

VOTO

O SENHOR MINISTRO GILMAR MENDES (RELATOR): Em 3.6.2024, foi distribuída à minha relatoria a Reclamação 68.709, na qual o reclamante, menor, nascido em 25.8.2018, pleiteia o fornecimento do medicamento *Elevidys*, para tratamento de Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), com fundamento no tema 500 da repercussão geral.

Segundo informações da ANVISA, a DMD é uma condição rara e grave, sem alternativas terapêuticas eficazes. Ela afeta aproximadamente 1 em 3.300 meninos nos Estados Unidos e tem uma prevalência estimada de 0,9:100.000 no Brasil. Embora as manifestações laboratoriais da enfermidade possam estar presentes ao nascimento, os sintomas clínicos geralmente só se tornam evidentes na infância precoce, com idade média de diagnóstico por volta dos 5 anos. Não há cura para a doença, e as intervenções terapêuticas atuais são baseadas na prevenção e no tratamento das complicações. Atualmente, a terapia padrão é baseada em corticosteroides.

O medicamento *Elevidys* (*delandistrogene moxeparvovec*) surgiu como uma esperança para as crianças portadoras da enfermidade por se tratar de uma inovação da terapia avançada, empregando terapia gênica para tratar a DMD. Conforme documentos juntados aos autos, o medicamento foi desenvolvido a partir de biotecnologia de ponta e utiliza um vetor viral recombinante para introduzir genes terapêuticos nas células musculares, visando à produção da proteína microdistrofina e, assim, melhorar o quadro clínico da doença.

A solicitação de registro do produto no País foi realizado pela Roche Brasil e encontra-se em trâmite na ANVISA. Por sua vez, em 20 de junho de 2024, a agência americana Food and Drug Administration (FDA) aprovou o *Elevidys* pelo rito tradicional para pacientes deambuladores (*ambulatory patients*), com idade igual ou superior a 4 anos, e pelo rito simplificado para os não deambuladores (*non-ambulatory patients*), com a mesma idade. A FDA embasou a decisão em evidências científicas que demonstram os benefícios clínicos do produto farmacêutico (<http://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-expands-approval-gene-therapy-patients-duchenne-muscular-dystrophy>)

Diante da complexidade do tema, entendi que antes de examinar o pedido formulado na citada reclamação, seria necessário analisar o efeito sistêmico que pode ser ocasionado pelo deferimento de sucessivos pedidos dessa mesma natureza, ante o impacto orçamentário

dele advindo, tendo em vista que o fármaco em discussão (*Elevidys*) custa em torno de US\$ 3,2 milhões, o equivalente a cerca de R\$ 18 milhões, segundo a cotação atual. Isso porque, além do reclamante, existem milhares de outras crianças com a mesma enfermidade no País, todas necessitando de atenção do sistema de saúde brasileiro. Segundo a ANVISA, estima-se que, no Brasil, haja 1 portador da doença para cada 100.000 nascimentos.

Como já assentei em outras oportunidades, a atuação do Poder Judiciário na proteção do direito à saúde não está isenta de desafios, pois envolve a conciliação com a sustentabilidade das finanças públicas. É imperativo que a atuação da Justiça se dê com responsabilidade e cautela, buscando, por um lado, garantir o acesso às terapias adequadas para o tratamento de doenças graves e, por outro, a manutenção do equilíbrio das contas públicas.

Diante desse contexto, assentei que a realização de entendimento entre o Governo e a empresa farmacêutica para compartilhar os riscos quanto à eficácia do medicamento, diminuindo o impacto financeiro decorrente de sua aquisição, poderia, pelo menos em tese, ser uma solução justa para o caso do medicamento *Elevidys*.

Além disso, consignei que, apesar de versar sobre demanda individual, a controvérsia tem potencialidade de se repetir inúmeras vezes, devido à influência exercida pelos precedentes do STF e ao número de pacientes acometidos pela doença.

