uma assistência à saúde adequada e no incentivo a pesquisas e estudos sobre as doenças raras (Nunes; Lehfeld, 2021, p. 312).

Contudo, a judicialização, em especial, de medicamentos de alto custo estão cada vez mais frequentes e por isso precisa-se de maiores incentivos a pesquisas e estudos sobre as DR's e sobretudo políticas públicas com foco em amenizar os impactos e viabilizar a sustentabilidade do sistema de saúde.

6 CONSIDERAÇÕES FINAIS

Este trabalho buscou analisar as repercussões da judicialização das doenças raras na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS), isso se deu por meio da descrição dos possíveis desafios e as soluções apresentadas através da literatura, ao longo dos últimos 15 anos, além de uma caracterização acerca da judicialização e das DR's. Outrossim, os resultados apresentados ao longo deste estudo evidenciam os impactos que esses processos ocasionam, tanto em questões de financiamento do setor e estruturais quanto na garantia do direito à saúde.

Este estudo teve por pretensão contribuir para a compreensão do que são as DR's e como a judicialização delas afeta a gestão do SUS, possibilitando que gestores e profissionais da área jurídica entendam como isso vem a tornar-se uma problemática e como pode-se amenizar as repercussões ocasionadas. Faz-se imprescindível ressaltar que a análise se deu com base na literatura existente, sendo essa limitada, já que há uma escassez de estudos mais recentes.

Diante disso, seria necessário a elaboração de estudos que analisem diretamente a perspectiva dos gestores do SUS em se tratando dos desafios que eles enfrentam em decorrência dos processos judiciais voltados para as DR's. Além disso, os desejáveis investimentos em novas pesquisas e tecnologias para a compreensão e os tratamentos dessas doenças, devem contribuir para a criação de novas políticas públicas capazes de amenizar ou até solucionar essas questões.

Sendo assim, o investimento na formação dos profissionais é de suma importância, já que por meio disso os diagnósticos poderão ser mais precisos contribuindo para que os pacientes recebam os tratamentos adequados com maior rapidez, para a garantia do acesso à saúde. Essas mudanças podem contribuir para um sistema de saúde mais inclusivo e eficiente, atendendo melhor às necessidades dessa população. Ademais, é de suma importância que haja a promoção da inclusão social, das associações, para que se tenha uma maior disseminação de informações acerca das DR's, resultando na redução de estigmas e aumentando o apoio aos pacientes e suas famílias.

REFERÊNCIAS

BARDIN, L. Análise de conteúdo. **São Paulo**: Edições 70, 2011, 229 p.

BRASIL. Ministério da Saúde. **Doenças Raras**. Brasília, DF, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/saes/doencas-raras>. Acesso em: 31 ago. 2024.

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. Disponível em: [Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras - PNAIPDR].

BRASIL. Ministério da Saúde. **Saúde lança portaria de incorporação do Zolgensma e assina protocolo de intenções com fabricante do medicamento para garantir oferta da tecnologia no SUS**. Brasília, DF, 2022. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/noticias/2022/dezembro/saude-lanca-portaria-de-incorporacao-do-zolgensma-e-assina-protocolo-de-intencoes-com-fabricante-do-medicamento-para-garantir-oferta-da-tecnologia-no-sus>. Acesso em: 17 dez. 2024.

BRASIL. Presidência da República. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 20 set. 1990.

CONSELHO NACIONAL DE SAÚDE (Brasil). Resolução nº 466, de 12 de dezembro de 2012. **Diário Oficial da União**, Brasília, DF, 13 dez. 2012. Disponível em: <https://www.gov.br/conselho-nacional-de-saude/pt-br/aceso-a-informacao/legislacao/resolucoes/2012/resolucao-no-466.pdf>. Acesso em: 15 out. 2024.

D'IPPOLITO, P. I. M. C.; GADELHA, C. A. G. O tratamento de doenças raras no Brasil: a judicialização e o Complexo Econômico-Industrial da Saúde. **Saúde em Debate**, v. 43, n. spe4, p. 219–231, 2019.

