



SUPERIOR TRIBUNAL DE JUSTIÇA

MANDADO DE SEGURANÇA Nº 26645 - DF (2020/0185061-8)

RELATOR : **MINISTRO NAPOLEÃO NUNES MAIA FILHO**
IMPETRANTE : K L DE C R (MENOR)
REPR. POR : KAYRA DANTAS DE CARVALHO ROCHA
ADVOGADOS : DANIELA PEON TAMANINI ROSALES - DF021817
FLAVIA PONTES QUEVEDO - DF027337
KAYRA DANTAS DE CARVALHO ROCHA - DF026239
MAYRA COURY ARAUJO - DF044470
IMPETRADO : MINISTRO DA SAÚDE
INTERES. : UNIÃO

DECISÃO

I. ADMINISTRATIVO E HUMANITÁRIO. AÇÃO DE MANDADO DE SEGURANÇA. FORNECIMENTO DE MEDICAMENTO. PROCESSO ADMINISTRATIVO EM QUE O MINISTRO DA SAÚDE NEGA O PEDIDO DO REMÉDIO. ATO COATOR DEVIDAMENTE CARACTERIZADO. PRESENÇA DOS REQUISITOS AUTORIZADORES DA CONCESSÃO DA TUTELA PROVISÓRIA.

II. FUMAÇA DO BOM DIREITO DEMONSTRADA PELA DOCUMENTAÇÃO APRESENTADA COM A PETIÇÃO INICIAL ONDE SE IDENTIFICA A NECESSIDADE URGENTE DE A IMPETRANTE TER ACESSO IMEDIATO AO MEDICAMENTO.

III. IMPOSSIBILIDADE DE SE AGUARDAR A REALIZAÇÃO DE PERÍCIA OU QUALQUER OUTRO ENTRAVE BUROCRÁTICO, DADA A CONSTANTE EVOLUÇÃO DA ATROFIA MEDULAR ESPINHAL QUE COTIDIANAMENTE ELIMINA NEURÔNIOS DO PORTADOR, BEM, COMO DA LIMITAÇÃO ETÁRIA AO RECEBIMENTO DA TERAPIA COM O ANIVERSÁRIO DE DOIS ANOS DA IMPETRANTE, O QUE SE DARÁ EM POUCOS MESES.

*IV. CASO CONCRETO EM QUE, APESAR DE SE TRATAR DO CHAMADO **REMÉDIO MAIS CARO DO MUNDO**, A FAMÍLIA DA IMPETRANTE, EM CAMPANHAS SOLIDÁRIAS, JÁ OBTEVE QUANTIA REFERENTE QUASE À METADE DO VALOR NECESSÁRIO PARA A SUA AQUISIÇÃO NO EXTERIOR. DETERMINAÇÃO DO COMPLEMENTO DO MONTANTE, PELA UNIÃO FEDERAL, NO PRAZO MÁXIMO E IMPRORROGÁVEL DE 15 DIAS.*

1. Trata-se de Mandado de Segurança impetrado por K L C R, representada por sua genitora KAYRA DANTAS DE CARVALHO ROCHA contra omissão administrativa imputada ao Ministro de Estado da Saúde, ante o não fornecimento de medicamento necessário ao seu tratamento médico, em regime de urgência urgentíssima.

2. Sustenta, em síntese, a impetrante que possui um ano de idade e, tem diagnóstico de Atrofia Muscular Espinhal-AME, **patologia que leva grande percentual de seus portadores à morte por falência respiratória**, mesmo aqueles que fazem uso da medicação aprovada pelo SUS, denominada *Spinraza*, da qual faz uso, através de seu plano de saúde.

3. Argumenta que, forte em recentes estudos inovadores, houve prescrição de nova medicação, a qual, por ocasião do ajuizamento do presente MS, **ainda não havia sido aprovada para uso no Brasil**, denominada *Zolgensma*[®], que possui eficácia em **impedir a progressão da patologia**, por atuar, se administrada, até dois anos de idade, na raiz da causa da Atrofia Muscular Espinhal. Divulga-se índice de 91% dos pacientes que se utilizaram dessa nova droga, permanecem vivos em sem a necessidade de suportes respiratório permanente, número que, com a medicação atual é bem menor.

4. Aponta, a parte impetrante que a referida medicação **já foi aprovada para uso nos Estados Unidos da América**, através da *FDA-Food and Drug Administration*, órgão similar à ANVISA, **na União Europeia e também no Japão**. Existindo, ainda, decisões judiciais brasileiras, determinando o fornecimento da tal medicação, para tratamento desta patologia que é considerada ultrarrara.

5. Diz, finalmente, que no julgamento da ADFP 532, a eminente Ministra do STF, CARMEN LÚCIA, afirmou, que *saúde não é mercadoria; vida não é negócio e dignidade não é lucro*. Reforçando, ao final, que dentro do sistema de proteção às pessoas com deficiência, os menores de idade gozam de proteção absoluta e prioritária, a abranger a situação peculiar da impetrante.

6. Intimada a parte impetante para identificar com clareza o ato apontado como coator, sobreveio aos autos a petição de fls. 914/915, onde se requereu a juntada do Ofício no. 1027/2020/DATDOF/CGGM/GM/MS, de 18.8.2020, com resposta parcial ao requerimento administrativo indicado no Processo 25000.110902/2020-36.

7. Providenciou, ainda, a parte impetrante a juntada na recentíssima Resolução ANVISA 3.061, de 14.8.2020, publicada no DOU de 17.8.2020, **registrando o medicamento pleiteado, no Brasil** (fls. 948/950).

8. Proferi decisão, deferindo parcialmente a tutela pleiteada, para que a autoridade impetrada decidisse o requerimento administrativo no prazo de 15 dias. Eis a ementa:

ADMINISTRATIVO E PROCESSO CIVIL. MANDADO DE SEGURANÇA. FORNECIMENTO DE MEDICAMENTO. DEMONSTRAÇÃO PRÉVIA DA EXISTÊNCIA DE PROCESSO ADMINISTRATIVO INCONCLUSO QUE SE DESENVOLVE PERANTE O MINISTÉRIO DA SAÚDE. RESPOSTA ADMINISTRATIVA OFERECIDA À IMPETRANTE QUE NÃO APRECIA O PLEITO. SUPERVENIÊNCIA DO REGISTRO DA MEDICAÇÃO PERANTE A ANVISA. NECESSIDADE REAL, VINCULADA À EFICÁCIA DO TRATAMENTO DE QUE A MEDICAÇÃO SEJA ADMINISTRADA ANTES QUE A PACIENTE COMPLETE DOIS ANOS DE VIDA. PODER GERAL DE CAUTELA. TUTELA LIMINAR PARCIALMENTE DEFERIDA, PARA DETERMINAR QUE A AUTORIDADE IMPETRADA DECIDA, DE MANEIRA CONCLUSIVA E FUNDAMENTADA, O REQUERIMENTO ADMINISTRATIVO FORMULADO PELA IMPETRANTE, NO PRAZO IMPROPRORROGÁVEL DE 15 DIAS (fls. 961).

9. A parte imperante pediu a reconsideração da decisão, pugnando pela concessão integral da liminar, enfatizando que pela campanha realizada junto à população já havia arrecadado R\$ 4.013.270,64, equivalente a aproximadamente um terço do valor total da medicação, estando pois, a pleitear a diferença.

10. Foi decretado o segredo de justiça, tal como requerido às fls. 906/908.

11. Sobreveio manifestação Ministerial, manifestando ciência ao deferimento parcial antecipatório e, requerendo nova vista após a chegada das informações (fls. 1.001).

12. A UNIÃO requereu seu ingresso na lide mandamental (fls. 1.003).

13. Ao final do prazo anteriormente estipulado, sobrevieram as informações da autoridade impetrada, a qual ainda cumprindo o provimento parcial anterior, decidiu o requerimento administrativo, **concluindo pelo seu indeferimento** (fls. 1.017/1.082 e 1.084/1.158).

14. Nova petição da parte impetrante (fls. 1.160/1.166), onde informa que a campanha pessoal de arrecadação de fundos já conseguiu levantar R\$ 5.340.981,14, apresentou ainda, novo orçamento atual da medicação datado de 21.9.2020, no importe de US\$ 2.246.750,00, pleiteando a concessão integral da ordem, por depósito de R\$ 6.659.018,86, referentes à diferença entre a arrecadação e o que falta para a aquisição do medicamento, no prazo de 7 dias.

15. É o relatório.