Por esses motivos, **reconheci a natureza estrutural da demanda**, que envolve não apenas os interesses legítimos da criança e de seus familiares, mas também a preocupação, igualmente legítima, dos gestores públicos com a preservação dos recursos orçamentários suficientes para o atendimento de outras demandas sociais na área da saúde pública.

Com base nesse cenário, designei, no âmbito da Rcl 68.709, a realização de audiência de conciliação entre o Ministério da Saúde, a ANVISA, a CONITEC, a Roche Brasil – farmacêutica responsável pelo fornecimento do medicamento –, o Hospital Vera Cruz e o Hospital Infantil Sabará – únicos credenciados para sua aplicação no Brasil até o presente momento – e o Ministério Público Federal, para tratativas sobre o preço e as condições de aquisição do medicamento *Elevidys*.

Em **14.8.2024**, foi realizada a **primeira de audiência de conciliação**. Na ocasião, todos os envolvidos mostraram-se dispostos a buscar uma solução capaz de equacionar os interesses em discussão. Foram abordados diversos tópicos, como o procedimento de importação, a

possibilidade de compra direta pelo Ministério da Saúde, a necessidade de realização de exames genéticos de compatibilidade previamente à infusão da medicação, entre outras questões relevantes para a solução da controvérsia.

Após a primeira audiência, a União ajuizou a PET 12.928, requerendo o sobrestamento das liminares deferidas em seu desfavor, que determinavam a aquisição imediata do medicamento em questão, até a finalização das tratativas na Rcl 68.709. Na ocasião, já haviam sido identificadas 55 ações judiciais em curso, das quais 13 tinham liminar deferida.

Em 27.8.2024, deferi parcialmente a tutela provisória de urgência formulada na PET 12.928, para suspender as decisões liminares deferidas contra a União para a compra do *Elevidys*, até finalização da conciliação em curso na Rcl 68.709, ressalvadas: i) as decisões proferidas por Ministros do STF; e ii) as decisões concedidas em favor de crianças que completassem 7 anos nos próximos 6 meses, a contar da publicação da decisão. Nesses casos, **o depósito do valor pela União foi condicionado à prévia realização do exame genético de compatibilidade.**

Ao submeter a decisão ao referendo da Segunda Turma, esclareci, em meu voto, que as liminares deferidas em benefício de menores que já tivessem completado 7 anos de idade também estariam fora do âmbito de abrangência da decisão. Confira-se a ementa:

“REFERENDO NA CAUTELAR NA PETIÇÃO. DIREITO À SAÚDE. PEDIDO DE SUSPENSÃO DAS LIMINARES. ELEVIDYS. Distrofia Muscular de Duchenne. FORNECIEMNT0 DE MEDICAMENTO SEM REGISTRO NA ANVISA. CONCILIAÇÃO. RECLAMAÇÃO 68.709. ATUAÇÃO DO PODER JUDICIÁRIO. EQUACIONAR OS DIREITOS EM QUESTÃO. ACESSO ÀS TERAPIAS ADEQUADAS. EQUILÍBRIO DAS CONTAS PÚBLICAS. POSSIBILIDADE DE MULTIPLICAÇÃO DAS DEMANDAS. NATUREZA ESTRUTURAL. TUTELA DE URGÊNCIA PARCIALMENTE DEFERIDA.

1. Conciliação entre a União e Roche Brasil em andamento, no âmbito da Reclamação 68.709, para tratativas acerca do preço e das condições de aquisição do medicamento Elevidys, sem registro na ANVISA, indicado para tratamento de Distrofia Muscular de Duchenne (DMD). Envolvidos mostraram-se dispostos a buscar uma solução capaz de equacionar os

interesses em discussão, com ênfase no atendimento das necessidades dos pacientes. Próxima reunião agendada para 30.9.2024.

2. O que se pretende é resolver a questão estrutural relacionada ao fornecimento do Elevidys, com enfoque na satisfação do direito das crianças portadoras da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), mas sem inviabilizar o funcionamento do sistema público de saúde.

