

Nusinersena (Spinraza): uma abordagem sobre a judicialização e o alto custo do medicamento

Nusinersena (Spinraza): na approach to judicialization and the high cost of drugs

Nusinersena (Spinraza): un enfoque sobre la judicialización y el alto costo de la medicina

Luanda Dolores Nunes Valadares^{1*}, Lidiane Andressa Cavalcante Uhlmann¹.

RESUMO

Objetivo: Abordar o alto custo do medicamento Nusinersena e analisar a influência da judicialização do medicamento no âmbito da saúde. **Revisão Bibliográfica:** Nusinersena foi o primeiro medicamento aprovado para tratar Atrofia Muscular Espinhal. Tendo em vista o alto custo deste medicamento, o paciente recorre ao Sistema Único de Saúde, e quando o mesmo tem esse direito indeferido e, se vê sem alternativas, acionam ao Poder Judiciário, como forma de interferir e mediar o direito que lhe foi ferido para salvaguardar sua saúde e garantir-lhe o direito à vida. Buscando fazer com que se obedeça à legislação, e principalmente o direito fundamental, vigente no âmbito constitucional, pelos Municípios, Estados e União. **Considerações finais:** Podemos perceber que, é de suma importância ter uma melhor articulação entre os setores jurídicos e os de saúde para obter um consenso entre todos aqueles que trabalham em prol da judicialização, fazendo com que o paciente receba o tratamento adequado, conforme a sua necessidade.

Palavras-chave: Alto custo, Judicialização, Sistema único de saúde, Spinraza.

ABSTRACT

Objective: To address the high cost of the Nusinersena medication and to analyze the influence of the judicialization of the medication in the scope of health. **Bibliographic Review:** Nusinersena was the first drug approved to treat Spinal Muscular Atrophy. In view of the high cost of this medication, the patient resorts to the Unified Health System, and when it has this right denied and, if it sees no alternatives, they turn to the Judiciary, as a way to interfere and mediate the right that was injured to safeguard your health and guarantee your right to life. Seeking to enforce the legislation, and especially the fundamental right, in force in the constitutional scope, by the Municipalities, States and Union. **Final considerations:** We can see that it is extremely important to have a better articulation between the legal and health sectors in order to reach a consensus among all those who work in favor of judicialization, ensuring that the patient receives the appropriate treatment, as needed.

Key words: High cost, Judicialization, Single health system, Spinraza.

RESUMEN

Objetivo: Abordar el alto costo de la medicación Nusinersena y analizar la influencia de la judicialización de la medicación en el ámbito de la salud. **Revisión bibliográfica:** Nusinersena fue el primer fármaco aprobado para tratar la atrofia muscular espinal. Ante el alto costo de esta medicación, el paciente recurre al Sistema Único de Salud, y cuando se le niega este derecho y, si no ve alternativas, recurre al Poder Judicial, como una forma de interferir y mediar el derecho que le corresponde. fue lesionado. para salvaguardar su salud y garantizar su derecho a la vida. Buscando hacer cumplir la legislación, y en especial el derecho fundamental, vigente en el ámbito constitucional, por parte de los Municipios, Estados y la Unión. **Consideraciones finales:** Podemos ver que es sumamente importante tener una mejor articulación entre el sector legal y el de salud para llegar a un consenso entre todos los que trabajan a favor de la judicialización, asegurando que el paciente reciba el tratamiento adecuado, según sea necesario.

Palabras clave: Alto costo, Judicialización, Sistema único de salud, Spinraza.

¹ Faculdade de Palmas (FAPAL), Palmas – TO. *E-mail: valadareeslu@gmail.com

INTRODUÇÃO

No início da década de 1990, de acordo com os princípios estabelecidos na Constituição Federal de 1988, foram empreendidos esforços para a implantação do Sistema Único de Saúde (SUS). Os medicamentos e outras tecnologias de saúde foram e ainda são o núcleo do sistema de saúde, contribuindo para a prevenção de doenças e cuidados de saúde (VASCONCELOS DMM, et al., 2017). Ainda de acordo com Brasil (1988) no artigo 196 da Constituição Federal estabeleceu o direito à saúde a todos os membros da sociedade, pelos seguintes termos:

“A saúde é um direito de todos e dever do Estado, garantindo, 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).