16. De início, importante destacar que tendo sido o requerimento administrativo, formulado pela parte impetrante, objeto de decisão pela autoridade impetrada, esvai-se qualquer possível dúvida acerca da existência de ato coator, podendo, portanto, a partir de agora ser apreciado, em sua inteireza o pedido de tutela urgente realizado na presente impetração mandamental. Veja-se a declaração da autoridade impetrada:

*Por oportuno, em atendimento à decisão proferida por vossa Excelência, encaminhada por intermédio do Ofício n° 010030/2020-CPDP (0016670105), de 11 de setembro de 2020, **informo que o pedido administrativo da impetrante já foi apreciado e decidido por mim, de forma conclusiva**, conforme a documentação que segue anexa ao presente expediente: Despacho DATDOF (SEI 0016885592), NOTA TÉCNICA N° 240/2020-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS (0016740192), DESPACHO CGCIN/DINTEG/MS (0016776729), DESPACHO DINTEG (0016779435), NOTA TÉCNICA N° 1494/2020-CGJUD/COMFAD/CGJUD/SE/GAB/SE/MS (0016821509), NOTA N° 00987/2020/CONJUR-MS/CGU/AGU (0016842171) e DESPACHO N° 04276/2020/CONJUR-MS/CGU/AGU (0016842214), todos documentos constantes do Processo SEI n° 25000.110902/2020-36, autos em que estão sendo adotadas as providências administrativas referentes ao processo em tela (fls. 1.017).*

17. Mesmo sendo desnecessária qualquer menção à clara urgência da situação vivida pela impetrante e apresentada em juízo, é importante, destacar alguns aspectos cruciais, que determinarão, a meu ver, **a prioridade do direito à vida e à saúde, em detrimento da qualquer amarra burocrática, orçamentária ou ainda estritamente legalista.**

18. De se ver, do contexto apresentado, que a impetrante é portadora de AME-Atrofia Medular Espinhal, patologia ultrarrara, cuja cura ainda não foi identificada pela ciência, muito embora, a evolução dos tratamentos tem mostrado grande desempenho em impedir o avanço da patologia, a qual, nos casos onde não leva o paciente ao óbito, culmina no processo de perda cotidiana de neurônios, ensejando uma sobrevida de dependência, não condizente com a dignidade que se pode esperar em média a toda e qualquer pessoa.

19. Assim é que essa nova medicação pleiteada pela parte impetrante está revolucionando a maneira como a ciência médica mundial tem realizado o tratamento de tal patologia, tão rara quanto grave.

20. Conforme consta tanto da documentação acostada à inicial quanto

daquela trazida com o ato apontado como coator, o medicamento *Zolgensma*® não traz e nem propaga a sua cura, porém, tem um resultado percentual acima de 90%, a **impedir a evolução da doença**, ou seja, a constante perda de neurônios, que como se sabe, são células que não se regeneram.

21. Tal aspecto se apresenta ainda, de modo preponderante, a reforçar a **pressa** da parte impetrante, pois, independentemente da limitação etária recomendada para a administração do *Zolgensma*®, o quanto antes isso ocorrer, significa que inúmeros neurônios da pequena impetrante serão preservados.

22. Frise-se, que da documentação acostada à inicial nota-se as seguintes conclusões:

Apesar de Kyara ter adquirido o marco de manter-se sentada com apoio, ela apresenta manifestações clínicas de AME desde as primeiras semanas de vida (Em vídeo feito nesta idade, foi possível perceber tremores de MMSS), sendo difícil a diferenciação entre AME tipo Ic e AME tipo 2.

A literatura atual prevê benefícios do Nusinersen para todos os tipos de AME: melhora ou estabilização da função motora, melhora do suporte ventilatório, melhora do suporte nutricional.

Considerando o PCDT de AME, Kyara preenche os critérios de inclusão: enquadra-se no item de criança sintomática, com diagnóstico genético confirmatório de AME5q, tem até três cópias de SMN2 e o início dos sintomas ocorreu até o sexto mês de vida. Também apresenta capacidade de nutrição e hidratação adequadas, sem gastrostomia e está com as imunizações de rotina em dia (fls. 38).



Trata-se de uma patologia fatal de origem genética, causada pela deleção ou mutação em homozigose do gene SMN (do inglês, survival of motor neuron), que apresenta duas formas homólogas no cromossomo 5 (locus 5q13), deisngadas como SMN1 (forma telométrica) e SMN2 (forma centrométrica). Esses genes são responsáveis pela codificação da proteína SMN, que tem papel importante de maturação do precursor do RNA mensageiro até o estágio final. O número de cópias de SMN2 é o principal determinante da severidade da doença. A principal característica clínica da AME é a fraqueza muscular com amiotrofia simétrica e progressiva, em geral combinada com alterações respiratórias e ortopédicas. Usualmente, no início dos sinais e sintomas, o avanço da perda funcional é rápido.

(...).

Criança evoluiu com atraso no desenvolvimento neuropsicomotor (não senta sozinha), déficit motor em membros inferiores simétrico,

tremores de membros superiores distais e fasciculações na língua, choro fraco e baixo ganho ponderal.

Ao exame físico neurológico atual observa-se paciente vigil, reagente a estímulo sonoro e visual, segue face do examinador, explora ambiente. Crânio sem deformidades aparentes. Perímetro cefálico adequado (p50). Fontanela anterior aberta: 2-3cm. Pupilas isocóricas, fotorreagentes. Ausência de nistagmo e ptose palpebral. Mímica facial preservada. Implantação capilar alta e fronte elevada. Base nasal alargada. Força: membros superiores (4+/5+) e membros inferiores (1+/5+). Reflexos osteotendíneos normorreativos em membros superiores e abolidos em membros inferiores. Sensibilidade aparentemente diminuída em MMII. Fasciculações em MMSS. Sustentáculo cefálico e do tronco ao ser colocada sentada, porém não o faz sozinha. Em posição ortostática não apresenta força nem uso dos membros inferiores com apoio, além de manter pés em posição equina. Pododáctilos bilaterais com deformidade.

Exames complementares:

- Diagnóstico molecular da AME - MLPA (03/06/20) - Laboratório Rede Sarah: "A análise de DNA revelou um índice relativo de: SMN1: - Exon 7 - 0,00 (DELEÇÃO EM HOMOZIGOSE) - Exon 8 - 0,00 (DELEÇÃO EM HOMOZIGOSE) SMN2: - Exon 7 - 1,48 (3 CÓPIAS)- Exon 8 - 1,57 (3 CÓPIAS)".

- MLPA - AME (15/06/20) - (Laboratório Mendelics): deleção em homozigose no gene SMN1. Confirma o diagnóstico de AME. Éxon 7: 3 cópias de SMN2 e Éxon 8: 3 cópias de SMN2.

Diante do descrito previamente, indico a utilização do medicamento Zolgensma (Onasemnogene abeparvovec) para a paciente Kyara Lis de Carvalho Rocha, pois o mesmo trará excelente recuperação da doença genética que é protadora. Igualmente diminuirá sensivelmente os custos envolvidos atualmente os custos envolvidos atualmente nos cuidados dispensados à paciente. Reforço, porém, a necessidade de aplicação dessa medicação até os dois anos de idade da paciente, o que demanda celeridade na ação decisória.

À disposição,

Brasília, 21 de julho de 2020.

Dra. Gláucia Oliveira

Neurologista Infantil

CRM - DF 17236 - RQE 14590 (fls. 85/86).

◆ ◆ ◆

Dr. Acilino Portela

Declaro que a paciente Kyara Lis de Carvalho Rocha, 11 meses, iniciou acompanhamento neste serviço com a equipe de neuropediatria, com história de atraso do desenvolvimento neuropsicomotor (DNPM).

(...)

Após avaliações e exames complementares, fechou-se o diagnóstico de Atrofia Muscular Espinhal (AME).

Exames complementares:

- Teste genético-molecular (03/06/20 - laboratório do Hospital Sarah e 15/06/2020 - laboratório Mendelics), que demonstrava deleção em homozigose dos éxons 7 e 8 no gene SMN1 e com presença de três cópias dos mesmos éxons no gene SMN2.

"A atrofia muscular espinhal é uma doença neurodegenerativa com herança genética autossômica recessiva. A doença é causada por uma deleção ou mutação homozigótica do gene 1 motoneurônio (SMN1), localizado na região telométrica do cromossomo 5q13, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN2), localizado na região centrométrica, é o principal determinante da severidade da doença. Essa alteração genética do gene SMN1 é responsável pela redução dos níveis de proteína de sobrevivência do motoneurônio (SMN). O gene SMN2 não compensa completamente a ausência da expressão do SMN1 porque produz apenas 25% da proteína SMN. A falta da proteína SMN leva à degeneração de motoneurônios alfa (a) localizados no corno anterior da medula espinhal, o que resulta em fraqueza e paralisia muscular proximal progressiva e simétrica".

Após o diagnóstico, foi iniciado o tratamento medicamentoso com Nursinesena - doses recorrentes e via intratecal (ativa produção da proteína SMN, que visa melhora do tônus e da força muscular), bem como, acompanhamento com terapias multidisciplinares (fonoaudiologia, nutrição, terapia ocupacional e fisioterapia motora e respiratória).

Como alternativa terapêutica surge a Zolgensma (terapia gênica de aplicação única que busca promover a substituição dos genes modificados, visando melhora do quadro clínico, com possibilidade de cura). A medicação tem apresentado resultados positivos na regressão da doença aumentando a sobrevida e melhorando o desenvolvimento neuropsicomotor. A paciente poderia tirar proveito de tal terapia, uma vez que, apresenta menos de 2 anos de idade (terapia indicada abaixo dessa faixa etária). Sendo assim, solicito a liberação da terapia acima descrita para a paciente referida (fls. 88/89).

◆ ◆ ◆

A Atrofia Muscular Espinha (AME) é uma doença genética neuro degenerativa autossômica recessiva na primeira infância com incidência de 1:10000 nascidos vivos, sendo assim rara.

Decorrente de um defeito molecular, destacando-se por ser a maior causa genética de morte em bebês e crianças até dois anos de idade.

*É um distúrbio neuro genético causado por uma perda ou mutação no gene *smn1* no cromossoma 5q que leva a níveis reduzidos de proteína SMN resultando em uma disfunção seletiva dos neurônios motores. Clinicamente caracteriza-se pela perda dos neurônios motores inferiores da medula espinhal e núcleos motores somáticos no tronco cerebral.*

Resultando em fraqueza progressiva, atrofia muscular levando a perda dos movimentos e causa de falência respiratória, perda de funções básicas de vida levando a morte.

