

UNIVERSIDADE FEDERAL DO RIO GRANDE DO SUL
FACULDADE DE MEDICINA
PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICINA: CIÊNCIAS MÉDICAS

**AVALIAÇÃO DAS AÇÕES JUDICIAIS PARA A OBTENÇÃO DO TRATAMENTO DA
FENILCETONÚRIA NO RIO GRANDE DO SUL**

LUCIANO MANGUEIRA TREVISAN

Orientadora: Ida Vanessa Doederlein Schwartz

Co-orientador: Paulo Gilberto Cogo Leivas

Dissertação apresentada ao Programa de Pós-Graduação em Medicina: Ciências Médicas, UFRGS, como requisito para obtenção do título de Mestre

Porto Alegre, dezembro de 2013.

Dedicatória

A minha esposa Bárbara, pelo incentivo e compreensão.

A minha filha Mariana, pelo amor incondicional.

Aos meus pais, pelo exemplo de vida.

Agradecimentos

À minha orientadora, professora Ida D. Schwartz, um exemplo de coragem, persistência, determinação na busca de fazer o melhor, mas principalmente por acreditar que a realização deste trabalho era possível. Minha gratidão pela oportunidade, generosidade, incentivo e acima de tudo, por todos os ensinamentos.

Ao meu co-orientador, professor Paulo Gilberto Cogo Leivas, pela paciência, estímulo, pelos ensinamentos e principalmente pelo exemplo de dedicação e profissionalismo.

À minha esposa Bárbara Corrêa Krug, pelo apoio incondicional, esforço, compreensão e apoio familiar quando estive ausente. Minha eterna gratidão, admiração pelo exemplo como pessoa, profissionalismo e determinação.

Ao professor Paulo D. Picon, pelo exemplo de profissionalismo, pela inspiração, mas acima de tudo, pelos ensinamentos em sua disciplina de Políticas Públicas para Medicamentos Baseada em Evidência Científica.

Às minhas queridas colegas, Tatiele Nalin, Tássia Tonon e Lauren Veiga, pela disponibilidade e apoio nas análises estatísticas, fundamentais para a conclusão deste trabalho.

A Comex, pelo acolhimento e permissão em utilizar os computadores para o desenvolvimento dos conteúdos deste trabalho. Meu muito obrigado.

Às amigas queridas colegas e amigas Candice Gonçalves, Tatiane Vieira, Karine Amaral, Ana Lamaison e Alessandra Martins pelo auxílio na organização das tabelas, formatação do sumário da dissertação e orientações ao longo desta caminhada. Meu agradecimento pela disponibilidade e pela amizade.

"Tudo parece impossível até que seja feito."

Nelson Mandela

Resumo

A Fenilcetonúria (PKU) é uma doença genética rara detectada pelo Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN) por meio do "teste do pezinho". Uma vez diagnosticada e tratada precocemente com dieta específica e fórmula metabólica isenta de fenilalanina (Phe), a ocorrência de retardo mental é prevenida nestes pacientes. Mesmo sendo fornecida gratuitamente pelo Sistema Único de Saúde (SUS), mediante protocolo clínico, estima-se que os pacientes com PKU têm encontrado dificuldades de acesso à fórmula metabólica, recorrendo à via judicial para garantir a continuidade de seu tratamento. Não existem estudos sobre os fatores que levam os pacientes com PKU a ingressarem na justiça em busca do acesso ao seu tratamento, tampouco que caracterizem os argumentos utilizados pelos poderes públicos na tentativa de resolução desses conflitos. **Objetivos:** Este estudo constitui-se em uma das etapas de um projeto mais amplo intitulado "Acesso e Adesão ao Tratamento da Fenilcetonúria: avaliação da judicialização e do impacto médico e socioeconômico para os pacientes e sua famílias, e para o Sistema Único de Saúde do Rio Grande do Sul". Esta etapa teve por objetivo caracterizar o uso da via judicial para a obtenção do tratamento da PKU no Estado do Rio Grande do Sul (RS). **Metodologia:** estudo observacional e retrospectivo, baseado na análise de processos judiciais de indivíduos com PKU que ingressaram na justiça entre 2001 e 2010 e que solicitaram alguma forma de tratamento para essa doença. Foram analisados os dados correspondentes ao período compreendido entre a propositura da ação e a sentença. **Resultados:** foram identificados 20 processos ajuizados no período analisado, e que preenchiam os critérios de inclusão, sendo que o acesso integral aos documentos para análise só foi possível em 19 casos. Apenas 2/19 dos processos visavam à obtenção de terapias diferentes da fórmula metabólica. Em 17/19 dos processos havia relato de solicitação prévia de fornecimento do tratamento deferida pela Secretaria de Saúde – RS. Figuraram como réus o estado do RS (n=19), a União (n=1) e municípios (n=4). Os pedidos de antecipação de tutela foram deferidos em todos os processos. Ao final das análises, 18/19 dos processos possuíam sentenças, obrigando os réus a fornecerem os insumos solicitados. **Conclusões:** os dados sugerem a violação do direito à saúde e a interrupção do fornecimento do tratamento pelo Estado como as principais razões para o uso da via judicial. Há evidências ainda, de que problemas como gestão de estoque e processos licitatórios morosos contribuam para a judicialização da PKU no RS. Ao contrário do que acontece com outras doenças genéticas, no caso da PKU a busca pela via judicial visa à obtenção de um produto que já está incluído na política de assistência farmacêutica nacional, achado que sugere que falhas de gestão são um dos fatores desencadeantes da judicialização no país.

PALAVRAS-CHAVE: Fenilcetonúria; Judicialização; Interrupção do Fornecimento do Medicamento; Rio Grande do Sul; Brasil.

Abstract

Phenylketonuria (PKU) is a rare genetic disease detected by the Brazilian National Neonatal Screening Program (PNTN) through the "heel-stick test". Once diagnosed and treated early with a specific diet and metabolic phenylalanine-free formula (Phe), the occurrence of mental retardation is prevented in these patients. Even being provided free of charge by the Public Health System through National Guidelines, it is estimated that patients with PKU have found difficulty in obtaining the metabolic formula, resorting to the courts to ensure the continuity of their treatment. There are no studies on the factors that lead patients with PKU to file lawsuits in search of justice to have access to their treatment, nor that characterize the arguments used by the government in an attempt to solve these conflicts. **Objectives:** This study constitutes one of the steps of a broader project entitled "Access and Adherence to Phenylketonuria Treatment: evaluation of judicialization and the medical and socio-economic impact for patients and their families, and for the Public Health System of Rio Grande do Sul". This step aimed to characterize the use of the judicial process in order to obtain treatment of PKU in the state of Rio Grande do Sul (RS). **Methodology:** A retrospective, observational study, based on analysis of court cases of individuals with PKU that entered with judicial lawsuits between 2001 and 2010 requesting some form of treatment for this disease in RS. Data corresponding to the period between filing the lawsuit and court ruling were analyzed. **Results:** We identified 20 cases filed in the period that met the inclusion criteria, in which full access to the documents for analysis was only possible in 19 cases. Only 2/19 processes aimed at obtaining therapies different from the metabolic formula. In 17/19 cases it was reported that there was prior request of treatment granted by the Department of Health of the state of RS. Figured as defendants the state of RS (n=19), the Union (n=1), and municipalities (n=4). Applications for advance relief were granted in all cases. At the end of the analysis, 18/19 cases had court ruling, obliging that the defendants provide the required inputs. **Conclusions:** The data suggest a violation of the right to health and interruption of treatment supplied by the State as the main reasons for the use of the judicial process. There is also evidence that problems, such as management of medications and lengthy procurement processes, contribute to the judicialization of PKU in the state of RS. Compared to what happens with other genetic diseases, in the case of PKU, the quest via litigation to obtain a product that is already included in the national pharmaceutical assistance policy, a finding that suggests that management failures are one of the factors triggering judicialization in the country.

KEYWORDS: phenylketonuria, judicialization, interruption of drug delivery, Rio Grande do Sul, Brazil.

Lista de Tabelas

Tabela 1 Incidência de Hiperfenilalaninemia - Fenilalanina-Hidroxilase em diferentes países..	17
Tabela 2 Níveis alvo de Fenilalanina a serem atingidos com o tratamento.....	20

Lista de Figuras

Figura1. Fluxograma de dispensação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas 2010 ...21

Lista de Abreviaturas

AME: Sistema de Administração de Medicamentos Especiais
BH4: Tetrahydrobiopterina
CEAF: Componente Especializado de Assistência Farmacêutica
CMDE: Componente de Medicamentos de Dispensação Excepcional
EIM: Erro inato do metabolismo
EMA: European Medicines Agency
FDA: Food and Drug Administration
HCPA: Hospital de Clínicas de Porto Alegre
HMIPV: Hospital Materno Infantil Presidente Vargas
HPA: Hiperfenilalaninemia
MS: Ministério da Saúde
PCDT: Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas
PHA: Fenilalanina-Hidroxilase
Phe: Fenilalanina
PKU: Fenilcetonúria
PNTN: Programa Nacional de Triagem Neonatal
RN: Recém-nascido
RS: Rio Grande do Sul
SES: Secretaria Estadual da Saúde
SGM: Serviço de Genética Médica
SRTN: Serviços de Referência em Triagem Neonatal
SUS: Sistema Único de Saúde
Tyr: Tirosina

SUMÁRIO

1. INTRODUÇÃO	14
2. REVISÃO DA LITERATURA	16
2.1 Erros Inatos do Metabolismo e a Fenilcetonúria	16
2.2 Hiperfenilalaninemias	16
2.3 Incidência da Fenilcetonúria (PKU)	17
2.4 Manifestações Clínicas	18
2.5 O Sistema Nervoso Central na PKU	18
2.6 Diagnóstico	18
2.7 Tratamento	19
2.8 Tratamentos Inovadores	22
2.9 Programa Nacional de Triagem Neonatal – PNTN	22
2.10 O direito à saúde	23
2.11 Eficácia do Direito à Saúde	25
2.12 O Impacto da Judicialização	25
2.13 História da Judicialização	26
2.14 Judicialização da Saúde	27
2.15 O Sistema Único de Saúde – SUS	28
2.16 A PKU no SUS e no Rio Grande do Sul	29
3. JUSTIFICATIVA	30
4. OBJETIVOS	31
4.1 Objetivo Principal	31
4.2 Objetivos Secundários	31
5. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS DA REVISÃO	32
6. ARTIGO EM INGLÊS	36
7. CONCLUSÕES	56
8. CONSIDERAÇÕES FINAIS E PERSPECTIVAS	57
9. APÊNDICES	59
APÊNDICE I - ARTIGO EM PORTUGUÊS	60
APÊNDICE II - FORMULÁRIO 1 - AVALIAÇÃO DOS PROCESSOS JUDICIAIS - EQUIPE JURÍDICA	80
APÊNDICE III - FORMULÁRIO 2 - AVALIAÇÃO DOS PROCESSOS JUDICIAIS - EQUIPE MÉDICA	103