O direito à saúde é classificado como um direito subjetivo protegido pela Constituição. Essa ampla garantia do artigo 196 da Constituição Federal afetou sobremaneira a judicialização da saúde, interferiu nas políticas públicas de saúde e na gestão de novas tecnologias pelo Poder Executivo (SILVA CBM, 2020).

A justiça se tornou um dos métodos mais utilizados para resolver o problema de acesso a medicamentos. Na listagem dos medicamentos mais polêmicos, incluídos em demandas judiciais do Sistema Único de Saúde, estão presentes os medicamentos de alto custo. Tendo em vista o crescente número de doenças raras no Brasil, sendo um importante problema de saúde pública, não só em países que estão em ascensão, foi possível verificar a presença da escassez de incentivos governamentais para os produtores locais das medicações. Pode-se considerar que grande parte das indústrias farmacêuticas são compostas por corporações multinacionais cujo seus interesses geralmente podem ser diferentes dos interesses sociais dos países nos quais elas concentram as suas atividades (OLIVEIRA AG e SILVEIRA D, 2016).

Em 2019, foi incorporado ao Sistema Único de Saúde pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia (CONITEC) o medicamento Nusinersena, é o medicamento com maior custo já incorporado para a Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q tipo I. Essa inclusão é referência na deliberação de novas tecnologias no Sistema Único de Saúde, que será alcançada por meio de um acordo de compartilhamento de riscos (CAETANO R, et al., 2019).

Antes da sua regularização tinha um custo de R\$ 420.000,00 (quatrocentos e vinte mil reais), com a sua regularização o preço por ampola passou a ser de R\$ 209.000,00 (duzentos e nove mil reais), decrescendo em 50% do valor (CARMO WAH, et al., 2019). Por mais que, o Nusinersena tenha sido incorporado ao Sistema Único de Saúde em abril de 2019, ele tem um custo alto, cada paciente que necessita de tratamento representa, cerca de um gasto de R\$ 1,3 milhão por ano com o medicamento (JESUS AV, 2019).

Nos últimos anos, tem tido pesquisas promissoras para o desenvolvimento de novos fármacos que intervêm na fisiopatologia da AME. Entre estes, Nusinersena foi o primeiro medicamento aprovado para tratar essa doença (PECHMANN A, et al., 2018). A instrução de dosagem apropriada para qualquer área, idade ou peso, é administrada por via intratecal de 12 mg (6 doses no primeiro ano, 3 doses subsequentes são mantidas) (CAETANO R, et al., 2019). Visto que teve como base vários estudos que apontam a eficiência do Nusinersena na paralisação do progresso da Atrofia Muscular Espinhal para quadros graves e que predomina na maior parte dos pacientes (JESUS AV, 2019).

O segundo medicamento para Atrofia Muscular Espinhal, o Onasemnogene abeparvovec-xioi (Zolgensma) recebeu aprovação da Food and Drug Administration (FDA) em 2019 RIERA R, et al., 2019; BRASIL, 2020, e em 2020 foi registrado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária. O seu modo de aplicação consiste em uma dose única por via intravenosa, ele é considerado o medicamento mais caro do mundo (RIERA R, et al., 2019).

Independentemente da escolha do tratamento, é importante que os pacientes com AME comecem o tratamento o mais rápido após o diagnóstico. Isso ocorre porque quando o nível de proteína de Sobrevivência do Neurônio Motor (SMN) no corpo humano está baixo, as células do neurônio motor

diminuem e, eventualmente, morrem. Bebês com AME tipo 1, morrem cerca de 90% de seus neurônios motores aos seis meses de idade. Quando esses neurônios são perdidos, eles não podem se regenerar (INAME, 2019).