Nos últimos anos, as pesquisas sobre tratamentos para AME progrediram extraordinariamente.

*Dentro das opções de tratamento, uma já iniciada pela menor, que é a Spinraza (*nusinersena*).*

Administrado inicialmente com 4 doses de carga e duas doses de manutenção no primeiro ano e três doses de manutenção nos anos subsequentes, enquanto o paciente tiver sobrevivido. Sua aplicação é com infusão intratecal em ambiente hospitalar, sob anestesia.

Esta medicação é indicada com o objetivo de estabilizar o quadro clínico com melhorias progressivas, mas não há possibilidade de cura.

Existe uma terapia gênica, avançada e muito revolucionária, com edição de genes, um tratamento genético único, que faz a inserção intravenosa do DNA SMN1 ausente, usando vetor viral, com expectativa real de cura da doença.

*A medicação *Onasemnogene Afoxiparve-xioi a vxs-101* (*Zolgensma*) fornece uma cópia funcional normal do gene SMN1 humano para deter a progressão da doença por meio da produção contínua e permanente da proteína SMN funcional, o que garante a perspectiva de cura da doença.*

O tratamento é realizado com apenas infusão venosa em dose única, em regime ambulatorial, desenvolvida para manter os seus efeitos ao longo do tempo.

É importante que a medicação seja administrada antes do paciente atingir os dois anos de vida para eficácia e resolutividade desse tratamento genético.

Quanto mais precoce for sua aplicação, melhor, pois evitaremos a produção da resposta imune contra o adenovírus que é o vetor utilizado nesta medicação, prejudicando a resposta terapêutica.

Nos estados unidos da américa (EUA), a Food and Drug Administration (FDA) aprovou a medicação Onossenmnogene Abeparvovec-xioi-a vxs-101 em 24/05/2019 com o nome comercial Zolgensma (<https://www.fda.gov/media/126109/download>).

Nos últimos meses, tem sido notório o maior comprometimento da doença e sua forma rápida e progressiva que Kyara vem apresentando, com parada do desenvolvimento motor, perdendo habilidades antes conquistadas, com alterações torácicas como escoliose e total perda de força de seus membros inferiores.

Kyara é uma criança forte, que transmite através do seu olhar vivo e expressivo a vontade e necessidade de lutarmos por ela.

Diante do exposto, em consenso com a neuro.

24 de julho de 2020.

Dra. SYLVIA ARCOVERDE BEZERRA

CRM-DF 8739 PEDIATRIA (fls. 91).



A paciente tem diagnóstico clínico e genético de Atrofia Medular Espinhal (AME) 5q Tipo 2 (CID: G12), doença genética causada por uma deleção ou mutação homozigótica no gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN1), localizado na região talométrica do cromossomo 5q13, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN2), localizado na região centrométrica, é o principal determinante da severidade da doença. A falta da proteína SMN leva à degeneração do neurônio alfa, localizado no corno anterior da medula espinhal, o que resulta em paralisia progressiva proximal e simétrica, caracterizada por quadro de hipotonia, atraso na aquisição de marcos motores e atrofia muscular, que invariavelmente evoluem para perda de força muscular grave e irreversível, causando dependência de auxílio para locomoção e atividades básicas do dia a dia, escoliose e contraturas musculares, além de grave comprometimento da musculatura respiratória.

(...).

Atualmente, a paciente tem 11 meses de vida e, além de não ter alcançado os marcos do desenvolvimento motor adequados para a idade aos 3 e 4 meses, começou a apresentar regressão de marcos já adquiridos após o sexto mês (conforme consta da Caderneta de Saúde da Criança, páginas 44 e 45). Ela também apresenta tremores na extremidade distal das mãos, fasciculação na língua, hipotonia axial com arreflexia, não consegue rolar nem se sentar sozinha, perde a sustentação cefálica após curto período de tempo sentada com apoio, caindo para um dos lados, não engatinha e não anda.

No mesmo exame clínico atual, observo fronte elevada, implantação alta de cabelo, base nasal alargada, fasciculação na língua, leve tremor distal nas mãos, reflexos osteotendíneos abolidos nos membros inferiores, pés equinos, pododáctilos bilaterais longilíneos e com deformações, trofismo muscular preservado e incapacidade de sustentar o corpo em ortostatismo.

Por meio de exame de diagnóstico molecular da AME (MLPA), realizado em 3/6/2020 no Laboratório Rede Sarah, "a análise de DNA revelou índice relativo de SMN1: - Exon 7 - 0.00 (DELEÇÃO EM HOMOZIGOSE) - Exon 8 - 1.57 (3 CÓPIAS)".

Esse mesmo exame, MLPA - AME, foi realizado no Laboratório Mendelics no dia 15/6/2020, apresentando igual resultado: deleção em homozigose no gene SMN1 e 3 cópias de SMN2 nos Éxons 7 e 8. Confirma o diagnóstico de AME.

Kyara Lis vem realizando tratamento de suporte clínico com fisioterapia motora, fonoaudiologia e utilizando aparelho ortopédico. Seus pais já receberam aconselhamento genético.

A melhor opção de tratamento para a pequena Kyara já está disponível internacionalmente e aprovada pelo órgão regulador americano, o FDA (Food and Drug Administration). Também possui alíquota zerada do Imposto de Importação, conforme a Resolução no. 66 do Ministério da Economia, Câmara de Comércio Exterior e Comitê-Executivo de Gestão, editada em 10/7/2020 e já publicada no Diário Oficial da União.

O medicamento em questão é o Onasemnogene Apeparvovec (Zolgensma®), que foi desenvolvido pela Avexis, uma empresa Novartis. Essa opção terapêutica baseia-se na terapia gênica, que visa à substituição de genes mutantes por genes saudáveis, na tentativa de melhorar o quadro clínico dos pacientes e de, até mesmo, promover a CURA da AME aos que fizerem o uso da medicação o mais breve possível. A droga deve ser indicada até os 2 anos de idade, mas, quanto mais breve, melhor, para evitar a produção de resposta imune contra o adenovírus, que é o vetor utilizado neste remédio. O uso do Zolgensma tem se mostrado eficaz em impedir a progressão da doença e os pacientes têm alcançado os marcos do desenvolvimento motor.

Pauto, ainda, minha conduta terapêutica no Código de Ética Médica, Capítulo I, artigos II e V, em que se lê:

II - o alvo de toda a atenção do médico é a saúde do ser humano, em benefício da qual deverá agir com o máximo de zelo e o melhor de sua capacidade profissional.

(...).

V - Compete ao médico aprimorar continuamente seus conhecimentos e usar o melhor do progresso científico em benefício do paciente e da sociedade.

Diante da gravidade da doença e da urgência para o tratamento,

indico o Zolgensma como terapia de escolha que pode mudar completamente o curso de vida da paciente Kyara Lis.

À disposição.

Brasília, 23 de julho de 2020.

Dra. Ana Cláudia da Gama Pereira

CRM-DF 8888 (fls. 93/95).

◆ ◆ ◆

ESTUDOS CLÍNICOS

A eficácia de ZOLGENSMA em pacientes pediátricos com menos de 2 anos de idade com SMA com mutações bi-alélicas no gene SMN1 foi avaliada em um ensaio clínico de braço único aberto (em andamento) e em um braço único, aberto, ensaio clínico de dose ascendente (concluído). Os pacientes apresentaram sintomas clínicos consistentes com a AME antes dos 6 meses de idade. Todos os pacientes tiveram deleções do gene SMN1 bi-alélico confirmadas geneticamente, 2 cópias do gene SMN2 e ausência da modificação c.859G> C no exon 7 do gene SMN2 (que prevê um fenótipo mais leve). Todos os pacientes tinham títulos basais de anticorpos anti-AAV9 $\leq 1:50$, medidos por ELISA. Nos dois ensaios, o ZOLGENSMA foi administrado como uma infusão intravenosa de dose única.

A eficácia foi estabelecida com base na sobrevivência e na conquista de marcos motores do desenvolvimento, como sentar sem apoio. A sobrevivência foi definida como o tempo desde o nascimento até a morte ou ventilação permanente. A ventilação permanente foi definida como requerendo ventilação invasiva (traqueostomia) ou assistência respiratória por 16 horas ou mais por dia (incluindo suporte ventilatório não invasivo) continuamente por 14 ou mais dias na ausência de uma doença aguda reversível, excluindo a ventilação perioperatória. A eficácia também foi apoiada por avaliações do uso de ventiladores, suporte nutricional e escores no Teste Infantil de Distúrbios Neuromusculares do Hospital Infantil da Filadélfia (CHOP-INTEND). CHOPINTEND é uma avaliação das habilidades motoras em pacientes com AME de início infantil.

O ensaio clínico em andamento envolveu 21 pacientes (10 homens e 11 mulheres) com AME de início infantil. Antes do tratamento com ZOLGENSMA, nenhum dos 21 pacientes necessitou de suporte do ventilador não invasivo (VNI) e todos os pacientes podiam alimentar-se exclusivamente por via oral (ou seja, sem necessidade de nutrição não oral). A pontuação média do CHOPINTEND na linha de base foi de 31,0 (variação de 18 a 47). Todos os pacientes receberam $1,1 \times 10^{14}$ vg / kg de ZOLGENSMA. A idade média dos 21 pacientes no momento do tratamento foi de 3,9 meses (variação de 0,5 a 5,9 meses).