3. O valor do medicamento Elevidys gira em torno de 17 milhões de reais. Existência de inúmeras de outras crianças com a mesma enfermidade no país, todas necessitando de atenção do sistema de saúde brasileiro (1 portador da doença para cada 100.000 nascimentos).

4. Concessão desordenada de decisões judiciais, sem rigoroso planejamento pela Administração Pública nem negociação prévia dos custos com o laboratório farmacêutico, pode ocasionar um colapso no sistema público de saúde.

4. É imperativo que a atuação da Justiça se dê com responsabilidade e cautela, buscando, por um lado, garantir o acesso às terapias adequadas para o tratamento de doenças graves e, por outro, a manutenção do equilíbrio das contas públicas.

5. A realização de acordo entre o Governo e a empresa farmacêutica para compartilhar os riscos quanto à eficácia do medicamento, diminuindo o impacto financeiro decorrente de sua aquisição, poderia, pelo menos em tese, ser uma solução justa para o caso.

6. CASO CONCRETO: A União informa que estão em curso 55 ações em que autores pleiteiam o fornecimento do medicamento Elevidys – das quais 13 já tiveram liminar deferida com ordem de compra imediata. Destaca que, considerando a possibilidade de celebração de acordo com a empresa farmacêutica, capaz de conduzir a uma redução significativa do custo de aquisição do produto, seria necessário suspender as liminares concedidas até a conclusão das negociações.

7. União alega que, caso fossem deferidos todos os pedidos formulados nas ações em curso (55), o custo estimado para o sistema público de saúde, na atual conjuntura, seria de R\$ 1.155.000.000,00 (um bilhão e cento e cinquenta e cinco milhões de reais), o que seria totalmente insustentável para o SUS.

8. Conciliação poderá beneficiar não apenas os autores das ações em andamento, mas todas as crianças portadoras de Distrofia Muscular de Duchenne que residem no país.

9. Necessidade de resguardar o direito das crianças que possam ser prejudicadas pela janela de aplicação prevista pela ANVISA (4 a 7 anos).

8. Tutela de urgência parcialmente deferida para suspender as decisões liminares concedidas contra a União para a compra do Elevidys, até finalização da conciliação em curso na Rcl 68.709, ressalvadas: i) as decisões proferidas por Ministros do STF; e ii) as decisões concedidas em favor de crianças que completem 7 anos nos próximos 6 meses, a contar da publicação desta decisão, ou que já possuam 7 anos completos. Nesses casos, o depósito do valor pela União fica condicionado à prévia realização do exame genético de compatibilidade.

9. Tutela de urgência referendada”.

Foram realizadas audiências também nos dias 30.9.2024 e 8.10.2024.

Na audiência de conciliação, realizada em **21.10.2024**, a Roche Brasil e o Ministério da Saúde informaram que realizaram diversas reuniões prévias à audiência e, diante do avanço no processo de registro do medicamento na ANVISA, requereram conjuntamente, em síntese, i) a suspensão da conciliação, inicialmente, pelo prazo de 60 dias ou até o registro do fármaco na ANVISA, o que ocorrer primeiro; ii) a manutenção da suspensão das liminares pelo mesmo período; iii) a não aplicação das medidas citadas no item ii aos pacientes que estejam entre a faixa etária de 7 anos e 6 meses e 7 anos, 11 meses e 29 dias.

Na ocasião, o representante da ANVISA esclareceu que o registro do medicamento é fundamental para que se estabeleça proteção ao paciente brasileiro e informou que o processo de autorização encontra-se em fase final.