10. ANEXOS	106
ANEXO I - APROVAÇÃO DO COMITÊ DE ÉTICA E PESQUISA DO HOSPITAL DE CLÍNICAS DE PORTO ALEGRE	107
ANEXO II - APROVAÇÃO DO COMITÊ DE ÉTICA E PESQUISA DO HOSPITAL MATERNO INFANTIL PRESIDENTE VARGAS	108

1. INTRODUÇÃO

A Fenilcetonúria (PKU) é um erro inato do metabolismo (EIM) associado à atividade deficiente da enzima hepática fenilalanina hidroxilase (PAH).(1) Em consequência, os pacientes apresentam níveis séricos elevados de fenilalanina (Phe), os quais são tóxicos para o sistema nervoso central. A PKU foi umas das primeiras doenças neurogenéticas identificadas, tendo sido descrita por Asbjorn Fölling em 1934, ao observar dois irmãos que tinham retardo mental. Também foi o primeiro EIM tratado com sucesso em estudo pioneiro de Bickel em 1953.(2) É uma doença metabólica rara, com prevalência global média estimada de 1:10.000 recém-nascidos.(3) O sintoma mais comumente apresentado por pacientes com PKU não tratados é o retardo mental grave.

O diagnóstico da PKU é idealmente obtido por meio da medida da Phe em papel-filtro no período neonatal (o chamado "Teste do Pezinho), instituído como obrigatório pelo Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN) e que permite a detecção e o tratamento precoce. O tratamento da PKU, quando iniciado nas primeiras semanas de vida e mantido continuamente, permite com que indivíduos com PKU desenvolvam-se normalmente.(4)

Com a criação do PNTN pelo Ministério da Saúde do Brasil (MS) em 2001, o poder público inseriu o tratamento com a fórmula isenta de Phe para o tratamento da PKU na lista do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), sendo totalmente financiado pelos Estados brasileiros no Sistema Único de Saúde (SUS) dentro dos critérios estabelecidos pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT).(4) O Rio Grande do Sul (RS) conta com equipes multidisciplinares dentro dos dois centros de referência para acompanhamento dos pacientes com PKU: Hospital de Clínicas de Porto Alegre (HCPA) e Hospital Materno Infantil Presidente Vargas (HMIPV).

O direito fundamental à saúde é prescrito pela Constituição Federal, que impõe aos entes federados o dever de elaborar e executar políticas públicas que visem reduzir os riscos de doenças e agravos à saúde e de organizar uma rede de serviços capaz de oferecer garantias de acesso universal e igualitário às ações e projetos desenvolvidos pelos serviços públicos de saúde (art. 196 da Constituição Federal).

Com base nesse direito, os cidadãos brasileiros passaram a utilizar-se de instrumentos processuais como mecanismo de defesa para a garantia de seu direito à saúde. Este fenômeno foi denominado de judicialização da saúde, retratando a relação do poder judiciário e a política (5) e o fato do Poder Judiciário ter passado a ter papel ativo e decisivo na concretização da Constituição Federal, resguardando direitos e assegurando o respeito ao ordenamento jurídico nas hipóteses de omissão dos poderes públicos.(6)

Porém, a atuação do poder judiciário nestes casos, pode acabar interferindo na política de saúde previamente planejada pelos gestores do poder executivo, uma vez que decisões favoráveis, como as de caráter liminar, forçam o Estado à aquisição emergencial de insumos sem os processos licitatórios, sugerindo elevação dos custos e impacto no orçamento da saúde.

Entretanto, estudos sobre a judicialização da saúde no Brasil revelam deficiências nos serviços públicos de saúde.⁽⁷⁾ Chama a atenção a existência de ações judiciais para obtenção de medicamentos que são fornecidos gratuitamente, como o caso da PKU no RS.

O presente trabalho estrutura-se de duas formas: 1) A compreensão dos principais aspectos sobre a doença Fenilcetonúria como: conceitos, incidência, critérios de diagnósticos, manifestações clínicas, tratamento, os programas e políticas públicas envolvidas. 2) A análise das questões sobre o direito à saúde como: a judicialização do direito à saúde, a história da judicialização, o seu impacto e eficácia. Mas, acima de tudo, pretende-se realizar o estudo relativo às dificuldades que os pacientes com PKU tem enfrentado em relação à assistência farmacêutica prestada pelo RS.

Nossa hipótese é a de que os pacientes com PKU encontram dificuldades de acesso ao seu tratamento no RS sugerindo que problemas de gestão na assistência farmacêutica da SES-RS possa estar ocorrendo. Entretanto, não foram localizados estudos que retratem a ocorrência de pedidos judiciais da fórmula isenta de Phe ou sobre os fatores que levariam os pacientes com PKU ao judiciário, no Brasil ou no RS, tampouco que caracterizem as decisões desses processos ou seu impacto socioeconômico. Sendo assim, capturar as razões e motivações dos pacientes com PKU ou de seu representante legal sobre este fenômeno, é essencial para que se possa melhorar a prestação da saúde pública e a própria atuação judicial no RS.

2. REVISÃO DA LITERATURA

2.1 Erros Inatos do Metabolismo e a Fenilcetonúria

Os EIM decorrem de um defeito enzimático que determina o bloqueio de uma via metabólica, tendo como consequência o acúmulo de substratos e derivados e/ou falta de seu produto (8), e podendo resultar em alterações no desenvolvimento mental e físico dos indivíduos afetados. (9)

A Fenilcetonúria (PKU) é um dos erros inatos do metabolismo (EIM) mais comuns, de herança autossômica recessiva, sendo causada pela atividade deficiente da enzima Fenilalanina-Hidroxilase (PAH) e conseqüente aumento da concentração sérica de Phe. Dentro do espectro da deficiência da atividade de PAH, encontra-se a PKU clássica (forma mais grave da doença e que necessita tratamento, definida mais comumente por níveis superiores de 20 mg/dL da Phe sérica ao diagnóstico), a PKU leve (forma menos grave da doença, mas que ainda necessita de tratamento, e que pode ser definida por níveis entre 6-20 mg/dL de Phe sérica ao diagnóstico), e a hiperfenilalaninemia leve (forma mais branda da doença, que não necessita de tratamento, e pode ser definida por níveis entre 2-6 mg/dL de Phe sérica ao diagnóstico). (10-14)

Embora rara, a PKU é o mais frequente EIM dos aminoácidos e os níveis sanguíneos elevados de Phe levam ao aumento da sua excreção urinária e de seus metabólitos, as fenilcetonas. Níveis elevados de Phe são considerados neurotóxicos provocando defeitos no desenvolvimento neuromotor e neurocognitivo. O retardo mental é irreversível quando não diagnosticado e tratado em idade precoce. No Brasil, a PKU ocorre em cerca de 1:24.780 recém-nascidos vivos (RN). (4)

2.2 Hiperfenilalaninemias

Define-se por hiperfenilalaninemias (HPA) as condições associadas a níveis séricos de fenilalanina (Phe) acima de 2 a 4 mg/dL, na dependência do ponto-de-corte utilizado pelo laboratório.(9, 15)

As HPA podem ser causadas pelos fatores abaixo relacionados:(16)

- Transitórios: prematuridade; insuficiência hepática/renal, tirosinemia, galactosemia; nutrição parenteral total; uso de fármacos (trimetoprima, metotrexato);
- Permanentes:
 - deficiência primária de PAH (ou PKU): é a causa mais frequente (aproximadamente 98% dos casos diagnosticados);

- deficiência secundária da PAH, em consequência de doenças do metabolismo do cofator tetrahidrobiopterina (BH4): correspondem a menos de 2% dos casos de HPA.

2.3 Incidência da Fenilcetonúria (PKU)

A incidência de heterozigotos (pessoas que não têm a doença, mas que têm chance de terem filhos com PKU, pois possuem um dos alelos do gene envolvido com mutação) para a PKU é de 2% da população em geral. (3, 17) A doença ocorre em todos os grupos étnicos e sua prevalência global total é de aproximadamente 1:12.000 RN. (18, 19) Na Europa Ocidental, a incidência da doença é, em média, 1:8.000 RN, apesar de grandes diferenças entre os vários países. (Tabela 1)

Estima-se que, na cidade de São Paulo, 1:12.000 a 1:15.000 recém-nascidos (RN) têm PKU, com base em levantamento realizado em postos de saúde e berçários. (20) Em 2002, um levantamento feito no Brasil por meio do PNTN, encontrou uma prevalência de 1:24.780. (4) Já na região sul do país, JARDIM et al. (1996) relataram que a razão é de 1:12.500 RN. (Tabela 1) (21, 22)

Tabela 1 - Incidência de Hiperfenilalaninemia - Fenilalanina-Hidroxilase em diferentes países

País	Incidência	Citação
Países Baixos	1: 18.000	Verkerk et. al., 1994 (17)
Reino Unido	1: 10.000	Clarck BJ, 1992 (18)
França	1: 17.000	Abadie et. al., 2001 (23)
Irlanda	1: 4.000	Whithead et al., 1996 (19)
Canadá	1: 22.000	Scriver et al. , 2001 (8)
Portugal	1: 12.500	Vaz-Osório R., 1999 (24)
Brasil (Região Sul)	1: 12.500	Jardim et al., 1996 (22)
África	1: 132.000	Elsa & Acosta, 2003 (25)

2.4 Manifestações Clínicas

A manifestação clínica mais comumente apresentada por pacientes com PKU não tratados é o retardo mental grave, frequentemente associado a um odor característico na urina.