No ponto de corte de dados de março de 2019, 19 pacientes

estavam vivos sem ventilação permanente (sobrevivência livre de eventos) e continuavam no estudo, enquanto um paciente faleceu aos 7,8 meses de idade devido à progressão da doença e um paciente se retirou do estudo. aos 11,9 meses de idade. Os 19 pacientes sobreviventes que continuavam no estudo variaram de 9,4 a 18,5 meses de idade. Pelo ponto de corte de dados, 13 dos 19 pacientes que continuaram no estudo atingiram 14 meses de idade sem ventilação permanente, um dos pontos finais de eficácia co-primária do estudo. Além da sobrevivência, a avaliação do outro desfecho co-primário de eficácia constatou que 10 dos 21 pacientes (47,6%) alcançaram a capacidade de sentar-se sem apoio por ≥ 30 segundos entre 9,2 e 16,9 meses de idade (a idade média foi de 12,1 meses) . Com base na história natural da doença, não seria de esperar que os pacientes que preenchessem os critérios de entrada no estudo conseguissem a capacidade de sentar-se sem apoio e apenas 25% desses pacientes sobreviveriam (isto é, estar vivo sem ventilação permanente)) além dos 14 meses de idade. Além disso, 16 dos 19 pacientes não necessitaram de uso diário da VNI.

A comparação dos resultados do ensaio clínico em andamento com os dados disponíveis da história natural de pacientes com SMA de início infantil fornece evidência primária da eficácia do ZOLGENSMA.

O ensaio clínico concluído envolveu 15 pacientes (6 homens e 9 mulheres) com SMA de início infantil, 3 em uma coorte de baixa dose e 12 em uma coorte de alta dose. No momento do tratamento, a idade média dos pacientes na coorte de baixa dose era de 6,3 meses (variação de 5,9 a 7,2 meses) e 3,4 meses (intervalo de 0,9 a 7,9 meses) na coorte de altas doses. A dosagem recebida pelos pacientes na coorte em baixa dose foi de aproximadamente um terço da dosagem recebida pelos pacientes na coorte em alta dose. No entanto, as dosagens precisas de ZOLGENSMA recebidas pelos pacientes neste estudo clínico concluído não são claras devido a uma alteração no método de medição da concentração de ZOLGENSMA e a diminuições na concentração de ZOLGENSMA armazenado ao longo do tempo. A faixa de dosagem estimada retrospectivamente na coorte de altas doses é de aproximadamente $1,1 \times 10^{14}$ a $1,4 \times 10^{14}$ vg / kg.

24 meses após a infusão de ZOLGENSMA, um paciente da coorte de baixa dose atingiu o objetivo final da ventilação permanente; todos os 12 pacientes da coorte de altas doses estavam vivos sem ventilação permanente. Nenhum dos pacientes da coorte de baixa dose conseguiu sentar-se sem apoio ou ficar em pé ou andar; na coorte de altas doses, 9 dos 12 pacientes (75,0%) conseguiram sentar-se sem apoio por ≥ 30 segundos e 2 pacientes (16,7%) conseguiram ficar em pé e caminhar sem assistência. A comparação dos resultados da coorte de baixa dose com os resultados da coorte de alta dose mostra uma relação dose-resposta que apóia a eficácia do ZOLGENSMA (fls. 124/126) - informações extraídas do sítio eletrônico do fabricante da medicação pleiteada.

◆ ◆ ◆

Resumo do parecer¹ (autorização inicial)

Zolgensma

Onasemnogene abeparvovec

Em 26 de março de 2020, o Comitê para Medicamentos de Uso Humano (CHMP) adotou um parecer positivo, recomendando a concessão de uma autorização de comercialização para o medicamento Zolgensma², destinado ao tratamento de bebês e crianças pequenas portadoras de uma condição genética grave e rara, chamada de atrofia muscular espinhal (AME).

Como o Zolgensma é um medicamento de terapia avançada, o parecer positivo do CHMP é baseado em uma avaliação do Comitê de Terapias Avançadas. O solicitante deste medicamento é a AveXis EU Limited.

Zolgensma estará disponível como uma solução para infusão (2 x 10¹³ vetor genomas/ml). Zolgensma é um tipo de medicamento chamado de “terapia gênica”. Ele contém o ingrediente ativo onasemnogene abeparvovec, que contém material genético humano.

Pacientes com AME não possuem um gene funcional necessário para produzir uma proteína essencial para os nervos que controlar os músculos (Sobrevida do Neurônio Motor ou SMN). O Zolgensma fornece uma cópia totalmente funcional do gene do SMN humano, permitindo que o corpo produza a proteína SMN suficiente. O gene é distribuído nas células em que é necessário, utilizando um vírus modificado que não causa doenças em humanos. Os efeitos colaterais mais comuns são aumentos nas enzimas hepáticas (transaminases) observados nos testes sanguíneos.

A indicação completa é:

Zolgensma é indicado para o tratamento de:

- pacientes com atrofia muscular espinha 5q (AME) com uma mutação bialélica no gene SMN1 e um diagnóstico clínico de AME Tipo 1, ou

- pacientes com AME 5q com uma mutação bialélica no gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2.

Zolgensma deve ser aplicado apenas para tratamento único e deve ser administrado em centros clínicos adequados sob a supervisão de um médico experiente no controle de pacientes com AME.

As recomendações detalhadas para o uso deste produto serão descritas no resumo das características do produto (SmPC), que será publicado no relatório público europeu de avaliação (EPAR) e

disponibilizado em todos os idiomas oficiais da União Europeia após a autorização de comercialização ser concedida pela Comissão Europeia.

¹ *Resumos do parecer positivo são publicados sem prejuízo à decisão da Comissão, que normalmente será emitida 67 dias a partir da adoção do parecer.*

² *Este produto foi desenhado como um medicamento órfão durante seu desenvolvimento. Agora, a EMA irá revisar as informações disponíveis até o momento para determinar se a designação de órfão pode ser mantida.*

Endereço Oficial: Domenico Scarlatti laan 6 – 1083 HS Amsterdã – Holanda.

Endereço para visitas e entregas: Veja www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Envie-nos uma pergunta: Visite www.ema.europa.eu/contact – Telefone: +31 (0)88 781 6000.

Uma agência da União Europeia.

[Imagem]

© European Medicines Agency [Agência Europeia de Medicamentos], 2020. A reprodução é autorizada contanto que a fonte seja reconhecida.

Zolgensma.

EMA/106773/2020.

Páginas: 2.

Witness my hand and seal,

Leonardo Abreu

Curitiba, April 7, 2020 (fls. 129/130).

◆ ◆ ◆

A Farmacêutica Novartis submeteu à Anvisa o dossiê para registro do medicamento Zolgensma.

A Anvisa recebeu o Dossiê no dia 13/01/2020 e está analisando os estudos desde o início, visto que os ensaios não clínicos e clínicos foram realizados fora do Brasil.

O processo segue em análise com colaboração de especialistas da Câmara Técnica de Terapias Avançadas da Anvisa e está sendo avaliado com prioridade, devido à raridade da doença envolvida.

O Zolgesma já possui o registro da FDA desde maio de 2019 e nos EUA foi aprovado como terapia gênica para tratamento da AME em pacientes menores de 2 anos de idade.

Esperamos que a ANVISA tenha agilidade nesse processo. As esperanças da Comunidade AME se renovam para um futuro cada vez melhor e com mais opções terapêuticas (fls. 152/153).

23. Desta maneira a visualização analítica da documentação acostada à petição inicial está a demonstrar que houve a prescrição da medicação pleiteada, por ao menos, três profissionais médicos, que atestaram ser a impetrante eletiva no uso dessa inovadora e potencialmente curativa, terapia gênica no tratamento de tão grave e rara patologia da qual é portadora.

24. A jurisprudência deste STJ está massificada pela possibilidade de efetiva demonstração do direito líquido e certo à medicação ou tratamento específico por prescrição médica privada. Nesse sentido, os seguintes julgados:

ADMINISTRATIVO E PROCESSUAL CIVIL. FORNECIMENTO DE MEDICAMENTO PELO SUS. MANDADO DE SEGURANÇA. INDEFERIMENTO LIMINAR DA PETIÇÃO INICIAL EM RAZÃO DA SUPOSTA AUSÊNCIA DE PROVA PRÉ-CONSTITUÍDA. LAUDO DE MÉDICO DE REDE PARTICULAR. MESMA CREDIBILIDADE DO MÉDICO DA REDE PÚBLICA.

1. Hipótese em que o Tribunal de origem manteve a sentença que indeferiu liminarmente a petição inicial do mandamus em razão de suposta ausência de prova pré-constituída, por entender que " na espécie, a utilização do medicamento foi sugerida por laudos médicos (documento n° 3), que não demonstraram, de forma clara, a eficácia do fármaco prescrito em detrimento dos fornecidos pelo sistema estatal. Compreendo que o direito à saúde prestado não significa a livre escolha do tratamento a ser custeado pelo ente público, motivo pelo qual, nos casos em que medicamento não faz parte das listas do SUS, é de extrema importância submeter a prescrição médica ao efetivo contraditório .Diante da impossibilidade de formação de juízo acerca do direito almejado, tenho firme posicionamento pela necessidade de produção de prova pericial tendente a demonstrar a eficácia do tratamento indicado e a ineficácia do tratamento fornecido pelo SUS". (fl.109, e-STJ).