Após o debate acerca das solicitações realizadas conjuntamente pela Roche Brasil e pelo Ministério da Saúde, as partes formularam a seguinte proposta de encaminhamento conjunto e a submeteram à minha apreciação, nos autos da **PET 13.101**:

I) Suspensão da tentativa de conciliação por 45 dias, ou até que sobrevenha o registro do medicamento na ANVISA, o que ocorrer primeiro;

II) Manutenção da suspensão da liminares, ressalvados os pacientes deambuladores que estejam na faixa etária entre 7 anos e 6 meses e 7 anos, 11 meses e 29 dias, com o objetivo de evitar a perda da janela de oportunidade de tratamento. A prescrição do tratamento deverá ser precedida da realização de teste genético que não indique deleção dos EXON 8 e/ou 9, sem prejuízo das contraindicações e observações indicadas na bula registrada perante a FDA, com especial atenção à não recomendação a pacientes com títulos elevados de anticorpos de ligação total anti-AAVrh74 (títulos>1:400);

III) Exclusão da possibilidade de concessão judicial do medicamento para menores de 4 anos e maiores de 8 anos, em virtude da ausência de estudos definitivos sobre a segurança e eficácia do fármaco para essas faixas etárias;

IV) Fixação das seguintes balizas para infusão dos pacientes abrangidos pela ressalva expressa no item 2: 4.1) preço no valor de

por unidade, via compra direta perante a Uniphar; 4.2) infusão realizada pelo SUS, com todos os custos suportados pela União. Caso a União não consiga cadastrar hospitais públicos para a infusão, o procedimento será realizado por hospitais privados devidamente cadastrados; 4.3) monitoramento pelo SUS, com acompanhamento pela Roche Brasil, observada também a responsabilidade do médico prescritor;

V) Disciplinando a parte final do item 4.2, os hospitais privados registram o seguinte: pelo hospital infantil Sabará ficou consignado que apresentará, formalmente, nos autos da Reclamação 68.709, no prazo de dez dias, a discriminação dos valores, referente ao ano de 2024, dos serviços individualmente, à exceção dos custos de internação para infusão; pelo hospital Vera Cruz ficou consignado que também irá apresentar, no prazo acima, o valor global referente ao ano de 2024, do dia em que o paciente ingressou no hospital até obter alta hospitalar, bem como detalhar os procedimentos individuais abrangidos no custo global.

VI) O Ministério da Saúde compromete-se a solicitar às autoridades competentes (ANVISA, CMED e CONITEC) tratamento prioritário à apreciação do dossiê regulatório do medicamento *Elevidys*;

VII) No caso de deferimento do atual pedido de registro na ANVISA, a Roche Brasil assume a responsabilidade de

solicitar o pedido de registro de preço na CMED no prazo máximo de cinco dias úteis após a respectiva publicação no Diário Oficial da União.

A proposta de encaminhamento foi analisada nos autos da PET 13.101. Esclareço que, não obstante também cuide das tratativas de conciliação, a citada PET 13.101 foi autuada em apartado e com caráter **sigiloso** a pedido da Roche Brasil, haja vista contar com informações confidenciais sobre a precificação do medicamento.

A seguir, cito os fundamentos que me levaram à concordância parcial com a proposta de encaminhamento conjunto, omitindo, evidentemente, os dados sob sigilo.

Assentei que, no curso das audiências de conciliação, tem-se travado intensos debates na tentativa de uma solução que equalize todos os interesses envolvidos, sempre com enfoque especial na proteção das crianças acometidas pela DMD.

Conforme relatado, na última audiência, realizada em 21.10.2024, ambas as partes informaram que o processo de registro do *Elevidys* na ANVISA encontra-se bastante avançado e que, caso o registro seja realizado, as negociações sobre o preço poderiam tomar novos contornos, mais benéficos para todos os envolvidos.

Por esse motivo, **acolhi o pedido conjunto formulado pelo Ministério da Saúde e pela Roche Brasil, nesse ponto, para suspender as tentativas de conciliação por 45 dias, ou até que sobrevenha o registro do medicamento na ANVISA, o que ocorrer primeiro.**

No que se refere ao pedido de manutenção da suspensão das liminares deferidas, ressalvados os pacientes deambuladores que estejam na faixa etária entre 7 anos e 6 meses e 7 anos, 11 meses e 29 dias, entendo que a questão deve ser analisada com atenção.