Outros sinais/sintomas apresentados são atraso global do desenvolvimento; distúrbios de comportamento, incluindo padrão autista (26); sinais piramidais; tremores; convulsões; eczema; redução da pigmentação do cabelo, da pele e da íris (como consequência da redução da síntese da melanina); redução do crescimento e microcefalia. Os fenótipos clínicos correlacionam-se com os níveis de Phe no sangue, refletindo o grau de deficiência da PAH. (18)

2.5 O Sistema Nervoso Central na PKU

Quando a dieta é iniciada nas primeiras semanas de vida e mantida continuamente, é esperado que indivíduos com PKU desenvolvam-se normalmente. Déficits nas funções executivas têm, no entanto, sido observados mesmo em crianças cujo tratamento é iniciado precocemente e mantido continuamente. As funções executivas compreendem habilidades necessárias para a solução de problemas como, por exemplo, o planejamento, a memória operacional e a inibição e autorregulação do comportamento. Existe evidência de que essas habilidades estão associadas ao funcionamento das porções dorsolaterais do lobo pré-frontal. (10)

2.6 Diagnóstico

O diagnóstico das HPA por meio da medida da Phe em papel-filtro é a base da triagem neonatal (“Teste do Pezinho”), pois permite o tratamento precoce, evitando o retardo mental. Quando o teste detecta níveis altos de Phe, é necessário fazer o diagnóstico diferencial, com o objetivo de confirmar a etiologia da HPA. Entre os diagnósticos diferenciais estão a Tirosinemia (excluída por meio da quantificação de Tyr) e os defeitos do BH4. Os defeitos do cofator BH4 podem ser excluídos por algumas outras investigações específicas, tais como o teste de sobrecarga de BH4, análise de proteínas e análise de atividades enzimáticas específicas. (27, 28).

O diagnóstico deve ser preferencialmente realizado no período neonatal, antes do aparecimento dos sintomas, já que, depois de instalada, a lesão neurológica é irreversível. A amostra para triagem neonatal é usualmente coletada após as 48 horas de vida, ou seja, após o início da alimentação com proteínas. Os resultados alterados devem ser confirmados por testes realizados em segunda amostra de sangue em papel-filtro, soro ou sangue total (de acordo com a

metodologia empregada no laboratório especializado). Os casos confirmados devem ser encaminhados para tratamento e mais investigações em serviços de referência.(9)

2.7 Tratamento

O controle da PKU pode ser conseguido através de uma dieta com baixos níveis de Phe. A dieta com restrição de Phe é individualizada, ajustada conforme a tolerância individual de cada paciente e os níveis alvo de Phe para cada faixa etária (Tabela 2), e deve ser seguida por toda a vida. É digno de nota que não existe consenso internacional sobre quais são os níveis-alvos de Phe, os mesmos variando de país para país e mesmo de serviço para serviço.

Por falta de mais estudos, os requerimentos proteicos para os pacientes afetados seguem as recomendações propostas por organizações internacionais (Food and Agriculture Organization of the United Nations e World Health Organization) considerando-se a necessidade de ingestão de proteína igual ou superior a de indivíduos saudáveis.(29) Alimentos de origem animal são pouco utilizados, resultando em baixa ingestão de proteínas de alto valor biológico.(30) Geralmente é acrescido um alimento medicinal, chamado de fórmula metabólica, o qual substitui os alimentos ricos em proteínas que são retirados da dieta. As fórmulas metabólicas para PKU são isentas em Phe e fornecem os nutrientes necessários para a suplementação da dieta do paciente, constituindo-se em uma mistura de aminoácidos livres, vitaminas e elementos-traços. Aproximadamente 75-95% das necessidades protéicas são cobertas por essas fórmulas. No Brasil, elas são custeadas pelos governos estaduais, sendo distribuídas pelas Secretarias Estaduais de Saúde - SES.(31)

Tabela 2 - Níveis alvo de Fenilalanina a serem atingidos com o tratamento.(14)

Idade	Phe alvo (micromol/L)	Phe alvo (mg/dL)
0-12 meses	120-360	2-6
1-13 anos	120-360	2-6
>13 anos:		
-permitido	120-900	2-15
-desejável	120-600	2-10
-gestação	120-360	2-6

A dietoterapia para PKU é, portanto, complexa, de longa duração, e requer muitas mudanças de hábitos por parte do paciente e de sua família. O sucesso do tratamento em longo prazo, assim como acontece em qualquer doença crônica, depende da disponibilidade do paciente em seguir as recomendações médicas e nutricionais prescritas, sendo fundamental a sua monitorização. (3) O controle da dieta, que é relativamente fácil nos primeiros anos de vida, pode tornar-se de difícil execução a partir da idade escolar. Geralmente, o abandono ou relaxamento da dieta ocorre na adolescência, quando surgem as crises de desenvolvimento, próprias da puberdade. Diversas razões contribuem para essa descontinuidade, como: 1) pressões sociais que dificultam a integração do indivíduo com PKU na sociedade; 2) disponibilidade de tempo para adequar-se à dietoterapia; 3) limitação financeira devido ao elevado custo dos alimentos especiais; 4) independência familiar; 5) desconhecimento dos teores de Phe nos alimentos; 6) falta de produtos com teores reduzidos de Phe que possam suprir as necessidades nutricionais; 7) dificuldade de entendimento familiar sobre a doença e a sua gravidade.(30)

As mulheres com PKU devem receber aconselhamento genético sobre os efeitos teratogênicos das altas concentrações de Phe no plasma durante a gravidez. Uma dieta restrita em Phe deve perdurar por alguns meses antes da concepção, a fim de manter concentrações normais no plasma. Após a concepção, a orientação nutricional e médica são essenciais, assegurando, assim, o aporte adequado de energia com a proporção apropriada de proteína, gordura e hidratos de carbono.(32)

No Brasil o tratamento da PKU segue o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde (MS) e deve seguir o Fluxograma de Dispensação de Fórmula de aminoácidos isenta de Phe. (4) (Figura 1)

Acredita-se que esses pacientes possam conviver em sociedade sem desvios comportamentais, de forma inserida e produtiva, não somente pela experiência dos dados da literatura, mas principalmente pelo fato de que a adesão ao tratamento e a manutenção da dieta

por toda a vida promovem melhores resultados em longo prazo no desenvolvimento, crescimento, comportamento e cognição dos portadores de PKU.(4)

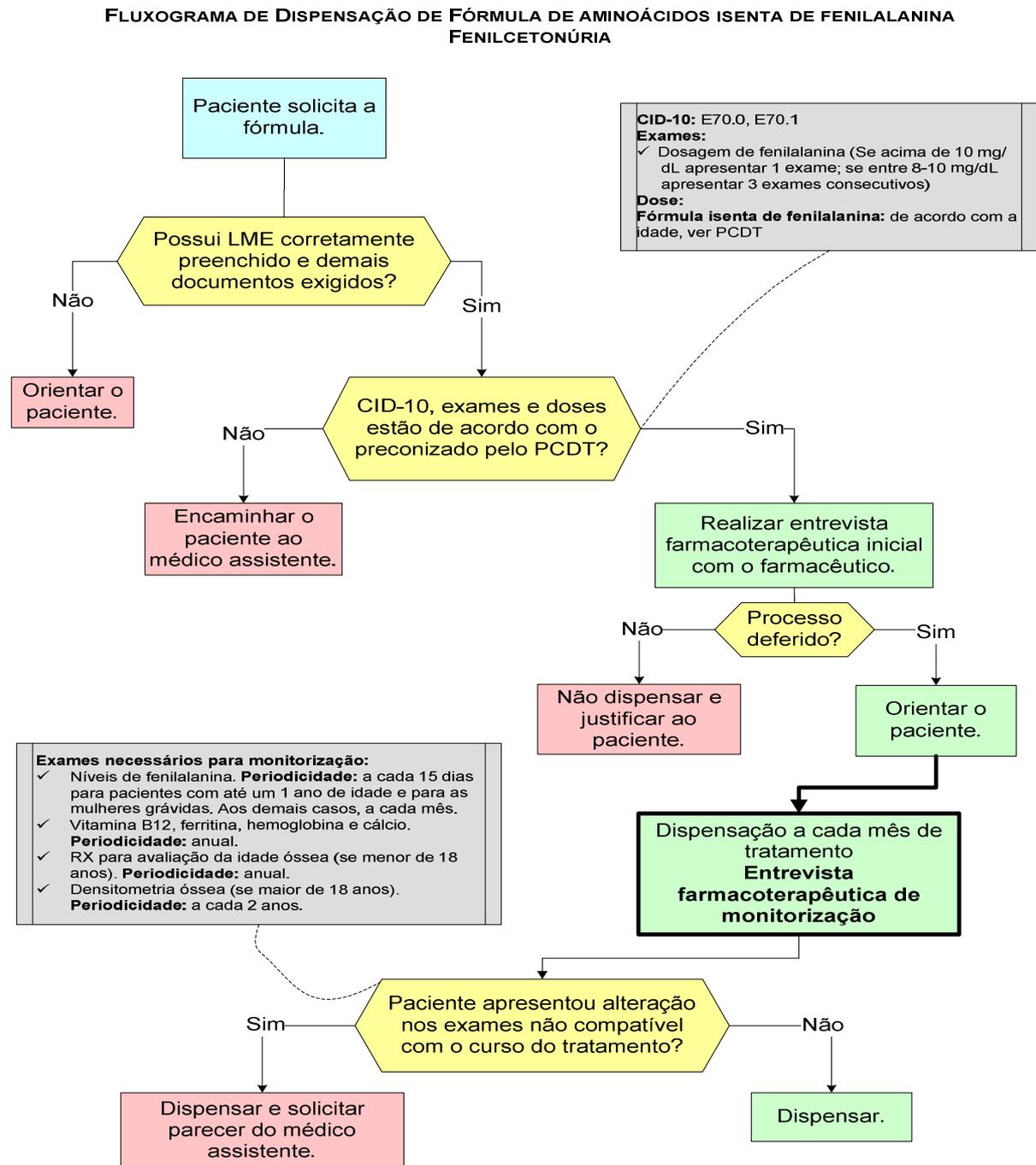


Figura 1 – Fluxograma de dispensação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas 2010

2.8 Tratamentos Inovadores

A possibilidade de tratamento com a suplementação do cofator BH4 sintético (33-37) é, hoje, uma realidade, já sendo uma terapia aprovada pelo FDA e EMEA. O racional para seu uso baseia-se no fato que pacientes que possuem atividade residual de PAH, podem ter essa atividade aumentada com o uso de BH4. Os pacientes com PKU que se beneficiam com a suplementação de BH4 são denominados “responsivos” (os demais são chamados “não responsivos”), e são identificados por meio de testes específicos. Os indivíduos responsivos em uso de BH4 podem receber uma maior quantidade de Phe na dieta, sem que haja elevação dos níveis séricos de Phe. Estima-se que 20-30% dos pacientes com PKU clássica, e 30-50% dos pacientes com PKU leve sejam responsivos; o BH4 não faz parte das listas de dispensação de medicamentos do Ministério da Saúde Brasileiro.

