GT ELEVIDYS / DOENÇAS RARAS

Dra. Fernanda B. Martins Feitoza

Assistente: Sthefany Marques

11 DE NOVEMBRO DE 2026

SLIDE 1 · DESCRIÇÃO DO PROBLEMA

O que está errado?

Hoje, a judicialização de terapias de altíssimo custo ocorre de forma fragmentada e pode consumir tempo decisivo para pacientes com doenças raras, ao mesmo tempo em que pressiona o orçamento do SUS e reduz a previsibilidade das compras públicas.

Situação atual

No caso Elevidys, o TCU mapeou **219 processos judiciais no DJUD**. O cumprimento das decisões envolve alto custo, critérios clínicos e etários, registro sanitário, disponibilidade do medicamento, aquisição/importação e compatibilização com o orçamento público.

Fonte: TCU, Acórdão nº 2.782/2026 – Plenário, item 192, Processo TC 000.027/2025-1.
Abrir Acórdão nº 2.782/2026 no TCU

Quem/onde é afetado

Pacientes com DMD e outras doenças raras — principalmente crianças próximas de perder critérios de elegibilidade —, famílias, centros de referência, SUS, Ministério da Saúde, AGU e Poder Judiciário.

Impacto

Em 2025, a judicialização federal da saúde alcançou cerca de **R$ 1,98 bilhão**. Para o Elevidys, o TCU estimou impacto potencial de até **R$ 3,24 bilhões**, além do risco clínico de perda da janela terapêutica durante a espera.

SLIDE 2 · DESCRIÇÃO DA SOLUÇÃO

O que será feito?

Vamos estruturar um fluxo nacional pré-judicial para terapias de altíssimo custo, capaz de identificar rapidamente a urgência clínica, concentrar a avaliação técnica e ampliar o poder de negociação do SUS.

Ação proposta

Criar rito administrativo prioritário para casos com janela terapêutica, com triagem em centro de referência, parecer técnico acelerado, integração entre Ministério da Saúde, Conitec, Anvisa e NatJus e negociação centralizada com a indústria.

Quando cabível, poderão ser utilizados mecanismos como **compartilhamento de risco, pagamento por resultado, parcelamento, teto financeiro e acesso gerenciado**.
.
.

Resultado esperado

Reduzir o tempo de resposta e a litigiosidade, evitar que a demora administrativa provoque perda de elegibilidade, aumentar a previsibilidade orçamentária, ampliar o poder de negociação do SUS e produzir dados de vida real para reavaliar eficácia, segurança e custo.

SLIDE 3 · EXECUTOR DA SOLUÇÃO

Quem faz e até quando?

Ministério da Saúde: estruturar o fluxo administrativo, a negociação e o monitoramento.
GT Elevidys/Doenças Raras: consolidar a proposta e encaminhá-la para avaliação legislativa e institucional.

Responsável

Ministério da Saúde: estruturar o fluxo administrativo, a negociação e o monitoramento.
GT Elevidys/Doenças Raras: consolidar a proposta e encaminhá-la para avaliação legislativa e institucional.

Apoio

Anvisa, Conitec, AGU, CNJ/NatJus, centros de referência e representantes de pacientes.
.

Prazo

Até **dezembro de 2026**, o GT deverá consolidar as recomendações e submetê-las à Consultoria Legislativa do Senado Federal.
Após a validação, os órgãos responsáveis poderão estabelecer cronograma de implementação, priorizando medidas administrativas que não dependam de alteração legislativa.
.

SLIDE 4 · CONCLUSÃO

Conclusão

O caso Elevidys demonstra que a judicialização de terapias de altíssimo custo não pode ser tratada apenas como uma disputa entre **direito individual à saúde e limitação orçamentária**. O acesso envolve também urgência clínica, janela terapêutica, evidência científica, segurança sanitária, registro regulatório e capacidade de negociação do Estado. Quando a resposta é lenta, o paciente pode perder definitivamente a elegibilidade; quando a compra é fragmentada, o SUS perde previsibilidade e poder de negociação.

Por isso, o caminho mais sustentável é estruturar um **modelo nacional pré-judicial**, com avaliação técnica rápida, prioridade para pacientes com risco de perda da janela terapêutica, negociação centralizada, compartilhamento de risco, pagamento por resultados e acompanhamento de dados de vida real.

Assim, busca-se conciliar **urgência clínica, segurança do paciente, equidade de acesso e sustentabilidade financeira do SUS**.

SLIDE 5 · CASOS EMERGENCIAIS

Liminares não cumpridas e janela terapêutica

Situação: pacientes que obtiveram decisões liminares favoráveis para acesso ao Elevidys e enfrentaram demora no cumprimento. Em 2024, a própria União informou ao STF que havia 13 liminares concedidas e que 11 ainda aguardavam a compra pelo Ministério da Saúde.

Risco: A situação é especialmente grave para crianças próximas de completar **8 anos**, pois a indicação brasileira então aprovada abrangia pacientes de **4 anos a 7 anos, 11 meses e 29 dias**. O STF já reconheceu o risco da demora e determinou que fosse observada a janela de oportunidade de cada paciente, inclusive autorizando medidas para aqueles que poderiam perder a elegibilidade nos 150 dias seguintes.

Proposta do GT: Defender a criação de uma **via excepcional e humanitária**, com análise individualizada e prioritária, para pacientes que **já possuíam liminar deferida antes da perda da janela terapêutica**, especialmente aqueles que completaram ou estão próximos de completar 8 anos durante a espera pelo cumprimento. A análise deverá considerar a condição clínica atual, segurança, evidências científicas e viabilidade regulatória e judicial, especialmente porque o registro brasileiro do Elevidys foi cancelado em **24 de agosto de 2026**.

O paciente não deve ser prejudicado pela demora estatal quando preenchia os critérios de elegibilidade no momento em que a decisão judicial foi concedida.