2. Segundo a jurisprudência do STJ, a escolha do medicamento compete a médico habilitado e conhecedor do quadro clínico do paciente, podendo ser tanto um profissional particular quanto um da rede pública.

3. No caso dos autos, conforme relatório que instrui a inicial o médico que assiste a substituída atestou a necessidade de uso do

medicamento e informou que as drogas disponíveis no SUS são ineficazes, "nessa extensão de membrana e de edema macular" (fl. 18, e-STJ). Também afirma não haver medicamento substituto no SUS.

Ressalta-se que as informações médicas foram corroboradas por parecer técnico da Câmara de Avaliação Técnica de Saúde do Centro Operacional de Saúde do MPMO.

4. Nos termos da jurisprudência do STJ, é admissível prova constituída por laudo médico elaborado por médico particular atestando a necessidade do uso de determinado medicamento, para fins de comprovação do direito líquido e certo capaz de impor ao Estado o fornecimento gratuito.

5. Recurso Ordinário provido (RMS 61.891/GO, Rel. Min. HERMAN BENJAMIN, DJe 19.12.2019).



PROCESSUAL CIVIL E ADMINISTRATIVO. AGRAVO INTERNO NO RECURSO EM MANDADO DE SEGURANÇA. DELEGAÇÃO DO JUÍZO AUXILIAR DA VICE-PRESIDÊNCIA. POSSIBILIDADE DE SUBSTITUIÇÃO DE FÁRMACO. DIREITO FUNDAMENTAL À VIDA E À SAÚDE. DESNECESSIDADE DE QUE A PRESCRIÇÃO DO MEDICAMENTO SEJA SUBSCRITA POR MÉDICO DO SUS. AGRAVO INTERNO DO ENTE FEDERAL A QUE SE NEGA PROVIMENTO.

1. Nos termos do que decidido pelo Plenário do STJ, aos recursos interpostos com fundamento no CPC/1973 (relativos a decisões publicadas até 17 de março de 2016) devem ser exigidos os requisitos de admissibilidade na forma nele prevista, com as interpretações dadas até então pela jurisprudência do Superior Tribunal de Justiça (Enunciado Administrativo 2).

2. Conforme a tese fixada pelo STF em sede de Repercussão Geral, a responsabilidade dos Entes Federados pelo direito à saúde é solidária, podendo figurar no polo passivo qualquer um deles em conjunto ou isoladamente (RE 855.178/PE, Rel. Min. Luiz Fux, DJe 16.3.2015, Tema 793). Deste modo, a determinação para o fornecimento do fármaco pode ser dirigida à UNIÃO - já que, existindo solidariedade passiva, qualquer dos devedores pode ser chamado a cumprir a obrigação.

3. A substituição ou complemento do fármaco inicialmente pleiteado, após a prolação da sentença, não configura inovação do pedido ou da causa de pedir, mas mera adequação do tratamento para a cura da enfermidade do paciente (AgInt no REsp. 1.503.430/SP, Rel. Min. GURGEL DE FARIA, DJe 22.11.2016). No mesmo sentido: AgRg no REsp. 1.577.050/RS, Rel. Min. REGINA HELENA COSTA, DJe 16.5.2016; AgRg no AREsp. 752.682/RS, Rel. Min. ASSUSETE MAGALHÃES, DJe 9.3.2016.

4. É possível a determinação judicial ao fornecimento de medicamentos com base em prescrição elaborada por médico particular, não se podendo exigir que o a receita seja subscrita por profissional vinculado ao SUS. Julgados: REsp. 1.794.059/RJ, Rel. Min. HERMAN BENJAMIN, DJe 22.4.2019; AgInt no REsp. 1.309.793/RJ, Rel. Min. NAPOLEÃO NUNES MAIA FILHO, DJe 7.4.2017; AgInt no AREsp. 405.126/DF, Rel. Min. GURGEL DE FARIA, DJe 26.10.2016.

5. A alegada incompetência do Juiz Auxiliar fundamenta-se no fato de o Magistrado ter deferido nova tutela antecipada, ao acatar a substituição do fármaco pleiteado. Entretanto, como já exposto, a modificação empreendida consiste em simples ajuste do tratamento, sem qualquer alteração objetiva na demanda.

6. Agravo Interno do Ente Federal a que se nega provimento (AgInt no RMS 47.529/SC, Rel. Min. NAPOLEÃO NUNES MAIA FILHO, DJe 25.6.2019).

25. Cumpre, no entanto, observar, comparativamente, as alegações trazidas pelo Excelentíssimo Senhor Ministro de Estado da Saúde, ao fundamentar a negação administrativa do requerimento formulado para fins de fornecimento da medicação ora pleiteada.

26. Assim, da mesma maneira como descrevi os principais elementos trazidos pela impetrante, seguem a partir de agora, os destaques integrantes da decisão administrativa denegatória:

20. Nesse sentido, além de orientar a conduta para o tratamento da AME, o documento define os critérios para o diagnóstico, tratamento da doença e indicação do uso do medicamento Nusinersena.

21. Assim, verifica-se que o SUS dispõe de tratamento médico adequado para a doença da autora e que a necessidade da utilização de outro fármaco não incorporado ao SUS e não previsto no Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas-PDCT da AME necessitaria, por óbvio, de dilação probatória para analisar a sua imprescindibilidade e excepcionalidade.

22. Outrossim, salienta-se que o presente Mandado de Segurança foi autuado em 28/07/2020 e o registro do medicamento ora pleiteado perante a ANVISA só foi publicado em 17 08 2020, ou seja, após a impetração do presente mandamus. Logo, é possível concluir que o medicamento Zolgensma, à época da impetração do presente writ, sequer podia ser comercializado no país, muito menos ser fornecido pelo SUS de forma administrativa.

23. Por fim, vale salientar que, consoante será demonstrado adiante, de acordo com o registro na ANVISA e com a bula do

medicamento, o Zolgensma é indicado para o tratamento de pacientes pediátricos diagnosticados com AME do tipo I, com até 2 anos de idade, com mutações bialélicas no gene de SMN1 ou até três cópias de outro gene conhecido como SMN2. Ocorre que a autora em questão é portadora de AME tipo 2 conforme aponta o seu relatório médico acostado na exordial (SAPIENS, seq. 2, pág. 20), o que evidencia que o seu direito não é líquido e certo, vez que está pleiteando um fármaco para o qual não há indicação expressa na bula e no registro do órgão sanitário, caracterizando uso off label, o que não pode ser amparado pelo judiciário.

24. Assim, o processo deve ser extinto sem resolução do mérito nos termos do art. 485, VI, do CPC (fls. 1.022).

◆ ◆ ◆

32. Isto posto, há de esclarecer que a assistência farmacêutica não está restrita à produção e distribuição de medicamentos, mas abarca um conjunto de procedimentos necessários à promoção, prevenção e recuperação da saúde, individual e coletiva, centrado no medicamento. Nesta seara, a definição de Assistência Farmacêutica engloba as atividades de pesquisa, produção, distribuição, armazenamento, prescrição e dispensação.

33. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEM) é uma estratégia de acesso a medicamentos no âmbito do SUS, caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial. cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas publicados pelo Ministério da Saúde. Esse Componente é regulamentado atualmente pelas Portarias de Consolidação GM/MS no. 2 e no. 6, ambas de 28 de setembro de 2017.

34 Nesse contexto, segundo as regras dispostas na Portaria de Consolidação GM/MS no. 02, de 28 de setembro de 2017, a execução do CEM é descentralizada e de responsabilidade das Secretarias de Saúde dos Estados e do Distrito Federal (SES).

35. Ainda, no que tange à disponibilização de medicamentos por este Componente, a Portaria de Consolidação GM/MS no. 2/2017 determina alguns requisitos que devem ser atendidos, sendo:

I. Decisão de incorporação

Art. 61. A incorporação, exclusão, ampliação ou redução de cobertura de medicamentos no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica ocorrerá mediante decisão do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC);

2. Pactuação de financiamento no âmbito da CIT

"Art. 61 (..)

§ 2o. A responsabilidade pelo financiamento das incorporações de medicamentos, de ampliação de cobertura para

medicamentos já incorporados e incorporações de novas concentrações e/ou apresentações farmacêuticas será pactuada no âmbito da Comissão Intergestores Tripartite (CIT), respeitando-se a manutenção do equilíbrio financeiro entre as esferas de gestão do SUS e a garantia da linha de cuidado da doença";

3.Publicação do PCDT em sua versão final

"Art. 62. A inclusão eletiva de um medicamento nos Grupos 1, 2 e 3 deste Componente ocorrerá somente após a publicação da versão final do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas específico pelo Ministério da Saúde, observadas as pactuações no âmbito da CIT".

36. Assim, faz-se necessário o cumprimento de todas as etapas descritas acima para a oferta de qualquer medicamento no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, sob pena de afetar a continuidade das políticas de saúde pública, desorganizando a atividade administrativa e impedindo a alocação racional dos escassos recursos públicos (fls. 1.023).



44. Vê-se, portanto, que não se concebe a solicitação de incorporação de tecnologia ou de alteração de protocolo clínico sem que se apresente documentação voltada à demonstração de indício mínimo de segurança, eficácia, efetividade e custo-efetividade. Esses são os critérios eleitos pelo legislador como necessários a que se tenha incorporação de tecnologia ou constituição/alteração de protocolo clínico. Qualquer pedido, portanto, que não tenha por pressuposto tais evidências, não pode, por expressa previsão legal, ser acolhido.