Outra terapia inovadora é são os “LNAA” (*large neutral amino acid*, ou aminoácidos de cadeia grande neutra). Tais aminoácidos, quando suplementados, competem com a Phe pelos receptores de aminoácidos presentes na barreira hematoencefálica, de forma a impedir a sua entrada no cérebro (e, portanto, diminuir a sua neurotoxicidade). Os LNAA não fazem parte das listas de dispensação de medicamentos do Ministério da Saúde Brasileiro.

Ensaios envolvendo terapia de reposição enzimática (*in-vivo*) e terapia gênica (*in-vitro*) para PKU já estão sendo realizados.

2.9 Programa Nacional de Triagem Neonatal - PNTN

O Ministério da Saúde implantou em 2001 o PNTN pelo Sistema Único de Saúde (SUS), por meio da Portaria GM/MS n.º 822, de 06 de junho de 2001. O Programa teve como objetivo geral promover a detecção de doenças em fase pré-sintomática em todos os RN, permitindo o tratamento precoce e, conseqüentemente, diminuindo a morbidade, suas conseqüências e a mortalidade gerada pelas doenças triadas. (38)

Com o objetivo de triar 100% dos nascidos vivos e com o intuito de alcançar a meta de prevenção e redução da morbimortalidade provocada por essas doenças, estabeleceu-se que o PNTN seria executado de forma articulada pelo Ministério da Saúde e pelas secretarias municipais e estaduais de saúde por meio da criação de uma rede estadual de triagem neonatal, tendo como unidade central os Serviços de Referência em Triagem Neonatal (SRTN), que são os instrumentos ordenadores e orientadores de toda a rede local de triagem neonatal. Aos SRTN são destinados à operacionalização, execução e controle do PNTN, na sua área de abrangência, desde a coleta, realização de exames, busca ativa, confirmação diagnóstica, acompanhamento e

tratamento dos casos positivos detectados. Foram publicadas portarias específicas para habilitação de cada estado e/ou credenciamento de Serviço(s) de Referência(s) em Triagem Neonatal (SRTN).(38)

Atualmente, encontra-se em fase de consulta pública a minuta de portaria visando reformular o atual PNTN junto ao SUS que passará a contemplar a triagem neonatal por amostra biológica, a triagem neonatal auditiva e a triagem neonatal ocular. A minuta também busca definir que o PNTN contemple o diagnóstico presuntivo, o diagnóstico de certeza, o tratamento e o acompanhamento dos casos diagnosticados e Instituir Serviços Operacionais de Monitoramento e Acompanhamento em Triagem Neonatal (SOMA-TN).

2.10 O direito à saúde

A partir das promulgações das constituições no Brasil, o direito à saúde passou por profundas modificações no tocante às legislações e aos direitos e as garantias que foram confirmadas constitucionalmente.

O direito à vida é o mais relevante direito humano. Porém, devido seus aspectos individuais e sociais, o direito à saúde deve ser considerado como de igual importância, haja visto estar inserido nele o direito à vida de cada ser humano, garantida pela constituição, que assegura a todos, sem distinção, o direito de ter uma vida digna.(39)

Em 1988 instaurou-se no Brasil uma nova ordem jurídica constitucional, e os princípios estruturais desta nova ordem, carregam valores de uma sociedade baseada no Estado Democrático de Direito, traduzindo-se, claramente, nos direitos fundamentais do homem construídos dentro dos princípios éticos do direito.(7)

A Constituição Federal de 1988 representa o resultado de lutas de anos, que culminaram na garantia de direitos sociais e coletivos. Representando a tentativa de correção dos excessos e descaminhos provocados pelo regime militar, o amplo catálogo de direitos sociais e coletivos intangíveis pelo Estado, inovou como um instrumento de emancipação social com o intuito de buscar a igualdade concreta entre as pessoas.(40)

Como um dos princípios basilares a “dignidade da pessoa humana” (artigo 1º, inciso III), a constituição federal de 1988 enunciou o elenco dos direitos e garantias fundamentais a partir da “inviolabilidade do direito à vida” (artigo 5º, caput). E, na sequência, proclamou o rol de direitos sociais, neles incluindo a “saúde” (artigo 6º).

Não se trata de mero plano de intenções, mas afirmativa solene de proteção às pessoas, reconhecendo que possuem direito público subjetivo à saúde e que o Estado tem a obrigação de garantir a sua efetividade.

O direito à saúde recebeu destaque no texto constitucional ao ser elencado como um serviço de relevância pública, que se caracteriza como essencial para a efetivação de outros direitos, sobretudo o direito à vida. A Constituição consolidou demandas sociais relevantes nesta seara, a exemplo dos princípios e das regras específicas do campo da saúde, tais como descentralização, integralidade, participação etc.(40)

Reconhecido como um direito fundamental, o direito à saúde deve ser garantido pelos Estados e aos seus cidadãos e sua compreensão implica o desenvolvimento de ações e políticas públicas que promovam o bem-estar da população.(41)

Segundo a Organização Mundial de Saúde (OMS), não se pode definir saúde apenas como a ausência de doença, mas sim como o status perfeito de bem-estar físico, mental e social.(29)

Nesse tom, proclama o artigo 196 da Constituição Brasileira de 1988 “que a saúde é direito de todos e dever do Estado”. O artigo se completa com a afirmação de que esse direito é “garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação”.

Atualmente, observa-se o crescimento do papel de instituições jurídicas e de participação no processo de formulação, execução e fiscalização das políticas de saúde, sobretudo o da assistência farmacêutica. De certa forma a integração ou sinergia entre tais instituições através de seus operadores Juízes, promotores de justiça, conselheiros de saúde e representantes interferem na efetivação do direito à saúde e implementação de políticas públicas.(42)

2.11 Eficácia do Direito à Saúde

Atualmente, existem três posicionamentos sobre a eficácia do direito à saúde, que se desdobram em análises das possibilidades e limitações da atuação do judiciário nas determinações de prestações a serem cumpridas pelo SUS.

A primeira posição leva em conta que a eficácia desse direito deve estar restrita aos serviços e produtos disponíveis no SUS, já determinados pelo gestor público. A segunda entende que a prescrição médica deve ser considerada pelo judiciário como autoridade absoluta, obrigado o SUS a fornecer o tratamento indicado. A terceira posição defende que a eficácia do direito à saúde deve ser a mais ampla possível, que de acordo com o caso concreto, o judiciário deve ponderar direitos, bens e os interesses em jogo para fixar o conteúdo da prestação devida pelo Estado.(43)

Nesta última, está a maior e mais adequada possibilidade de sinergia entre a saúde e o direito na garantia do cidadão ao acesso à justiça e à saúde.(43)

2.12 O Impacto da Judicialização

Por meio das licitações, o Estado possui flexibilidade para negociar preços para aquisição de medicamentos de forma a atender seu planejamento orçamentário. Porém, as demandas judiciais que têm sido deferidas na sua maioria considerando os documentos médicos presentes nos processos, acabam por interferir na gestão de políticas públicas de saúde, seus orçamentos, princípios e normas do Sistema de Saúde Brasileiro (SUS), uma vez que determina a aquisição obrigatória e imediata de determinadas quantidades de medicamentos sem licitação. Isso afeta todo e qualquer planejamento e negociação de compras públicas devido ao custo que deve ser pago.(44, 45) Tal situação poderia ser caracterizada como: "Perda da capacidade de administrar compras", que como consequência imediata, expõe o sistema de saúde a uma elevação dos custos acima dos valores mínimos possíveis.(44)

O crescimento do número de ações judiciais, associado ao fato de que as decisões são predominantemente favoráveis aos autores, vem gerando problemas para o sistema de saúde como um todo, já que algumas decisões acabam comprometendo gravemente o orçamento para a saúde. A atuação do Poder Judiciário nesses casos acaba interferindo na política de saúde planejada pelo Poder Executivo, pois escolhas originalmente políticas e de competência dos gestores de saúde acabam sendo tomadas na esfera judicial. Recentemente, as decisões judiciais nas ações para fornecimento de medicamentos também foram estudadas como uma forma de interferência do Poder Judiciário na política de saúde. Entretanto, essa forma de intervenção

judicial é diferente da tradicionalmente estudada. As referidas decisões judiciais indicam um novo formato de judicialização, no qual o Poder Judiciário se sobrepõe ao Poder Executivo na escolha de fornecer este ou aquele medicamento, sob o fundamento de assegurar o direito à saúde.(46)

A decisão pelo fornecimento de medicamentos que são tomadas na esfera judicial também requerem a observação e utilização de critérios por parte do juiz, que, por não ter experiência no tema médico, deve buscar, além dos fundamentos legais aplicáveis ao caso, o uso de critérios que levem em conta a política de medicamentos planejada pelo Ministério da Saúde, protocolos, diretrizes e demais órgãos responsáveis em níveis estadual e municipal, encarregados da seleção de medicamentos, a qual é feita por meio de listas oficiais veiculadas em normas específicas ou programas de assistência farmacêutica.(46).