Importante registrar que a decisão cautelar proferida no âmbito da PET 12.928, que determinou a suspensão das liminares deferidas em desfavor da União, ressalvou de sua abrangência as decisões concedidas em favor de crianças que completassem 7 anos de idade nos próximos 6 meses, a contar da publicação daquela decisão, que ocorreu em 6.9.2024, e aquelas deferidas por Ministros do Supremo Tribunal Federal.

Por ocasião do referendo da cautelar, esclareci, em meu voto, que foi acompanhado integralmente pela Segunda Turma, que as liminares deferidas em benefício de menores que já completaram 7 anos de idade também estavam fora do âmbito de abrangência da decisão que

determinou a suspensão.

Feitas essas considerações, tem-se que, no presente momento, encontra-se em vigor a determinação de suspensão das liminares deferidas em desfavor da União para a compra do medicamento *Elevidys*, ressalvadas da citada suspensão as decisões proferidas em favor de crianças que contavam no mínimo com 6 anos e 6 meses, em 6.9.2024, e aquelas deferidas por Ministros desta Suprema Corte.

Relevante ressaltar que as tratativas realizadas nas audiências de conciliação demonstram o avanço significativo no que tange à redução do preço do medicamento, como a possibilidade de compra direta pelo Ministério da Saúde (com a não incidência de tributos federais), a redução do valor unitário do medicamento e – acredito – com possibilidade de condições ainda mais benéficas ao final dos trabalhos.

Todavia, o acolhimento integral do pedido nesse ponto consistiria em reduzir os casos que se enquadrariam na ressalva já deliberada, por unanimidade, pela Segunda Turma.

Por esse motivo, indeferi o pedido nesse ponto e **mantive, por ora, a suspensão das liminares, nos mesmos termos que já haviam sido deferidos, ressalvando de sua abrangência as decisões proferidas em favor de crianças que deambulam e contavam no mínimo com 6 anos e 6 meses, em 6.9.2024, e aquelas deferidas por Ministros desta Suprema Corte.**

Vale ressaltar que **a manutenção da suspensão das liminares deferidas em desfavor da União não tem o condão de impedir a apreciação das causas pelos Juízos de origem.** O que se pretende é que as liminares eventualmente deferidas fiquem suspensas até a finalização das negociações, excetuadas as hipóteses acima já previstas, diante da possibilidade de ajuste no preço para aquisição do medicamento.

Nesse contexto, acolhi também o pedido conjunto para que, no cumprimento das liminares que não forem suspensas e daquelas que eventualmente forem deferidas para crianças dentro da janela de aplicação acima descrita, a aquisição da medicação pela União se dê via compra direta da Uniphar, no valor acordado entre as partes, e a infusão seja realizada pelo SUS, com todos os custos suportados pela União. Caso a União não consiga cadastrar hospitais públicos para a infusão, o procedimento será realizado por hospitais privados devidamente cadastrados.

Por fim, dentre os requerimentos formulados conjuntamente pelo Ministério da Saúde e pela Roche Brasil, encontra-se o pedido de

“Exclusão da possibilidade de concessão judicial do medicamento para menores de 4 anos e maiores de 8 anos, em virtude da ausência de estudos definitivos sobre a segurança e eficácia do fármaco para essas faixas etárias”.

No ponto, deve-se destacar que, em todos os debates realizados nas audiência de conciliação até o momento, a Roche Brasil tem afirmado, reiteradamente, que o pedido de registro do medicamento *Elevidys* na ANVISA, restringe-se ao tratamento de crianças portadoras de Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) que deambulam com idade entre 4 anos e 8 anos incompletos (7 anos, 11 meses e 29 dias).