45. Importante salientar que a observância a tantos critérios e requisitos tem sua razão de ser. É que, ao tempo em a Constituição Federal prevê ser a saúde direito de todos e dever do Estado (art. 196: A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação), exige uma Administração Pública responsável e comprometida com os resultados.

46. Diante disso, o SUS deve observar critérios objetivos para a disponibilização de novas tecnologias à população. Isso porque, além de ser uma exigência constitucional o emprego racional dos recursos públicos, o Estado é responsável pela segurança e qualidade dos serviços prestados e concomitantemente, está obrigado a evitar o risco de doença e outros agravos c/ou impedir que outros o provoquem.

47. A obrigação às prestações de saúde atribuída ao Estado coexiste com o dever, desse mesmo Estado, de abster-se daquelas prestações que possam se revelar danosas à população, sobretudo se determinada medida possa vir a colocar em risco a própria sustentabilidade do Sistema Único de Saúde.

48. *Justamente por esse motivo, reconhecendo a falibilidade e a fragilidade da "medicina baseada na autoridade", o Ministério da Saúde adota, desde 2003, a medicina baseada em evidências para nortear as decisões de saúde no âmbito do SUS, seguindo orientação da Organização Mundial de Saúde.*

49. *Assim, a incorporação de uma tecnologia em saúde ao SUS pressupõe a avaliação da tecnologia em saúde e a avaliação econômica em saúde. Tais estudos buscam, sobretudo, responder às seguintes indagações: a) A intervenção/ação em saúde:- é segura, eficaz e efetiva? b) qual a sua disponibilidade e factibilidade? c) qual o custo? d) como se compara com as alternativas disponíveis?*

50. *As duas primeiras questões são respondidas pela avaliação da tecnologia em saúde, conforme critérios propostos pela medicina baseada em evidências. As duas últimas são objeto das análises econômicas aplicadas à saúde. A avaliação da tecnologia em saúde critica se algumas tecnologias são seguras, eficazes e efetivas. A avaliação econômica em saúde, por sua vez, investiga se o benefício conferido pela nova tecnologia em saúde está em proporção razoável com o custo que adiciona ao sistema.*

51. *Assim, para que a Comissão possa analisar determinada tecnologia em saúde e emitir um Relatório de Recomendação ao Ministério da Saúde, é necessário, além do registro da tecnologia na Anvisa, evidência científica que demonstre que a tecnologia pautada é, no mínimo, tão eficaz e segura quanto aquelas disponíveis no SUS para determinada indicação e, no caso de medicamentos, a fixação de preço junto à CMED, consoante determina o art. 15, § 1º, incisos II e VI, do Decreto no. 7.646/2011.*

52. *Por oportuno, em análise ao caso ora em apreço, é mister esclarecer que, segundo consta na NOTA TÉCNICA N° 241/2020-CITEC/CGCTS/DGITIS/SCTIE/MS (Sapiens: seq. 14; SEI n° 0016741068). **não há demanda para análise de incorporação, ao SUS, do fármaco Zolgensma, protocolada na referida Comissão,** consoante determinação da Lei n° 8.080/1990 e do Decreto n° 7.646/2011, bem como que o medicamento Zolgensma não possui atualmente preço fixado pela CMED (fls. 1.026).*



74. *A inserção das terapias avançadas no SUS traz um enorme desafio à política pública de saúde em virtude do impacto orçamentário. Por serem únicas no mercado e envolverem um complexo conhecimento e práticas, essas terapias são comercializadas em valores que podem comprometer a sustentabilidade da Política Nacional de Assistência Farmacêutica no SUS.*

75. *Nesse contexto, a NOTA TÉCNICA No. 3/2020-CMATS CGCTS DGITIS SCTIE/MS (SEI no. 0013861708) e a NOTA TÉCNICA*

No. 30/2020-CMATS CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS (SEI no. 0015450120), visando fornecer subsídios técnicos para defesa da União em processos referentes ao fornecimento da terapia Zolgensma® (onasemnogeno abeparvoveque), elaboraram uma estimativa para o impacto orçamentário da aquisição da referida tecnologia.

76. Uma vez que ainda não há preço estabelecido para a terapia pela CMED, foi utilizado nesta estimativa o preço da terapia para o Departamento dos Veteranos de Guerra dos Estados Unidos da América. A última pesquisa foi realizada em 22 de junho de 2020. c após conversão das moedas pela taxa do câmbio média divulgada pelo Banco Central do Brasil, no período de sessenta dias úteis anteriores a data da pesquisa de preços, o preço do kit de menor valor foi de: R\$ 8.527.510,16 e o preço do kit de maior valor foi de: RS 8.614.587,74 (cotação 1 USD R\$ 5,3648).

77. Por se tratar de terapia ainda não comercializada em território nacional, sendo necessária a importação, o seu custo varia de acordo com a flutuação cambial.

78. Considerando o ano de 2019, o orçamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) - responsável por garantir a integralidade do tratamento medicamentoso, para algumas situações clínicas, principalmente, agravos crônicos, com custos de tratamento mais elevados ou de maior complexidade, por meio das diferentes linhas de cuidado definidas nos Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) - foi de R\$ 4.533.496.749,00 para atendimento de 2.528.143 pacientes no ano, o custo anual médio por paciente foi de R\$ 1.793,21.

79. Para adquirir 1 (um) kit da terapia gênica onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) para atendimento a um paciente foi estimado o custo de R\$ 8.614.587,74, conforme critério de pesquisa de preço acima mencionado e utilizando-se o custo do kit de maior valor.

80. Dessa forma, considerando uma população de 170 crianças no Brasil elegíveis para utilização da referida tecnologia no ano de 2020, o custo para aquisição de 170 kits seria de aproximadamente R\$ 1.464.479.915,80.

81. Este valor seria suficiente para o atendimento de 816.680 pacientes pelo CEAF uma vez que o custo médio de 1 (um) paciente do CEAF, em 2019. foi de R\$ 1.793,21 conforme já mencionado. Importante ressaltar, ainda, que o valor despendido para o tratamento destes 170 pacientes representaria 32% de todo o orçamento do CEAF do ano de 2019.

82. A análise realizada considerando os valores de tratamento estimou um impacto orçamentário potencial da utilização do referido medicamento no SUS variando de aproximadamente R\$ 1,45 bilhão a RS 1,46 bilhão no primeiro ano c de RS 7,16 bilhões a RS 7,21 bilhões acumulados em cinco anos para atender todos os pacientes pediátricos

com AME tipo I, considerando a cotação de um dólar equivalendo a R\$ 5,3648.

83. Também é de fundamental importância ressaltar que atualmente a referida terapia não possui preço fixado pela CMED e que as estimativas apresentadas consideraram o preço atual da terapia nos Estados Unidos da América. A avaliação das evidências e o impacto orçamentário poderão sofrer alterações no futuro com a possível entrada dessa terapia, e de outras, no mercado brasileiro.

84. Ressalte-se, por oportuno, que a estimativa ora realizada levou-se em consideração o impacto orçamentário para fornecer somente o medicamento Zolgensma®.

85. Entretanto, conforme dispõe a NOTA TÉCNICA No 1487/2020-CCJUD/CONIFAIYCGJUD/SE/CAR/SE/MS (SEI no. 0016821509), em estudo publicado pela Agência Europeia (EMA) há registro de que 4 (quatro) de cada 10 (dez) pacientes que receberam zolgensma continuaram o tratamento com spinraza a longo prazo, o que derruba a tese de que será menos oneroso para os cofres públicos a administração da droga em dose única (fls. 1.030/1.031).



93. No presente caso, a autora tem 13 (treze) meses de vida e é portadora de AME tipo II, conforme aponta o seu relatório médico (SAPIÉNS. seq. 2, pág. 20). Ocorre que, de acordo com a NOTA TÉCNICA N° 241/2020-CITEGCGGTS/DGITIS SCTIEJNIS (Sapiens: seq. 14: SEI n° 0016741068), não foram encontrados resultados de ensaios clínicos com pacientes na idade da autora. No único ensaio clínico encontrado, os pacientes estudados eram crianças de até 6 (seis) meses de vida. Ademais, os ensaios clínicos com uso do onasemnogeno abcparvoveque foram realizados em bebês com AME tipo I, o que demonstra, mais uma vez, a inviabilidade da concessão do medicamento à parte autora.

94. Com efeito, é mister ressaltar, nos termos elencados no sítio da ANVISA [3], que o Zolgensina obteve, no respectivo órgão sanitário, registro para o tratamento de pacientes pediátricos diagnosticados com AME do tipo I, com até 2 anos de idade, com mutações bialélicas no gene de SMNI ou até três cópias de outro gene conhecido como SMN2.

95. Veja a indicação contida na bula do medicamento:

I. INDICAÇÕES

Zolgensma® é uma terapia gênica baseada em um vetor Oral adeno-associado, indicada para o tratamento de pacientes pediátricos abaixo de 2 anos de idade com atrofia muscular espinal (AME), com:

- mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor I (SMN 1) e diagnóstico clínico de AME do tipo I, **ou,**

- mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor I (SMN 1) e até 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN 2).