Nesse contexto, o objetivo deste artigo foi abordar o alto custo do Nusinersena e analisar a influência da judicialização do medicamento no âmbito da saúde. Este tema, “Nusinersena (Spinraza): uma abordagem sobre a judicialização e o alto custo do medicamento”, mostra sua importância ao relatar sobre o acesso das pessoas que possuem doenças classificadas como raras e necessitam de medicamentos, que são de grande monta, sendo assim, ficam limitados a uma proporção pequena de pessoas que possuem condições financeiras para comprar, e por isso, para terem acesso ao referido medicamento, recorre ao Sistema Único de Saúde ou movimenta o judiciário para obrigar o Estado fornecer o medicamento.

REVISÃO BIBLIOGRÁFICA

Direito à saúde com a intervenção do judiciário

Nas palavras de Antunes PCB (2015), o acesso a medicamentos é, sem dúvida alguma, uma questão de direitos humanos, pois no caso o que está em jogo é o direito à saúde, que afeta diretamente o direito à vida. Conforme o artigo 196 da Constituição Federal de 1988:

“A saúde é um direito de todos e dever do Estado, garantindo, 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).

O direito a saúde no Brasil é tema de grandes discussões no mundo jurídico, tanto é que na maior parte dos casos precisam acionar o Poder Judiciário para sua efetivação, entretanto, ao longo dos anos o direito a saúde no Brasil passou por importantes mudanças, desde as primeiras políticas de saúde públicas até o que se conhece hoje por Sistema Único de Saúde, que é resultado de grandes lutas sociais, de reivindicações por melhores condições de vida, ou seja, foi uma longa construção histórica para se chegar ao reconhecimento da saúde como um direito fundamental, como é previsto na Constituição Federal vigente (ANDRADE TS, 2020).

Sua importância está no fato de que, através de sua regulamentação na Lei Maior, materializa-se o direito fundamental a saúde, esculpido no próprio texto constitucional, competindo, tão somente ao poder público a sua execução e fiscalização. E essas ações são realizadas através das instituições que fazem parte do Sistema Único de Saúde, como o Ministério da Saúde, secretarias estaduais e municipais de saúde (ANDRADE TS, 2020).

O Sistema Único de Saúde foi criado em 19/09/1990 por meio da Lei n. 8.080/1.990 com o objetivo de promoção, proteção e recuperação da saúde. Mas, o descaso com a saúde tem sido alvo de muitas denúncias de pacientes e jornalistas. Para aqueles que dependem e necessitam dos atendimentos que muitas vezes demoram e acabam agravando a doença. O caso se agrava mais ainda, quando um cidadão enfermo precisa fazer o uso de medicamentos de custo elevado, sob diversas alegações, que vão desde a possível reserva de medicamentos, até a ausência da lista oficial elaborada pelo Ministério da Saúde, fazendo com que o Sistema Único de Saúde, deixe de fornecer fármacos essenciais e necessários, para o devido tratamento de forma saudável aos cidadãos. Com isso, deixa de cumprir com o direito fundamental e social expresso na Constituição Federal e Lei do Sistema Único de Saúde (CARMO WAH, et al., 2019).

Desta forma, quando o cidadão tem esse direito indeferido e, se vê sem alternativas, recorre ao Poder Judiciário, como forma de interferir e mediar, o direito que lhe foi ferido para salvaguardar sua saúde e garantir-lhe o direito à vida. Buscando fazer com que se obedeça à legislação, e principalmente o direito fundamental, vigente no âmbito constitucional, pelos Municípios, Estados e União. Vale ressaltar que, na maioria das vezes a negativa em conceder um medicamento ocorre por parte do Sistema Único de Saúde, seja pela ausência desse medicamento, ou pela falta de previsão na Relação Nacional de Medicamentos

Essenciais (RENAME) que tem como alegação na maioria das vezes, a insuficiência orçamentária, como prova de um sistema de saúde incompleto, que não consegue concretizar a garantia e proteção desse direito fundamental (CARMO WAH, et al., 2019).