A limitação etária e de condição clínica, segundo a farmacêutica, justifica-se pela **ausência de estudos definitivos sobre a segurança e eficácia para as demais faixas etárias.**

Segundo dados da União, já existem em curso mais de 110 ações nas quais se pleiteia o fornecimento do fármaco em questão. Durante a última audiência de conciliação, representantes da União e do Ministério da Saúde estimaram que cerca de metade dos pedidos se refere a crianças fora da faixa etária indicada como segura e eficaz pela farmacêutica.

Assim, levando em consideração que **o ponto primordial de toda a discussão é a garantia do bem-estar e da segurança das crianças portadoras de DMD, é de extrema relevância que o Poder Judiciário aja de modo consciente, observando-se a indicação clínica da farmacêutica responsável pelo medicamento, de modo que não exponha os pacientes a riscos desconhecidos.**

Diante do apresentado, deferi o pedido conjunto também nesse ponto.

Pois bem.

Conforme mencionado anteriormente, **a questão em debate possui natureza estrutural, de modo que sua finalidade é resolver não apenas a lide em si, mas corrigir um problema mais amplo, relacionado ao fornecimento do medicamento *Elevidys*, com enfoque na satisfação do direito das crianças portadoras da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), mas sem inviabilizar o funcionamento do sistema público de saúde.**

Desse modo, para que o acordo a ser firmado ao final das negociações seja eficaz para assegurar o direito de todos os envolvidos, entendo necessária a adoção de algumas diretrizes, especialmente no que se refere à atuação do Poder Judiciário na apreciação das ações que buscam o fornecimento do medicamento *Elevidys*.

Por esse motivo, deferi a liminar para determinar aos juízes que

observem as seguintes orientações:

1) Suspender as liminares deferidas em favor de crianças que contavam com menos de 6 anos e 6 meses, em 6.9.2024, até o fim das negociações, ressalvadas as decisões proferidas por Ministros do STF. Cabe registrar que a suspensão das liminares deferidas não tem o condão de impedir a apreciação das causas pelos Juízos de origem. Apenas os efeitos das liminares eventualmente deferidas permanecerão suspensas até a finalização das negociações, excetuadas as ressalvas acima já previstas.

2) Deve-se observar a limitação etária indicada pela farmacêutica (4 anos a 7 anos, 11 meses e 29 dias) e as condições clínicas referentes à deambulação e ao teste genético de compatibilidade, que não indique deleção dos EXON 8 e/ou 9, sem prejuízo das contraindicações e observações indicadas na bula registrada perante a FDA, com especial atenção à não recomendação a pacientes com títulos elevados de anticorpos de ligação total anti-AAVrh74 (títulos>1:400).

3) No cumprimento das liminares que não se enquadrarem na ordem de suspensão, a aquisição da medicação pela União se dará via compra direta da Uniphar, no valor acordado pelas partes no Supremo Tribunal Federal, no âmbito da PET 13.101, e a infusão será realizada pelo SUS, com todos os custos suportados pela União. Caso a União não consiga cadastrar hospitais públicos para a infusão, o procedimento será realizado por hospitais privados devidamente cadastrados. O Poder Judiciário unicamente intimará a União para fornecimento do medicamento, sem possibilidade de compra direta pela parte autora ou de sequestro de valores pelo Juízo.

4) É vedada a concessão de qualquer medida judicial (antecipatória ou definitiva) em desacordo com os critérios previstos no item 2 acima, ressalvadas as decisões proferidas por essa Corte.

Na ocasião, determinei a comunicação das Presidências de todos os Tribunais Regionais Federais e Tribunais de Justiça para que providenciem a ciência aos Juízos a eles vinculados.

Por fim, esclareço, para que não parem dúvidas, que o teste de anticorpos anti-AAVrh74 deverá ser custeado pela Roche após o eventual

deferimento judicial do fornecimento do medicamento, mas antes do desembolso do numerário pela União.

Ante o exposto, ratifico os fundamentos apresentados e proponho o referendo da decisão que deferiu a liminar, em 25.10.2024.