96. Verifica-se, pelo exposto, que a indicação do fármaco é para crianças de até 2 anos de idade acometidas com AME tipo I. Ocorre que a impetrante foi diagnosticada com AME tipo II, ou seja, possui um tipo da doença para qual o medicamento ora pleiteado não é indicado ou, ao menos, não possui eficácia comprovada, o que denota que o seu uso seria considerado off label.

97. Ademais, é imperioso destacar que a autora já realiza tratamento com o medicamento nusinersena, fornecido pelo seu Plano de Saúde, conforme relata em sua peça inicial, à fl. 6, e para o qual há indicação, nos termos do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da AME.

98. Nesse ponto, nos termos da NOTA TÉCNICA N° 1.487/2020-CGJUD/COMFAD/CGJUD/SE, GAB/SE/MS (SEI no. 0016821509), nos vários relatórios médicos colacionados aos autos não citam avaliação do paciente em escalas motoras, não dispõe sobre a existência ou não de escoliose ou distúrbios de deglutição. Falam em piora motora da criança nos últimos meses, mas sem nenhum parâmetro objetivo de comparação.

99. Ademais, não constam nos autos detalhes sobre a administração do Spinraza, impossibilitando o julgamento sobre a eficácia do tratamento já instituído.

100. Nesse prisma, verifica-se que não há evidências científicas, bem como indicação expressa do próprio laboratório do fármaco e da ANVISA, que demonstre que a autora iria se beneficiar da terapia em questão. Pelo contrário, o uso de medicamento não indicado na bula poderia causar prejuízos à saúde da autora.

101. Além disso, a utilização do Zolgensma para fins não autorizados pela ANVISA não está abarcada nas excepcionalidades até então amparadas pelo judiciário para fornecimento de medicamentos não incorporados ao SUS, o que é mais uma razão pela qual a segurança deve e ser denegada.

(...).

106. Portanto, conforme asseverado na NOTA TÉCNICA No. 1487/2020-CGJUD/COMFAD/CGJUD/SE/GAB/SE/MS (SEI no. 0016821509), a autora não é elegível para o uso do zolgensma por inúmeras razões (fls. 1.034/1.036).

◆ ◆ ◆

3. CONCLUSÃO

111. Por todo exposto, conclui-se:

a) não resta comprovada a imprescindibilidade do fármaco, sendo assim não há como reconhecer a existência de direito líquido e certo, indispensável à concessão do writ, considerando que a impetrante pleiteia o fornecimento de fármaco para uso não autorizado pela ANVISA e não indicado na bula, vez que é portadora de AME tipo II e a indicação expressa no órgão sanitário e na bula do fármaco se restringe a pacientes com AME tipo I e com até dois anos de idade;

b) a utilização do fármaco para uso não autorizado pela ANVISA não está abarcada nas excepcionalidades até então amparadas pelo judiciário para fornecimento de medicamentos não incorporados ao SUS, o que é mais uma razão pela qual a segurança deve ser denegada;

c) é evidente que não há omissão administrativa, considerando a existência de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para tratamento da AME e a disponibilidade do medicamento nusinersena (Spinraza), inclusive por meio da modalidade de compartilhamento de custos, instituído pela PORTARIA GM N. 1.297, DE 11 DE JUNHO DE 2019, a fim de permitir o acesso ao tratamento da Atrofia Muscular Espinhal, e ao mesmo tempo, garantir a sustentabilidade do SUS, considerando o alto custo do referido medicamento;

d) no tocante ao impacto orçamentário, da análise realizada pela área técnica, considerando os valores de tratamento, estimou-se um impacto orçamentário potencial da utilização do referido medicamento no SUS variando de aproximadamente R\$ 1,45 bilhão a R\$ 1,46 bilhão no primeiro ano e de R\$ 7,16 bilhões a R\$ 7,21 bilhões acumulados em cinco anos para atender todos os pacientes pediátricos com AME tipo I, considerando a cotação de um dólar equivalendo a R\$ 5,3648;

e) há registro de que 4 (quatro) de cada 10 (dez) pacientes que receberam zolgensma continuaram o tratamento com spinraza a longo prazo, o que derruba a tese de que será menos oneroso para os cofres públicos a administração da droga em dose única;

f) ausência de eficácia comprovada no uso do zolgensma para tratamento da AME para pacientes maiores de 06 meses de vida, estando estes ainda em fase III de estudo junto à empresa NOVARTIS,

g) como se observa, o resultado em um cenário de obrigatoriedade de fornecimento do fármaco por meio de decisões judiciais aos pacientes existentes hoje no Brasil seria catastrófico para a gestão da saúde no país;

h) por fim, é mister salientar que as áreas técnicas do Ministério da Saúde concluíram pela impossibilidade de fornecimento administrativo do medicamento Zolgensma.

112. Ante o exposto, deve ser extinto o presente processo mandamental, sem resolução de mérito, nos termos do art. 485, IV, VI, do CPC, em razão de ausência de interesse processual e da inadequação do mandado de segurança. Em atenção à eventualidade, no mérito, sustenta-

se pela denegação da segurança. considerando os argumentos ora trazidos (fls. 1.039/1.040).

27. **Macroaspectos referentes ao que ficou conhecido como o remédio mais caro do mundo.** No texto bíblico, o Apóstolo Paulo afirmou, em sua carta aos coríntios, que *a ciência incha, a caridade edifica*.

28. Está-se aqui a tratar daquele que ficou conhecido como **o remédio mais caro do mundo: Zolgensma®**.

29. Acerca desse ponto, o que se observa desde logo é que o custo do medicamento submete as famílias dos bebês acometidos de Atrofia Muscular Espinhal à mais humilhante peregrinação por doações ou outra maneira lícita de captação de tão vultosa quantia, circunstância que mobiliza as redes sociais em *rifas e vaquinhas*, inclusive contando com o incentivo de artistas de renome e personalidades. Afinal, quantas famílias, ao redor do mundo, dispõem, em orçamento, da cifra de R\$ 12 milhões para verter no salvador medicamento?

30. Cumpre registrar que a empresa desenvolvedora da terapia gênica que deu origem ao medicamento *Zolgensma®*, chamada AveXis, foi adquirida em 2018 pela Novartis por 8,7 bilhões de dólares.

31. Cuida-se, portanto, de estratégia comercial da Novartis para diversificação de suas atividades em que a terapia gênica desenvolvida pela AveXis foi a oportunidade para impulsionar negócios, pois, em vez dar origem a terapias em seus laboratórios, grandes farmacêuticas iniciaram corrida para investir na aquisição de empresas menores que possuam drogas em estágio avançado de desenvolvimento (https://www.swissinfo.ch/por/zolgensma_gigante-farmac%C3%AAutica-su%C3%AD%C3%A7a-absorve-startups-em-ofensiva-pelo-pr%C3%B3ximo-grande-passo-em-terapia-gen%C3%A9tica/45581876, acesso em 04.10.2020).

32. Logicamente, o investimento prevê perspectiva de retorno financeiro e é por meio da *altíssima precificação* do *Zolgensma®* que a Novartis espera obter a necessária lucratividade.

33. Nessa quadra, verifica-se que praticamente nenhuma família brasileira possui em seu orçamento, disponibilidade de R\$ 12 milhões para pronto pagamento, e que, para além disso, há necessidade de urgente administração do medicamento (até os dois anos de idade da criança com AME), ninguém duvida que *é sobre o Estado que recairá a obrigação* constitucional de prestar o tão almejado fármaco.

34. Assim, as autoridades brasileiras, à vista notícia do promissor medicamento e ciente de que ele figura como *o mais caro do mundo*, já deveriam iniciar a formulação de política pública tendente à compra regular do *Zolgensma*®, o que, sem sombra de dúvida, permitiria a estratégica negociação de um possível preço mais em conta junto à Novartis.

35. Todavia, a atenta leitura das informações trazidas aos autos pela douta autoridade impetrada demonstra que, ao contrário, ***não há demanda para análise de incorporação, ao SUS, do fármaco Zolgensma, protocolada na referida Comissão*** (fls. 1.026).

36. É que, mesmo sendo a AME uma *doença rara*. Somente no Brasil, há informes da existência de mais de 8.000 crianças portadoras (<https://noticias.uol.com.br/saude/ultimas-noticias/redacao/2020/08/02/doenca-rara-bebe-remedio-milhoes.htm>, acesso em 04.10.2020), o que daria, apenas em nosso país, a perspectiva de obtenção de R\$ 96 bilhões em retorno financeiro para o fabricante, se considerado o preço de *etiqueta* do medicamento.

37. Esse debate em torno da questão de custeio é importante e urgente porque, como dito, se está a tratar do ***remédio mais caro do mundo***. Não se está, com essa discussão, a pretender qualquer invasão sobre as escolhas das autoridades administrativas em matéria de saúde, muito embora o aspecto econômico-financeira tenha sido a linha defensiva principal das informações da autoridade impetrada, ao apontar que o custeio desta terapia a 170 crianças, num ano, seria suficiente para o atendimento de 816.680 pacientes de outras especialidades, pelo mesmo período de tempo (fls. 1.037).

38. No entanto, é certo que a expressão *mais caro do mundo* se torna relativa quanto ao medicamento que promete solução imediata e é tomado apenas uma vez (*Zolgensma*®), ao passo que o tratamento atualmente incorporado pelo Ministério da Saúde/Anvisa à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais, o Spinraza (nusinersena), depende de *tratamento por toda a vida*, em doses sequenciais, segundo notícia a própria página eletrônica do Ministério da Saúde (<https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/quem-tem-ame-agora-tem-spinraza>, acesso em 04.10.2020), valendo ressaltar, em relação à impetrante a prescrição que vem sendo administrada é de uma administração a cada quatro meses, *ad infinitum*.