Nesse sentido, tem se, no ordenamento jurídico pátrio normas de efetivação de políticas públicas voltadas ao fornecimento de medicamentos. Dentre os quais, a Portaria n. 3.916/98, na qual aprova a Política Nacional de Medicamentos; a instituição da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais; a Portaria n. 1.318/2002, que trata dos medicamentos raros que devem ser fornecidos gratuitamente pelo governo. No entanto, apesar de todos os esforços, essas medidas não obtiveram resultado no tocante a distribuição dos medicamentos a quem deles necessitam. Desse modo, entende-se que a falta de medicamentos não se dá pela falta de normas, e sim pela má administração dos gestores (ANDRADE TS, 2020).

Sem a saúde não há dignidade para o cidadão. Se não houver questões relacionadas e garantias de saúde dos sujeitos, isso poderá levá-los a morte, o que pode ser um insulto ao princípio constitucional, ou seja, à dignidade humana (SILVA JUNIOR EF, 2014).

Silva LC (2013) relata que o poder judiciário que deveria ser a última alternativa de muitos pacientes para conseguir medicamentos ou tratamentos, porém, vem se tornando cada vez mais a única forma de intermédio para alcançar o desejado, devido ao Sistema Único de Saúde não conseguir atender a todos

Atrofia Muscular Espinhal (AME)

A atrofia muscular espinhal é uma doença neuromuscular de origem genética que só apresenta na falta do gene oposto, com acontecimento de 1: 10.000 nascidos vivos e com prevaletimento estimado de 1-2: 100.000. Causada por uma mutação no gene de Sobrevivência do Neurônio Motor 1 (SMN1) no cromossomo 5. A Atrofia Muscular Espinhal é caracterizada pelo agravamento dos neurônios motores da medula espinhal e do tronco cerebral, levando à atrofia e paralisia progressiva, e a forma mais grave requer suporte ventilatório (VERHAART IEC, et al., 2017).

A maior parte da proteína do SMN é produzida a partir de um gene de mesmo nome - SMN1. Atrofia Muscular Espinhal surge quando há um defeito neste gene ou quando o gene está ausente. No entanto, você não pode viver sem nenhuma proteína SMN. Os humanos abrigam uma segunda cópia, quase idêntica do gene SMN1, chamada de Sobrevivência do Neurônio Motor 2 (SMN2), que atua como backup, produzindo pequenas quantidades de proteína SMN. No entanto, é um sistema de backup ineficiente, produzindo muito menos proteína do que o gene SMN1. Normalmente, os pacientes com Atrofia Muscular Espinhal carregam duas ou mais cópias do gene SMN2, quanto mais genes SMN2, menos grave é o resultado da doença (PRAKASH V, 2017).

No entanto, uma vez que a quantidade de proteína formada é baixa, mesmo várias cópias de SMN2 não pare totalmente a doença. É exatamente isso que o medicamento visa. O Nusinersena é uma sequência curta de material genético sintético direcionado ao produto do gene SMN2, fazendo com que ele gere mais da proteína SMN funcional. Ao fazer isso, ele contorna o gene SMN1, compensando a deficiência (PRAKASH V, 2017). A dosagem apropriada para qualquer idade, área ou peso são administradas por via intratecal de 12 mg (6 doses no primeiro ano, 3 doses subsequentes são mantidas), com critérios também definidos para a interrupção terapêutica (CAETANO R, et al., 2019).

Atrofia Muscular Espinhal possui cinco características observáveis clínicas— 0, I, II, III e IV – em termos de estágio inicial e gravidade. Por definição, o início dos sintomas ocorre antes dos 6 meses de idade ea mortalidade dessas crianças é causada principalmente por envolvimento respiratório (PECHMANN A, et al., 2018). O tipo I, o qual houve inclusão no Sistema Único de Saúde, relaciona-se a cerca de 60% dos casos, com surgimento precoce dos sintomas, a mortalidade ocorre frequentemente nos primeiros seis meses até dois anos de idade.

Essa doença possui vários sinais prejudiciais ao paciente, causando dificuldades nos movimentos da pessoa como sustentar a cabeça, sentar ou até mesmo andar. Com a falta do tratamento, o paciente pode evoluir a óbito (CARMO WAH, et al., 2019).