2.13 História da Judicialização

O fenômeno das demandas judiciais por medicamentos surgiu no início da década de 1990 com os portadores de HIV provocando discussões entre juristas, políticos, e gestores da saúde. O mesmo fenômeno também é encontrado em países como Peru, Argentina, Venezuela e Equador onde as decisões dos tribunais ofertam garantias ao acesso à medicamentos mesmo quando estes não estão explícitos em suas constituições nacionais.(45, 46) Tais demandas judiciais surgiram após a promulgação da Constituição Federal de 1988, a qual elevou o direito à saúde ao patamar de direito fundamental. Como dito anteriormente, no início eram processos pleiteando medicamentos para o tratamento de HIV/AIDS, contudo, após 1999, passaram a surgir novas demandas por outras condições patológicas dominantes.(45, 46)

No Brasil o acesso público aos medicamentos é garantido pela Constituição Federal e pela Lei Orgânica da Saúde (Lei nº 8.080/90), alterada pela lei federal 12.401/11 que dispõe sobre a incorporação de novas tecnologias em saúde no âmbito do SUS e que estão disponíveis por componentes da atenção primária à saúde, de medicamentos estratégicos e especializados da assistência farmacêutica. No entanto, inúmeras ações judiciais têm solicitado medicamentos que fazem parte das listas oficiais de distribuição pública no SUS indicando deficiência no acesso da população a esses medicamentos e também sugerindo falha na disponibilidade desses medicamentos nas unidades de saúde.(45)

2.14 Judicialização da Saúde

Segundo o Juiz Federal Roger Raupp Rios, as demandas judiciais para o fornecimento de medicamentos pelo SUS, têm aumentado nos últimos anos.(47)

Estas demandas judiciais por medicamentos podem ser um reflexo da dificuldade de acesso aos serviços de saúde, aos vazios e desatualização das ações assistenciais.(48)

Este fenômeno multidimensional, surgiu no início da década de 1990, com os portadores do vírus HIV, e que vem se fortalecendo a partir de então. Tal situação tem provocado discussões entre juristas, políticos, profissionais e gestores da saúde. Esse fenômeno vem sendo chamado de judicialização da saúde, que consiste na reclamação por bens e serviços de saúde na justiça, por cidadãos brasileiros. Um dos principais produtos de saúde reivindicados nos tribunais são os medicamentos

Não é caso isolado do Brasil. Ações judiciais em países como Peru, Argentina, Venezuela e Equador também têm levado os tribunais a deferirem a favor das solicitações, garantindo o acesso a medicamentos e a procedimentos terapêuticos, mesmo quando o direito à saúde não está explícito em suas constituições nacionais.

A judicialização da saúde envolve aspectos políticos, sociais, éticos, jurídicos e sanitários, por isso sua compreensão envolve, necessariamente, um olhar multidisciplinar.(45)

Os estudos sobre o fenômeno da judicialização da saúde no Brasil revelam algumas deficiências e insuficiências do sistema de saúde e judicial brasileiro. Trabalhos empíricos apontam, que a demanda judicial brasileira mais recorrente na área da saúde é constituída por pedidos individuais e coletivos de medicamentos. Os pedidos estão assentados numa prescrição médica e numa suposta urgência de se obter o medicamento. A escolha da via judicial para o pedido pode se dar pela ausência ou deficiência da prestação estatal na rede de serviços públicos. Neste sentido, pode-se entender que a judicialização da saúde revela problemas de acesso à saúde e isto pode ser considerado como um recurso legítimo eficaz na redução do distanciamento entre o direito vigente e o direito vivido.(41)

No mesmo contexto, a promulgação das Leis 8.080 e 8.142, ambas de 1990, que dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes, organizando o SUS, deixou de regulamentar adequadamente o princípio constitucional da "integralidade", conceito básico na construção do nosso sistema de saúde. Este fato deixou aos magistrados a quase exclusiva alternativa de remissão ao texto constitucional diante das demandas judiciais por medicamentos. O fundamento maior do SUS elencado no artigo 196 da Constituição Federal - "a saúde é um direito de todos e um dever do Estado", parece estar à deriva de seu significado genérico e conceitual, mas exposto

a uma manipulação de um entendimento adaptável a cada demanda singular, independente de racionalidade técnica que a fundamente.(31)

2.15 O Sistema Único de Saúde - SUS

O SUS foi efetivamente implementado nos primeiros anos da década de 90, após a promulgação das leis federais de saúde (8.080 e 8.142, ambas de 1990) e de várias portarias emitidas pelo MS.(48)

O SUS foi idealizado para garantir a saúde a todos, onde suas ações e serviços seriam descentralizados, com direção única em cada esfera do governo, a fim de assegurar políticas, ações e programas que atendessem às necessidades das populações em condições de desigualdade.(48)

A década de 1990 retratou a passagem de um sistema extremamente centralizado para um cenário em que os gestores municipais e estaduais, tornaram-se fundamentais no campo da saúde. A descentralização foi do tipo político-administrativo, caracterizada não só pela transferência de serviços, mas principalmente pela transferência de poder, responsabilidades e recursos para os estados e municípios.(48)

A política de saúde do SUS teve de atender às necessidades de cada região do país, de acordo com a incidência endêmica, permitindo o acesso de qualidade aos usuários locais, por exemplo: na região norte trabalha-se mais o combate da malária cuja incidência é bem mais acentuada, vacinando a população e tratando os infectados pela enfermidade; no caso da hanseníase, trabalha-se mais nas regiões norte, nordeste e centro-oeste através da forma educativa de prevenção à população sobre essa doença, sua manifestação e sintomas, oferecendo acesso ao tratamento gratuito com o fornecimento de medicamentos; já no combate e prevenção à dengue, seu trabalho atua-se em todo o território nacional.(48)

Entretanto, com pouco mais de 20 anos, o SUS tem enfrentado dificuldades exigindo do poder público grandes investimentos no setor. Uma alternativa encontrada pelo governo federal, na tentativa de satisfazer as expectativas da sociedade e dos indivíduos, foi a criação do "Programa Farmácia Popular do Brasil" em 2004. O programa assegura o acesso a medicamentos essenciais com baixo custo para a população.(48) Já, no caso da PKU, o tratamento, através da fórmula isenta de Phe inserida na lista do pelo Componente Especializado de Assistência Farmacêutica (CEAF), é distribuída gratuitamente pelas Secretarias Estaduais da Saúde.(31)

2.16 A PKU no SUS e no Rio Grande do Sul

Com a criação do PNTN pelo MS do Brasil em 2001, o tratamento com a fórmula isenta de Phe para PKU passou a integrar a lista do Componente de Medicamentos de Dispensação Excepcional (CMDE), atualmente chamado de CEAF e é totalmente financiado pelos Estados. O RS conta com dois centros de referência para acompanhamento dos pacientes com PKU, Hospital de Clínicas de Porto Alegre (HCPA) e Hospital Materno Infantil Presidente Vargas (HMIPV). Atualmente, no RS, 142 pacientes com PKU estão cadastrados no sistema de administração de medicamentos da Secretaria Estadual da Saúde do RS (AME) para o fornecimento da fórmula metabólica. Segundo informações obtidas da SES -RS referentes ao mês setembro de 2013, são utilizadas mensalmente cerca 540 latas de fórmula isenta de Phe, que representam um custo aproximado de R\$ 650.000,00/ano para o Estado.

O Centro de Referência do HCPA conta com uma equipe multidisciplinar, criada em Julho/2007, composta por médicos geneticistas, residentes, nutricionistas, estagiários, enfermeira, psicóloga, farmacêutica e assistente social, que faz reuniões semanais para discussão dos casos a serem atendidos no ambulatório. Quinzenalmente é feita uma reunião com familiares e pacientes, em dia de consulta, a fim de reforçar o processo de aprendizado sobre a doença, a importância da adesão ao tratamento, e de possibilitar a troca de experiências entre famílias e equipe. Trimestralmente, também é feita prática dietética ou cozinha experimental, contando com a participação dos pacientes e familiares na elaboração de receitas e cardápios específicos para PKU. No período anterior à criação do Centro, os pacientes com PKU do Serviço de Genética Médica (SGM)/HCPA eram atendidos em ambulatório específico que contava com a participação de médico geneticista, nutricionista e residente, porém sem a infraestrutura necessária para as atividades de troca de experiência entre as famílias.

3. JUSTIFICATIVA

O Brasil é um, de pelo menos 115 países, que reconhece o direito constitucional à saúde. Porém, nos últimos anos, as demandas judiciais para a obtenção de tratamentos para saúde no âmbito do SUS têm aumentado consideravelmente, especialmente no RS onde, segundo o TJRS, já concentra quase a metade de todas as demandas judiciais desta área no país.⁽⁴⁹⁾ A PKU é a representante mais prevalente do grupo dos EIM que afetam crianças e adolescentes. O presente estudo toma como modelo esta doença genética que, no RS, conta com equipes multidisciplinares atuantes nos dois serviços de referência estaduais que acompanham esses pacientes. Através de relatos prévios à realização do estudo, as equipes perceberam que os pacientes estavam encontrando dificuldades de acesso ao tratamento da PKU, fato considerado inesperado haja vista todas as políticas públicas existentes na área (incluindo o Programa Nacional de Triagem Neonatal e a inclusão da fórmula metabólica na lista de Componentes Especializados de Assistência Farmacêutica do SUS). Considerando que o tratamento da PKU é para toda vida e que a falta de acesso a mesma implica em risco de desenvolvimento de retardo mental - ou de outras complicações neurológicas - torna-se fundamental comprovar se a dificuldade de acesso realmente existe, e, caso positivo, o papel da judicialização na garantia de tal acesso.

4. OBJETIVOS

4.1 Objetivo Principal

Caracterizar o uso da via judicial para a obtenção do tratamento da Fenilcetonúria (PKU) no Rio Grande do Sul (RS)

4.2 Objetivos Secundários

4.2.1 - Estimar a existência de dificuldade de acesso ao tratamento da PKU no RS por meio do número de ações ajuizadas solicitando alguma das formas de tratamento da PKU.

4.2.2 - Verificar o tipo de tratamento da PKU que apresenta maior frequência de busca por meio da via judicial.

4.2.3 - Identificar as razões que levam os pacientes com PKU no RS a escolher a via judicial para o acesso ao seu tratamento.

4.2.4 - Caracterizar o nível socioeconômico dos demandantes, a fim de averiguar a plausibilidade da tese da judicialização das elites.

4.3.5 - Detalhar as justificativas médicas para a prescrição do tratamento da PKU.

4.3.6 - Caracterizar o embasamento das decisões judiciais.

5. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS DA REVISÃO

1. Olsson GM, Montgomery SM, Alm J. Family conditions and dietary control in phenylketonuria. *J Inher Metab Dis*. 2007;30:708-15.
2. Zschocke J, Hoffmann GF. *Vademecum Metabolicum: Manual of Metabolic Paediatrics*. 2nd ed. Friedrichskoog: Schattauer; 2004.
3. Nyhan WL, Barshop BA, Ozand PT. Phenylketonuria. In: Nyhan WL, Barshop BA, Ozand PT, editors. *Atlas of Metabolic Diseases*. 2nd ed. Boca Raton: Taylor & Francis; 2005. p. 127-35.
4. Brazil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - Fenilcetonúria [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://portal.saude.gov.br/portal/arquivos/pdf/pcdt_fenilcetonuria.pdf
5. Travassos DV, Ferreira RC, Vargas AMD, Moura RNVd, Conceição EMdA, Marques DdF, et al. [The judicialization of health care: a case study of three state courts in Brazil]. *Cienc Saude Colet*. 2013;18:3419-29.
6. Barroso LR. Da falta de efetividade à judicialização excessiva: direito à saúde, fornecimento gratuito de medicamentos e parâmetros para a atuação judícia [Internet]. Rio de Janeiro: Procuradoria Geral do Estado do Rio de Janeiro; 2007 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www.ejef.tjmg.jus.br/home/files/publicacoes/artigos/0132009.pdf>
7. Catão MdÓ. *Biodireito - Transplante de Órgãos Humanos e Direitos de Personalidade*. São Paulo: Madras; 2004.
8. Scriver C, Kaufman S. Hyperphenylalaninemia hydroxylase deficiency. In: Scriver C, Beaudet A, Valle D, Sly W, Childs B, Kinzler K, et al., editors. *The Metabolic and Molecular Bases of Inherited Disease*. New York: McGraw-Hill; 2001. p. 1667-724.
9. Martins AM, Frangipani B, Micheletti C, Oliveira R. *Protocolo Brasileiro de Dietas: erros inatos do metabolismo*. São Paulo: Segmento Farma; 2006.
10. Bonafe L, Thony B, Penzien JM, Czarnecki B, Blau N. Mutations in the sepiapterin reductase gene cause a novel tetrahydrobiopterin-dependent monoamine-neurotransmitter deficiency without hyperphenylalaninemia. *Am J Hum Genet*. 2001;69:269-77.
11. Blau N, Bonafe L, Blaskovics ME. Disorders of Phenylalanine and Tetrahydrobiopterin Metabolism. In: Blau N, Duran M, Blaskovics ME, Gibson KM, editors. *Physician's Guide to the Laboratory Diagnosis of Metabolic Diseases*. Berlin, Heidelberg: Springer-Verlag; 2001. p. 89-106.
12. Blau N, Thony B, Cotton R, Hyland K. Disorders of tetrahydrobiopterin and related biogenic amines. In: Scriver C, Beaudet A, Valle D, Sly W, Childs B, Kinzler K, et al., editors.

The Metabolic and Molecular Bases of Inherited Disease. 8th ed. New York: McGraw-Hill; 2001. p. 1725-76.

13. Blau N, Barnes I, Dhondt JL. International database of tetrahydrobiopterin deficiencies. *J Inherit Metab Dis.* 1996;19:8-14.
14. Blau N, Burgard P. Disorders of Phenylalanine and Tetrahydrobiopterin Metabolism. In: Blau N, Hoffmann GF, Leonard J, Clarke JTR, editors. *Physician's Guide to the Treatment and Follow-Up of Metabolic Diseases.* New York: Springer; 2006. p. 25-34.
15. Sanjurjo PC, Vázquez BA. *Diagnóstico y tratamiento de las enfermedades metabólicas hereditarias.* 2nd ed. Madrid: Ergón; 2006.
16. Walter JH, Lachmann RH, Burgard P. Hyperphenylalaninaemia. In: Fernandes J, Saudubray JM, Berghe G, editors. *Inborn Metabolic Diseases: Diagnosis and Treatment.* New York: Springer; 2006.
17. Verkerk PH, van Spronsen FJ, van Houten M, Smit GP, Sengers RC. Predictors of mean phenylalanine levels during the first five years of life in patients with phenylketonuria who were treated early. Dutch National PKU Steering Committee. *Acta Paediatr Suppl.* 1994;407:70-2.
18. Clark BJ. After a positive Guthrie--what next? Dietary management for the child with phenylketonuria. *Eur J Clin Nutr.* 1992;46 Suppl 1:S33-9.
19. Whitehead H, Holmes J, Roberts R, al-Mandhari NA, Greer A, Thom R, et al. Maternal phenylketonuria 1987 to 1993, pregnancy outcome and early infant development: the Northern Ireland experience. *Br J Obstet Gynaecol.* 1996;103:1041-4.
20. Schmidt BJ, Martins AM, Fisberg RV, Müller R, Andrade Adell AC, Subero EM. [Phenylketonuria: clinical and therapeutical aspects]. *Pediatr Dia.* 1987;3:257-60.
21. Karam SdM. *Avaliação epidemiológica da triagem neonatal para fenilcetonúria no Rio Grande do Sul - 1986-2003: um estudo de coorte [thesis].* Porto Alegre: Universidade Federal do Rio Grande do Sul; 2004.
22. Jardim LB, Palma-Dias R, Silva LC, Ashton-Prolla P, Giugliani R. Maternal hyperphenylalaninaemia as a cause of microcephaly and mental retardation. *Acta Paediatrica* 1996 Aug;85(8):943-6.
23. Abadie V, Berthelot J, Feillet F, Maurin N, Mercier A, de Baulny HO, et al. Neonatal screening and long-term follow-up of phenylketonuria: the French database. *Early Hum Dev.* 2001 Dec;65(2):149-58.
24. Vaz-Osório R. Programa Nacional de Diagnóstico Precoce (20 anos de rastreio neonatal). *Arquivos de Medicina.* 1999;13(3):193-68.
25. Elsa L, Acosta P. Suporte nutricional nas doenças metabólicas hereditárias. In: Shils Mea, editor. *Tratado de nutrição moderna na saúde e na doença.* 9th ed. São Paulo 2003. p. 1069-127.

26. Steiner CE, Acosta AX, Guerreiro MM, Marques-de-Faria AP. Genotype and natural history in unrelated individuals with phenylketonuria and autistic behavior. *Arq Neuropsiquiatr.* 2007;65:202-5.
27. Blau N. PKU and BH4: Advances in Phenylketonuria and Tetrahydrobiopterin. Chennai: Scientific Publishing Services; 2006.
28. Campistol J, Lambruschini N, Vilasela MA, Pérez-Duenas B, Fuste ELG. Hiperfenilalaninemia. In: Sanjurjo PC, Vázquez BA, editors. *Diagnóstico y tratamiento de las enfermedades metabólicas hereditarias.* Madrid: Ergón; 2001. p. 195-204.
29. World Health Organization (WHO). Adherence to Long Term Therapies - Evidence for Action [Internet]. Geneva: WHO; 2003 [cited 2011 Nov 22]. Available from: http://www.who.int/chp/knowledge/publications/adherence_report/en/
30. Mira NV, Marquez UM. [Importance of the diagnoses and treatment of phenylketonuria]. *Rev Saude Publica.* 2000;34:86-96.
31. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Da excepcionalidade às linhas de cuidado: o Componente Especializado da Assistência Farmacêutica [Internet]. Brasília: Editora MS; 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/excepcionalidade_linhas_cuidado_ceaf.pdf
32. Trefz FK, Blau N. Potential role of tetrahydrobiopterin in the treatment of maternal phenylketonuria. *Pediatrics.* 2003;112:1566-9.
33. Fiege B, Blau N. Assessment of tetrahydrobiopterin (BH4) responsiveness in phenylketonuria. *J Pediatr.* 2007;150:627-30.
34. Ponzzone A, Ferraris S, Baglieri S, Spada M. Treatment of tetrahydrobiopterin deficiencies. In: Blau N, editor. *Advances in Phenylketonuria and Tetrahydrobiopterin.* Chennai: Scientific Publishing Services; 2006.
35. Matalon R, Michals-Matalon K, Koch R, Grady J, Tying S, Stevens RC. Response of patients with phenylketonuria in the US to tetrahydrobiopterin. *Mol Genet Metab.* 2005;86 Suppl 1:S17-21.
36. Fiege B, Bonafe L, Ballhausen D, Baumgartner M, Thony B, Meili D, et al. Extended tetrahydrobiopterin loading test in the diagnosis of cofactor-responsive phenylketonuria: a pilot study. *Mol Genet Metab.* 2005;86 Suppl 1:S91-5.
37. Perez-Duenas B, Vilaseca MA, Mas A, Lambruschini N, Artuch R, Gomez L, et al. Tetrahydrobiopterin responsiveness in patients with phenylketonuria. *Clin Biochem.* 2004;37:1083-90.

38. Brazil. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Departamento de Atenção Especializada. Programa Nacional de Triagem Neonatal: Oficinas Regionais de Qualificação da Gestão [Internet]. Brasília: Editora MS; 2006 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/06_1031_M1.pdf
39. Brazil. Constituição Federal, Código Penal, Código de Processo Penal. São Paulo: Revista dos Tribunais; 2000.
40. Pinheiro R, Asensi FD. Desafios e estratégias de efetivação do direito à saúde. *Physis*. 2010;20:15-7.
41. Ventura M, Simas L, Pepe VLE, Schramm FR. [Judicialization of the right to health, access to justice and the effectiveness of the right to health]. *Physis*. 2010;20:77-100.
42. Segre M, Ferraz FC. [The health's concept]. *Rev Saude Publica*. 1997;31:538-42.
43. Leivas PGC. Princípios de direito e de justiça na distribuição de recursos escassos. *Rev Bioetica*. 2007;14:9-15.
44. Diniz D, Medeiros M, Schwartz IVD. [Consequences of the judicialization of health policies: the cost of medicines for mucopolysaccharidosis]. *Cad Saude Publica*. 2012;28:479-89.
45. Pandolfo M, Delduque MC, Amaral RG. [Legal and sanitary aspects conditioning access to medicines in Brazilian courts]. *Rev Salud Publica*. 2012;14:340-9.
46. Borges DdCL, Ugá MAD. [Conflicts and impasses in the judicialization of the supply of medicines: circuit court rulings on claims brought against the State of Rio de Janeiro, Brazil, in 2005]. *Cad Saude Publica*. 2010;26:59-69.
47. Rios RR. Direito à saúde, universalidade, integralidade e políticas públicas: princípios e requisitos em demandas judiciais por medicamentos [Internet]. Porto Alegre: Revista de Doutrina da 4ª Região; 2009 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://www.revistadoutrina.trf4.jus.br/index.htm?http://www.revistadoutrina.trf4.jus.br/artigos/dicao031/roger_rios.html
48. Marques NRC. O Direito à Saúde no Brasil - Entre a Norma e o Fato. Porto Alegre: Núria Fabris; 2012.
49. Cavalcanti H, Conselho Nacional de Justiça (CNJ). SP, RS e RJ são estados que mais concentram processos na área de Saúde Brasília: Agência CNJ de Notícias; 2011 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www.cnj.jus.br/noticias/cnj/15675-sp-rs-e-rj-sao-estados-que-mais-concentram-processos-na-area-de-saude>