FLORIANO, F. R. *et al.* Estratégias para abordar a Judicialização da Saúde no Brasil: uma síntese de evidências. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 28, n. 1, p. 181–196, jan. 2023.

FREITAS, B. C.; FONSECA, E. P.; QUELUZ, D. P. A Judicialização da saúde nos sistemas público e privado de saúde: uma revisão sistemática. **Interface - Comunicação, Saúde, Educação**, Botucatu/SP, v. 24, p. e190345, 2020.

GADELHA, C. A. G.; TEMPORÃO, J. G. Desenvolvimento, Inovação e Saúde: a perspectiva teórica e política do Complexo Econômico-Industrial da Saúde. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 23, n. 6, p. 1891–1902, jun. 2018.

G1. Menino do RS que conquistou na Justiça direito a tratamento para AME recebe dose do remédio mais caro do mundo. 25 mar. 2024. Disponível em: <https://g1.globo.com/rs/rio-grande-do-sul/noticia/2024/03/25/menino-do-rs-que-conquistou-na-justica-direito-a-tratamento-para-ame-recebe-dose-do-remedio-mais-carro-do-mundo.ghtml>

GIL, A. C. Como elaborar projetos de pesquisa. 4. ed. **São Paulo**: Atlas, 2007.

INTERFARMA. Doenças Raras: Contribuições para uma Política Nacional. Edições Especiais de Saúde. Ed. São Paulo: **Ativa Online Editora e Serviços Gráficos**, v. V, 2013.

LIMA, M. A. DE F. D.; GILBERT, A. C. B.; HOROVITZ, D. D. G. Redes de tratamento e as associações de pacientes com doenças raras. **Ciência & Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 23, n. 10, p. 3247–3256, out. 2018.

NETO, J. P. G.; SCHULZE, C. J. Direito à Saúde. Análise à Luz da Judicialização. **PA: Verbo Jurídico**, Porto Alegre, 2015.

NOVAES, H. M. D., SOÁREZ, P. C. Doenças raras, drogas órfãs e as políticas para avaliação e incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde. **Sociologias** 2019; 21:332-64.

NUNES, D. H.; LEHFELD, L. S. Saúde e doenças raras: análise da judicialização do acesso ao tratamento e suas limitações. **Revista Brasileira de Políticas Públicas**, Brasília, v. 11, n. 1, p. 17-283, 2021.

PASCARELLI, D. B. N.; PEREIRA, É. L. Doenças raras no Congresso Nacional brasileiro: análise da atuação parlamentar. **Cadernos de Saúde Pública**, Rio de Janeiro, v. 38, n. 6, p. e00167721, 2022.

RECHMANN, I. Portadores de doenças raras e as demandas judiciais individuais para obtenção de medicamentos de alto custo previstos nas listas oficiais. **Direito UNIFACS–Debate Virtual-Qualis A2 em Direito**, n. 220, 2018.

SOUZA, M. T. et al. Revisão integrativa: o que é e como fazer. **Einstein**. 8 (1 Pt 1):102-6. 2010.

THOMÉ, C. Pacientes com doenças raras enfrentam processos judiciais para terem tratamento [internet]. **O Estado de São Paulo**. 2016 jun 12. Disponível em: <https://sao-paulo.estadao.com.br/noticias/geral,pacientes-com-doencas-raras-enfrentam-processos-judiciais-para-terem-tratamentos,10000056698>.

VENTURA, M. *et al.* Judicialização da saúde, acesso à justiça e a efetividade do direito à saúde. **Physis: Revista de Saúde Coletiva**, Rio de Janeiro, v. 20, n. 1, p. 77–100, 2010.

WANG, D. W. L.; TERRAZAS, F. V.; FERREIRA, J. A. Coleção Judicialização da Saúde nos Municípios: como responder e prevenir. **Direito à Saúde**, São Paulo, 2021, v. 2

WANG, D. W. L.; TERRAZAS, F. V.; FERREIRA, J. A. Coleção Judicialização da Saúde nos Municípios: como responder e prevenir. **Direito à Saúde**, São Paulo, 2021, v. 3.