Entendendo o Alto Custo do Nusinersena (SPINRAZA)

Em dezembro de 2016, a fabricante Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda recebeu a autorização da FDA para fabricar o primeiro medicamento para o tratamento de AME. Vale salientar que, antes disso os portadores desta doença não possuíam alternativas de tratamentos. Mas desde a sua aprovação, o medicamento vem ajudando milhares de pessoas pelo mundo (BIOGEN, 2021). Em agosto de 2017 o Nusinersena foi registrado no Brasil Caetano R, et al. (2019) e atualmente, existem outros medicamentos para AME, mas incorporado ao SUS só o Nusinersena. Tendo em vista que sua incorporação foi em 2019 (CARMO WAH, et al., 2019). O segundo medicamento para AME possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária desde 2020 para comercialização e o seu custo é acima de 8 milhões de reais (BRASIL, 2020; RIERA R, et al., 2019).

A Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda, é a única fabricante do Nusinersena. Em 2017, um argumento frequentemente proposto para justificar o preço de um medicamento é que os custos de pesquisa e desenvolvimento precisam ser recuperados de uma pequena população-alvo. De fato, pesquisas anteriores apontaram para uma relação inversa entre o preço de um medicamento e a prevalência da doença rara. Embora essa relação tenha sido bem documentada, nenhuma justificativa foi fornecida para a curva matemática específica observada, nenhuma explicação foi dada (SIMOENS S e HUYS I, 2017),

O preço do Nusinersena é reivindicado pela fabricante para refletir seu benefício clínico. É um desafio investigar essa alegação, pois não está claro, por exemplo, quanto à sociedade está disposta a pagar por seus benefícios. É preciso reconhecer que a situação do mercado também deve desempenhar um papel no preço do Nusinersena, especificamente o fato de o medicamento ser o primeiro tratamento da classe. Nusinersena atende a uma necessidade médica não atendida e oferece a opção para tratar de a Atrofia Muscular Espinhal (SIMOENS S e HUYS I, 2017).

Esses são fatores importantes para o valor e precisam ser refletidos em seus preços, tendo em vista que a patente do medicamento faz parte de um dos fatores. Por outro lado, isso efetivamente concede uma posição de monopólio à Biogen, com potencial para aumentar o preço do Nusinersena. Para compensar essa posição monopolística, é necessário considerar os incentivos que apoiam a inovação e a concorrência farmacêutica (SIMOENS S e HUYS I, 2017).

CONSIDERAÇÕES FINAIS

Podemos perceber que, é de suma importância ter uma melhor articulação entre os setores jurídicos e os de saúde para obter um consenso entre todos aqueles que trabalham em prol da judicialização, fazendo com que o paciente receba o tratamento adequado, conforme a sua necessidade. Entretanto, na permanência de uma má administração no setor público, sempre haverá problemas de saúde pública, dessa forma, os prejudicados são os pacientes que necessitam do Sistema Único de Saúde. Pois se trata de uma doença rara, após o diagnóstico o portador de AME precisa começar o tratamento urgentemente, só que, a medicação é de alto custo, e o atraso do tratamento pode trazer consequências irreversíveis. Tendo em vista os preços notáveis que as patentes ocasionam nos medicamentos, é dever do Estado amparar o paciente que o recorre, o qual possui urgentes e inadiáveis necessidades.

REFERÊNCIAS

1. ANDRADE TS. Do direto a saúde dos portadores da AME: Análise jurídica face o princípio da dignidade da pessoa humana. Universidade Federal de Campina Grande, Centro de ciências jurídicas e sociais, 2020.
2. ANTUNES PCB. A patente farmacêutica nos países em desenvolvimento: os efeitos do TRIPS na política brasileira de combate ao HIV. Atlas, 2015.
3. BIOGEN. Atrofia muscular espinhal (AME). Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: https://br.biogen.com/pt_BR/sma.html. Acesso em: 14 abril 2021.
4. BRASIL. Constituição Federal de 1988. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao.htm. Acesso em: 29 março 2021

5. BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Aprovado registro de produto de terapia gênica. 2020. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2020/aprovado-registro-de-produto-de-terapia-genica>. Acesso em: 19 maio 2021.
6. BRASIL. Ministério da Saúde (MS). Componente Especializado da Assistência Farmacêutica: Inovação para a garantia do acesso a medicamentos no SUS. 2014. Disponível em: <https://antigo.saude.gov.br/images/pdf/2020/May/28/Livro-2---Componente-Especializado-da-Assist-ncia-Farmac-utica---inova---o-para-a-garantia-do-acesso-a-medicamentos-no-SUS.pdf>. Acesso em: 17 março 2021.
7. CAETANO R, et al. A incorporação do Nusinersena no Sistema Único de Saúde e: uma reflexão crítica sobre a institucionalização da avaliação de tecnologias em saúde no Brasil. Cadernos de Saúde Pública, 2019.
8. CARMO WAH, et al. A judicialização da saúde no Brasil e as políticas públicas. Brazcubas Educação 2019. Disponível em: <https://revistas.brazcubas.br/index.php/dialogos/article/view/837/849>. Acesso em: 18 março 2021.
9. INSTITUTO NACIONAL DE ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (INAME). Tratamentos da AME, Visão Geral. 2019. Disponível em: <https://iname.org.br/tratamentos-da-ame/visao-geral/>. Acesso em: 19 maio 2021.
10. JESUS AV. Direito a saúde e aos medicamentos de alto custo: Análise da licença compulsória “Quebra de patente”. Monografia (Bacharel em Direito). Universidade do Sul de Santa Catarina, Tubarão, 2019; 71p.
11. OLIVEIRA AG, SILVEIRA D. Medicamentos órfãos – Doenças raras e a judicialização da saúde. Infarma- Ciências Farmacêuticas, 2016.
12. PEÇANHA LO, et al. Judicialização de medicamentos no Estado do Rio de Janeiro: evolução de 2010 a 2017. Saúde em Debate, 2019.
13. PECHMANNA, et al. Evaluation of Children with SMA Type 1 Under Treatment with Nusinersen within the Expanded Access Program in Germany. Journal of Neuromuscular Diseases, 2018.
14. PRAKASH V. Spinraza-a rare disease success story. Gene Ther. 2017.
15. RIERA R, et al. Eficácia, segurança e aspectos regulatórios dos medicamentos órfãos para doenças raras: o caso Zolgensma®. Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário. 2019. Disponível em: <https://www.cadernos.prodisa.fiocruz.br/index.php/cadernos/issue/view/33/64>. Acesso em: 19 maio 2021
16. SILVA CBM. Uma análise do medicamento Spinraza – Judicialização da saúde Conteúdo Jurídico, 2020. Disponível em: <https://conteudojuridico.com.br/consulta/artigos/54017/uma-analise-do-medicamento-spinraza-judicializacao-da-saude>. Acesso em: 17 março 2021
17. SILVA JÚNIOR EF. Direito à saúde e fornecimento de medicamentos pelo poder público. Revista Jus Navigandi. 2014. Disponível em: <https://jus.com.br/artigos/34939/direito-a-saude-e-fornecimento-de-medicamentos-pelo-poder-publico>. Acesso em: 29 março 2021
18. SILVA LC. Judicialização da saúde: Em busca de uma contenção saudável. 2013. Disponível em: <https://ambitojuridico.com.br/cadernos/direito-constitucional/judicializacao-da-saude-em-busca-de-uma-contencao-saudavel/> acesso em: 16 abril 2021
19. SIMOENS S, HUYS I. Market access of Spinraza (Nusinersen) for spinal muscular atrophy: intellectual property rights, pricing, value and coverage considerations. Gene Ther., 2017.
20. VASCONCELOS DMM, et al. Política Nacional de Medicamentos em retrospectiva: um balanço de (quase) 20 anos de implementação. Ciência & Saúde Coletiva, 2017.
21. VERHAART IEC, et al. Prevalence, incidence and carrier frequency of 5q-linked spinal muscular atrophy: a literature review. Orphanet J Rare Dis., 2017; 12:124.