6. ARTIGO EM INGLÊS

**O PRESENTE ARTIGO SERÁ SUBMETIDO AO
PAN AMERICAN JOURNAL OF PUBLIC HEALTH**

Área de avaliação: Saúde Coletiva
ISSN: 1020-4989
Strato Qualis: B2

**ACCESS TO TREATMENT FOR PHENYLKETONURIA BY JUDICIAL MEANS IN
RIO GRANDE DO SUL, BRAZIL**

Luciano Manguiera Trevisan¹; Tatiele Nalin²; Tassia Tonon³, Lauren Monteiro Veiga⁴,
Paula Vargas^{5,6}, Bárbara Corrêa Krug⁷; Paulo Gilberto Cogo Leivas⁸; Ida V.D. Schwartz^{9,10}

- 1- Bachelor of Law, Post Graduate Program: Medical Sciences - Federal University of Rio Grande do Sul (UFRGS), Porto Alegre - Brazil.
- 2- Dietitian, Master in Medicine: Medical Sciences - UFRGS, Post Graduate Program of Genetics and Molecular Biology - UFRGS, Porto Alegre - Brazil.
- 3- Biomedical researcher, Post Graduate Program in Genetics and Molecular Biology - UFRGS, Porto Alegre - Brazil.
- 4- Academic in Law, Centro Universitário Ritter dos Reis (UNIRITTER), Porto Alegre - Brazil.
- 5- Physician, Master in Pediatric Endocrinology, UNIFESP, São Paulo - Brazil.
- 6- Coordinator of the Brazilian National Neonatal Screening Program of Rio Grande do Sul - Hospital Materno Infantil Presidente Vargas (HMIPV), Porto Alegre - Brazil.
- 7- Pharmacist, Master in Medical Sciences - UFRGS, Porto Alegre - Brazil.
- 8- Doctor in Law - UFRGS: Academic Professor of the Course Master in Law - UNIRITTER. Regional Attorney of the Republic - Federal Prosecutor, Porto Alegre - Brazil.
- 9- Doctor in Sciences: Genetics, Associate Professor of the Department of Genetics, UFRGS, Porto Alegre - Brazil.
- 10- Service of Medical Genetics, Hospital de Clinicas de Porto Alegre - Brazil

Corresponding Author:

Prof. Ida Vanessa D. Schwartz

Rua Ramiro Barcellos, 2350

90035-003 - Porto Alegre - RS, Brazil

idadschwartz@gmail.com

Phone +55 51 33598309

Fax + 55 51 33598010

ABSTRACT

The judicialization of health for obtaining medicines, including those which are on the lists or clinical guidelines developed by the public health system, is considered common in Brazil. Treatment of Phenylketonuria (PKU), a genetic disease detected by the Brazilian National Neonatal Screening Program (Programa Nacional de Triagem Neonatal, PNTN), includes the use of a Phenylalanine (Phe)-free formula (metabolic formula), which should be provided at no cost by the Brazilian public Unified Health System (Sistema Único de Saúde, SUS). The use of the formula allows that patients with PKU maintain plasma Phe in levels considered acceptable and which are associated with the prevention of the development of mental retardation. There are no studies on the use of judicial means for access to treatment of PKU in this country.

Objective: To characterize the use of the judicial means to obtain treatment for PKU in the State of Rio Grande do Sul (RS), Brazil. **Methodology:** A retrospective, observational study, based on analysis of judicial lawsuits. To be included in the study, the lawsuits must have initiated between 2001 and 2010, having as beneficiaries individuals with PKU requesting some form of treatment for this disease. Data corresponding to the period between filing the lawsuit and court ruling were analyzed. **Results:** During the period analyzed, 20 cases that met the inclusion criteria, were filed, a percentage corresponding to 16.8% of the patients with PKU in RS, but only 19 of these were fully obtained for analysis. Among these, only two were aimed at obtaining therapies different from the metabolic formula. In 17/17 cases it was reported that there had been prior request of the treatment granted by the Department of Health of the State of RS. Figured as defendants the State of RS (n=19), the Union (n=1), and municipalities (n=4). In all cases applications for advance relief were granted. Court ruling occurred in 18/19 cases, obliging that the defendants provide the required inputs. Data indicate the violation of the right to health and the interruption of treatment supplied by the State as the main reasons for the use of the judicial process. **Discussion/Conclusions:** Our data suggest that patients with PKU face difficulties in accessing their treatment in RS, Brazil. Contrary to what happens with other genetic diseases, in this case the search for judicial means to obtain a product that is already included in the national pharmaceutical assistance policy, a finding that suggests that management failures are one of the factors triggering judicialization in the country .

INTRODUCTION

Brazil has a Unified public Health System (Sistema Único de Saúde, SUS) that is universal and free, and attends the Brazilian population. The SUS program of pharmaceutical care provides that a certain group of medications (medications that are "listed") is made available by the government for free. More than 500 drugs and inputs are currently listed, including those considered essential by the WHO (e.g. furosemide and prednisone), the strategic ones (e.g. thalidomide and zidovudine), the specialized (such as olanzapine and infliximab), as well as inputs and medicines for hospital use. (1) However, a frequent phenomenon in Brazil are the lawsuits to obtain the drugs. (2) In the case of the so-called "rare diseases", such lawsuits, according to the literature, relate mainly to new technologies. (3-6)

This article uses as a study model the rare genetic disorder phenylketonuria (PKU), which has an incidence of 1:12,000-16,000 in southern Brazil. (7, 8) PKU is caused by deficient activity of the hepatic enzyme phenylalanine hydroxylase (PAH), which catalyzes the conversion of the amino acid phenylalanine (Phe) into tyrosine that has an important role in the production of the neurotransmitters dopamine and norepinephrine (9). As a result, untreated patients have elevated plasma concentrations of Phe, which are toxic to the central nervous system and can cause, among others, mental retardation and seizures. (10) PKU was the first inborn error of metabolism treated successfully in Bickel's pioneer study in 1953. (11) The treatment of PKU includes administration, throughout the patient's lifetime, of specific metabolic formulas, free of Phe, but rich in essential amino acids, and the ingestion of a diet with low levels of Phe, both on an individual basis, adjusted according to individual tolerance of each patient and the targeted levels of Phe for each age group. In Brazil, metabolic formulas for PKU are part of the list of drugs included in the Specialized Pharmaceutical Program (Componente Especializado de Assistência Farmacêutica, CEAF) and are provided free of charge by following the criteria established by the Brazilian Clinical Protocol and Therapeutic Guidelines for PKU (CPTG). (8) Other treatment strategies that can be used to control levels of Phe are the use of special foods (for example, dough made from flour which contains a low amount of Phe), use of branched long-chain amino acids (which compete with Phe, preventing its absorption and entry into the CNS) and BH₄, a cofactor of the enzyme; (12-15) however, SUS does not cover the supply of any of these other strategies. The diagnosis of PKU is done by measuring the concentration of Phe in biological material (total blood or dried blood spot sample), ideally through Neonatal Screening because early treatment, performed regularly without interruptions, prevents the development of mental retardation and other neurological complications. (16, 17) In relation to PKU, studies reporting the occurrence of court orders for access to the various treatment strategies available do not exist in Brazil. Our hypothesis is that there is difficulty in

accessing these treatments in the country due to some fault in the execution of the existing public policies.

METHODS

This is a retrospective observational study approved by the local Research Ethics Committees, aimed to characterize the use of the courts to obtain treatment for PKU in the State of Rio Grande do Sul (RS), Brazil. To do so, we identified and analyzed the lawsuits filed between 2001 and 2010, in which the beneficiaries were patients with PKU who sought some form of treatment for this disease. The period 2001 to 2010 was chosen as an attempt to standardize the data, since, in 2001, the Brazilian National Neonatal Screening Program was established, which includes the diagnosis of PKU, and in 2002, the first CTPG for this disease was published (18), and was updated in 2010. (8) For each lawsuit identified, variables of the period corresponding to filing the lawsuit and court ruling were analyzed.

RS, the southernmost State in Brazil, has 11,164,043 inhabitants, a birth rate of 11.6 per thousand inhabitants, and GDP per capita of R\$ 23,606.00. (19) At the beginning of the data collection (2011), there were 119 known PKU patients in the State, 62 were treated at Hospital de Clinicas de Porto Alegre (HCPA) and 57 in Hospital Materno-Infantil Presidente Vargas (HMIPV), public hospitals in the capital city of Porto Alegre. Among these patients, 114 had indication for the use of the Phe-free formula (e.g., they had Phe levels at diagnosis ≥ 6 mg/dL; patients who have Phe levels at diagnosis between 2 and 6 mg/dL have hyperphenylalaninemia but do not require treatment), being that 20/114 (17.5%) had access to the formula by means of judicial litigation. In RS, a patient diagnosed with PKU, to administratively request treatment, must go to the Municipal Health Department of the city with the prescription. This request is technically evaluated by a healthcare professional designated by the State and, when appropriate, the procedure is authorized for subsequent dispensation. Upon receiving the approval, the medication is dispensed to the patient usually on a monthly basis, within the municipality, and the request must, therefore, be reevaluated on a quarterly basis.

The initial data about the 20 lawsuits (including lawsuit number, procedural framework, etc.) were obtained from electronic databases consulting the State Justice and Federal Justice. (28, 29) After this step, authors got in touch by email/telephone/in person with registrars of the counties involved and also the subsections of the Brazilian Bar Association (Ordem dos Advogados do Brasil, OAB) in each municipality, and requested whole copies of the legal proceedings. With this strategy, copies of 11 cases were obtained. The remaining nine cases were not obtained due to the refusal or delay in meeting the requests for copies by notaries of the counties (n=3) or because of the process involved children or adolescents (n=6). An official

letter was then delivered to the Internal Affairs of the Court of Justice of RS requesting access to such legal cases for research purposes, a strategy that resulted in obtaining copies of 8 more lawsuits (one case requisition was overruled). Thus, the study sample includes 19 cases, all updated until the end of 2011.