39. A médio prazo, o *Spinraza*, que tem custo também altíssimo (mais de R\$ 1 milhão por dose) parece tornar-se mais oneroso ao Sistema Público de Saúde do que o próprio *Zolgensma*®, veja-se que no caso da impetrante o custo do ***remédio***

mais caro do mundo será alcançado com o tratamento convencional utilizado (que é custado pelo seu plano de saúde) em **apenas quatro anos**.

40. Veja-se que hoje o atual custeio público do tratamento da impetrante é zero, porquanto verifica-se que a atual medicação, que está contemplada no protocolo de tratamento do SUS lhe é fornecida pelo seu plano de saúde.

41. Não se pode ainda olvidar que a Constituição da República estabelece o direito à saúde como direito de todos e dever do Estado, havendo diversas políticas públicas de fornecimento de medicação e de terapias outras às pessoas que dela necessita.

42. Todavia, conforme se verifica do confronto entre os argumentos trazidos na petição inicial e aqueles vertidos pela autoridade impetrada, que na presente demanda, como em muitas outras desta natureza, tão frequentes, infelizmente, nos juízos e tribunais brasileiros, a parte impetrante, portadora de um doença rara e gravíssima, que atualmente não contém terapia curativa, bem como que o tratamento atualmente disponibilizado apresenta baixo percentual de sucesso e ainda, não impede a progressão contínua de perda de neurônios, causados pela AME, então, à vista do surgimento de nova terapia com resultados percentuais satisfatórios acima de 90%, que lhe poderá proporcionar uma vida digna, busca, mediante a realização de inúmeros esforços, a obtenção da medicação.

43. De outro lado, o Estado, que apresenta os dados frios numéricos e relatoriais, referentes ao custo (sem se debruçar, de maneira minuciosa, quanto ao confronto do pagamento único - do *Zolgensma*[®] - em comparação à medicação constante necessária do *Spinraza*); aponta ainda, a inexistência da demonstração do direito líquido e certo, porquanto tal terapia somente seria indicada para a AME Tipo I, ao passo que a impetrante é portadora de AME Tipo II, aliada ao fato de ser necessária a realização de prova pericial.

44. Há ainda, uma clara incongruência interpretativa da indicação recomendada pela bula da medicação pleitada, pois da atenta leitura dos dados extraídos do sítio eletrônico do fabricante e da indicação constante na bula, vê-se que as autoridades públicas de saúde brasileiras, salvo melhor juízo, partem de interpretação equivocada e, espero estar engando, mas direcionada à limitação do público alvo (para que haja a menor quantidade possível de ordens judiciais determinando seu fornecimento).

45. Isso ocorre, pela supressão interpretativo do vocábulo **ou** contante da bula. Veja-se:

Zolgensma é indicado para o tratamento de:

- *pacientes com atrofia muscular espinha 5q (AME) com uma mutação bialélica no gene SMN1 e um diagnóstico clínico de AME Tipo 1,*
ou

- *pacientes com AME 5q com uma mutação bialélica no gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2.*

46. Assim, no segundo item da indicação do fabricante, **não existe a limitação de que se trata de AME Tipo 1**, se assim fosse, tal limitação estaria contida, nas duas previsões ou na raiz, como por exemplo, ... *Zolgensma é indicado para o tratamento de AME Tipo 1, em pacientes que ...*

47. Ora, bem se vê, portanto, ao contrário do que apontado nas informações que inexistem exclusão apriorística da impetrante com relação à indicação do fabricante, porquanto o seu diagnóstico revelado nos exames genéticos acostados à inicial são suficientemente claros em declarar que ela possui *AME 5q, com mutação no gene SMN1 e 3 cópias do gene SMN2*. Preenchendo os requisitos da segunda linha, a qual não exige trata-se de AME Tipo 1.

48. Com efeito, **há neste confronto jurídico de teses, um aspecto complicador que pende ao mesmo tempo de maneira desfavorável e favorável à pretensão da impetrante: o tempo**. Como se sabe, o tempo é uma constante inexorável, ou seja, ele não para, não espera e não pode ser voltado.

49. Assim, o tempo se apresenta extremamente desfavorável à pretensão da impetrante devido à constante perda funcional causada pela patologia que possui, a qual, causa a perda de neurônios, os quais não se regeneram, portanto, à primeira vista, objetiva-se a imediata paralisação desta perda funcional, que conseqüentemente tornará o quadro da impetrante estabilizado, para fins de tratamentos terapêuticos outros, a fim de desenvolver as perdas sensoriais e motoras sofridas.

50. Não se pode ainda, olvidar que se está a tratar de um bebê, hoje com 14 meses de vida e, portanto, **quanto antes de obter a paralisação da evolução da AME, melhor serão os resultados obtidos, para que esta infante possa desfrutar de uma sobrevida com dignidade, cumprindo, assim, o mandamento constitucional**.

51. Ademais, **a indicação do fabricante diz respeito à limitação de sua administração antes de o paciente completar dois anos de idade**, que se dará em poucos meses, reforçando ainda mais a urgência da administração do medicamento à impetrante.

52. Ao contrário ainda, do que se vê na documentação acostada às informações da autoridade impetrante, tal limitação etária para a administração do medicamento não tem qualquer relação com o tipo da patologia, mas sim com o veículo que transporta o princípio ativo no organismo do paciente, que é chamado adenovírus, o qual, a partir de dois anos de idade, o paciente pode, com uma grande frequência, apresentar rejeição a esse veículo, fazendo com que a terapia gênica do *Zolgensma*® não cumpra o seu papel, que é o de fornecer ao organismo do paciente uma cópia saudável do gene faltante ou mutante, causador da AME.

53. Assim, além de o portador da AME estar a cada dia perdendo neurônios e, por conseguinte capacidades sensoriais e motoras, a administração da terapia gênica ante do implemento dos dois anos de idade é imprescindível à viabilidade do sucesso do tratamento.

54. Ora, **do que adianta ficar discutindo nos autos, matérias prejudiciais à vida digna de paciente de tenra idade que precisa de imediata administração de terapia inovadora, a qual se concedida apenas ao final, não terá nenhuma valia?**

55. Porque deveria a impetrante aguardar a realização de prova pericial técnica ou qualquer outro estudo, se a cada dia que passa, seus neurônios diminuem e hoje existe a possibilidade de lhe ser proporcionada uma sobrevida digna?

56. Qual o aspecto que deverá balizar a conduta do julgador? A urgência na preservação da saúde e da vida, ou ao menos de uma sobrevida mais digna ou o apego formal às filigranas estritas e demoradas que, neste caso esvaziarão, por completo, qualquer possibilidade de êxito no tratamento da pequena impetrante.

57. Esses aspectos aqui traçados são necessários, especialmente diante da *pressão emocional* exercida sobre os Julgadores a partir do quadro fático que se emoldura e se apresenta nos autos, isto é, tanto se deve considerar a urgência e a angústia das famílias, por um lado, assim como se deve reputar a viabilidade do sistema universal de saúde brasileiro, por outro.

58. Quanto tempo seria necessário, no presente caso, à realização de uma perícia médica em tempos de pandemia? Quais serão os próximos entraves burocráticos que surgirão para atrapalhar a parte impetrante?

59. Finalmente, importante ressaltar, que no presente caso, o custo do **remédio mais caro do mundo** aos cofres públicos está em muito minorado, por iniciativa da própria família da impetrante que, através de campanhas de mobilização

social já conseguiu arrecadar, até o dia 10.10.2020, o valor de R\$ 5.340.981,14 (cinco milhões, trezentos e quarenta mil, novecentos e oitenta e um reais e quatorze centavos) - fls. 1.160. Ainda, a parte impetrante teve o cuidado de trazer aos autos, orçamento atualizado, do qual se percebe que restam à obtenção da medicação, o montante de R\$ 6.659.018,86 (seis milhões, seiscentos e cinquenta e nova mil e dezoito reais e oitenta e seis centavos).

60. Ante o exposto, entendo presentes os requisitos autorizadores da tutela jurisdicional provisória, dada a farta documentação especializada trazida com a petição inicial, demonstrando a necessidade da impetrante, sua elegibilidade ao tratamento e, ainda, os benefícios percentuais superiores a 90% de chances de êxito, bem como à necessidade de tal terapia gênica ser administrada com a maior brevidade possível, limitada ao implemento do segundo aniversário da impetrante e, por conseguinte, **defiro a liminar pleiteada, determinando que a autoridade impetrada, providencie, no prazo máximo e improrrogável de 15 dias, o depósito do valor de R\$ 6.659.018,86 (seis milhões, seiscentos e cinquenta e nova mil e dezoito reais e oitenta e seis centavos), na conta bancária aberta à captação de recursos junto à sociedade civil, assim identificada:**

Kyara Lis de Carvalho Rocha - CPF 102.621.921-36

Caixa Econômica Federal - conta poupança Operação 013

Ag. 3494 - conta 60000193-3

61. Após a administração da terapia gênica pleiteada, assinalo o prazo de 30 dias para a parte impetrante apresentar nos autos a prestação de contas, referente ao gasto com a medicação.

62. Publique-se. Intimações necessárias.

Brasília, 05 de outubro de 2020.

NAPOLEÃO NUNES MAIA FILHO
Ministro Relator