Two specific forms had been prepared by the authors to collect data from the review of the proceedings and are available for examination upon request to the authors. The process of creating the forms was described by Leivas and Schwartz, 2012. (20)

Form 1, was more extensive, including information about the processing of lawsuits and on the arguments of the lawyers or plaintiffs for the benefit of the filing, defense, injunctions, block on government accounts, judgments, and appeals. The arguments were classified into legal, empirical (medical/of research/economic), and related to administrative problems. For example, legal arguments included reference to children's rights and rights to health; medical arguments, included references on evidence-based medicine (scientific papers, clinical reports, and clinical Guidelines related to PKU); economic arguments included the mention of the aspects of cost-effectiveness, scarce resources, lack of budget estimate, and impact on the public budget; and arguments related to administrative problems included references to difficulties that the State of RS faces in stock control of the PKU metabolic formula and difficulties with procurement processes.

The second form allowed examining questions about the plaintiffs and defendants such as: profile of the beneficiary of the lawsuit, source of prescription and its justifications, type and form of request for the drug. The prescriptions were considered adequate when they were in agreement with the CPTG for PKU published in 2002 (18). In order to correctly evaluate the prescriptions, the knowledge of the age and weight of the patients and their current plasma Phe concentrations was necessary.

Data collection was done by two law professionals (Forms 1 and 2) and by a health professional (Form 2), who subsequently met to reach a consensus instrument for each lawsuit, and whose data were entered into a database and analyzed in relation to the means and frequencies. The variables in which information was available, at least 70% of the sample, were analyzed.

RESULTS

Considering the 19 lawsuits included in the study, the average number of days which elapsed between the date of onset until 12/31/2011 was 2,117 days (about 6 years), and the first lawsuit was proposed on 01/05/2001 and the last on 08/20/2010. The average number of days that elapsed between the date of filing and ruling of the lawsuit was 648 days (about 1 year and a

half). In 17 cases there was description of prior administrative approval of request for PKU treatment, in two other cases this information was not available. All cases analyzed showed documentation confirming the disease (prescriptions, medical reports or statements).

Table 1 contains data on the profile of the beneficiaries of the lawsuits and the defendants, as well as on the claims made in the initial petitions. The data on the requirements are shown in Table 2. According to medical reports attached to the lawsuits, the most common justification for medical prescription was the risk of developing neurological problems associated with the non-treatment of PKU.

Figure 1 details the reasons most frequently alleged by the plaintiffs in the initial application.

Table 3 shows that all requests for advance relief were granted. Regarding the way in which orders were fulfilled, in all cases the judge determined that the defendant acquired the necessary inputs for the treatment of the applicants, and in one lawsuit the defendant could also provide cash value of treatment to the applicant for the purchase of the inputs. The data in Table 4, detail the grounds of ruling of the lawsuits.

There was contesting in 18/19 lawsuits, being 15/18 only by the State of RS, 2/18 by the State of RS and municipality, and 1/18 by the Union and State.

In relation to the arguments used by the defense, in 12/18 cases the defendant used approaches related to the medical aspects, the most common being: discussion on the request for replacement of the formula provided in concentrations different from those administratively deferred (n= 6/12), the need of presentation of medical reports stating the patient requires treatment (n=1/12), claim that the treatment does not appear in the SUS list of free supplies (claim filed prior to CTPG 2002) (n=1/12), and no updated reports (n=8/12). In 5 cases (n=5/18), the defendants argued economic aspects such as lack of budgetary provision for the acquisition of required treatment and also scarce resources (n=1/5), impact on the public budget (n=2/5), impact on the public budget, scarce resources, and the principle of reserve for contingencies (n=1/5), and in one case (n=1/5) claimed scarce resources to comply with the decision. In 3/18 cases defendants cited administrative problems related to difficulties with stock control and delay in procurement processes as reasons for the non-availability of the formula. As for the data of the legal and constitutional aspects extracted from the disputes (Figure 2), the most frequent discussions and complaints were regarding: the fundamental right to health (n=6/10), the principle of reserve for contingencies (n=4/10), and the illegitimacy of the public prosecutors for filing the lawsuit (n=4/10).

In 13 cases (n=13/19) the bank accounts of the State of RS were blocked. The total sum of these blockings was R\$ 228,112.39 (range= R\$ 1,831.32 to R\$ 52,313.38). On average 2

account blockings occurred in each process of which 7 cases had 2 blockings and account values of one process were blocked 6 times.

DISCUSSION

Despite the large number of policies and public lawsuits of existing pharmaceutical assistance programs in Brazil, the drug supply in SUS through the use of the courts has provoked discussions towards carrying out the Right to Health. This is a phenomenon in the Brazilian scenario, where lawsuits for access to medicines in SUS are brought before the Federal court and State Courts, becoming a faster and more effective alternative for both access to new technologies in health and access to medicines supplied free of charge by the SUS. (21-23)

According to previous research conducted by our group, and taking as model the genetic diseases Mucopolysaccharidoses and Fabry Disease, the main cause for judicialization in the field of rare diseases in Brazil is the search for access to technologies not yet incorporated into SUS. (4-6)

In the cases studied, most recipients previously requested and were granted with the treatment by extra-judicial form (administrative means), in compliance with the criteria established by CPTG for PKU. (8) A priori, resort to the judiciary to get access to the PKU formula seems to be contradictory, but the data we obtained indicate that the interruption in the supply of the formula, the violation of the fundamental right to health and the economic conditions of the families for the purchase of treatments are the key factors that led PKU patients in RS to join the pursuit of justice for access to treatment of their disease.

Analysis of the settings of the defendants in the lawsuits revealed that the State of RS figured as defendant in all lawsuits assessed. This fact was already expected by the authors, since the patients had previously been granted access by administrative lawsuits through SUS.

The small quantity of information contained in the lawsuits did not allow us to deeply characterize the profile of the beneficiaries of the lawsuits. Unfortunately, data on income, occupation, and education are available only in few cases. Other data indicated that the sample studied belongs mostly to the pediatric age group. The prevalence of male subjects must have been by chance as it is an autosomal recessive disease and prevalence between different genders is not expected.

Recently, empirical studies about the judicialization of health has sought to characterize the argument that the judicialization of health is taken up by economic elites which goes against the constitutional principles of SUS, such as equity. The upholding of this complex theory depends on specific methodology that is able to obtain evidence contributing to the characterization of the problem, which till now is still insufficient. (24) In our study, there are

several indications that contradict the thesis of the elites. The study characterized the Public Defender (PD) and the Public Ministry (PM) as the main agents, proponents of the lawsuits. Moreover, few lawsuits have been proposed by private lawyers. Data such as family income and occupation were not available in statistically significant quantities in the lawsuits analyzed that could guide the team to a proper interpretation. All prescriptions originated in public university hospitals, which is also not a good indicator of social class, as these sites house referral services in customer service, research, and technology in the field of genetics, as well as equitable and universal access to the SUS. So it is not possible to say whether the judicialization of PKU in RS is taken on by economic elites or has correlation with socio-economic level.

The request of the formula for PKU was made in almost all lawsuits, being that in one case there was no request for the formula but for special foods. The judicial application of special foods for the treatment of PKU may be related to the fact that patients or their families do not have sufficient income or access to special foods that, in the case of PKU, are imported and expensive. However, cultural issues and the difficulty of families to live daily with a chronic disease that may not be socially acceptable, might be associated with poor adherence to a diet based on these special foods, prioritizing the use of judicial means to obtain the metabolic formula. In general, patients seek the courts requesting medicines, but we should remember that, for the treatment of PKU, as important as the access to the PKU formula, is the access to a diet with controlled plasma Phe levels and a combined administration of these forms of treatment make it possible that the PKU patient, reaches acceptable Phe concentrations.

As to prescriptions, most beneficiaries of the lawsuits already had prior administrative application accepted by the State Department of Health (SES-RS) to receive the metabolic formula suggesting the existence of a proper prescription for each patient. However, according to the study methodology, analysis of data on the prescription for PKU metabolic formula did not allow us to affirm, in most cases studied, if the quantity requested or the prescription of the metabolic formula were appropriate. The information on the concentrations of Phe in relation to the moment of diagnosis and currently, and data on the patient's weight, which are needed to calculate the dose to be administered, as well as the definition of the type of formula being prescribed were usually missing.

The presence of the Public Prosecutor as procedural substitute of the beneficiary was being challenged by the defendants generating extensive discussions about the legitimacy of the prosecution in litigating through civil lawsuits of individual interests. The role of the Public Prosecutor to take upon himself the role of guarantor of the unavailable individual interests related to health issues, as well as protection of the Statute for Children and Adolescents, which is pacified in jurisprudence of the Supreme Court. (STJ) (24)

As expected, the most frequent “economic” arguments of the defense were related to the lack of provision in the budget for the implementation of judicial decisions, the impact of these decisions on the public budget, and the violation of constitutional principles such as the principle of reserve for contingencies. The right to health was also discussed in the arguments of the dissent, but only for the recognition, by the State, of its responsibility to provide adequate pharmaceutical services to citizens. In some lawsuits, the State of RS admitted its own management problems and difficulties in controlling the stocks of PKU formula due to delay in procurement processes. These facts strongly indicate a possible reason for the interruption in the supply of the PKU formula by the State of RS, motivating these adversely affected patients to seek by means of court access to the formula.

Another fact that deserves attention is related to medical and research arguments presented by the State in legal defenses. In defense strategies, the State aimed in the discussion of applications for replacement of treatment with PKU formula at concentrations diverse from those deferred administratively by the State of RS, requesting that the patient presented evidence proving the need of treatment through reports; requested updated reports and also claimed that the drug was not included in any list of mandatory provision by the State. Importantly, the beneficiaries of the lawsuits already had administrative procedures previously approved and, as stated earlier, the treatment of PKU is lifelong through a specific metabolic formula, which in Brazil is part of CEAF and is freely distributed by the State of RS according to the criteria of CPTG in SUS. The State demonstrated lack of technical knowledge about PKU and its own policies, perhaps because of miscommunication between the various sectors involved.

The analysis of advance relief is of utmost importance for understanding the phenomenon of judicialization of medicines in Brazil. In the cases examined, all beneficiaries had their applications for advance relief granted. As a general rule, the granting of injunctions was based on the facts alleged in the medical reports and the precepts of the right to health. No injunction mentioned the presence of CPTG for PKU, highlighting the findings in other studies on judicialization of health, where judges have given favorable ruling in the supply of medicines without compliance to actual SUS policies in pharmaceutical care. (26)

It is also important to realize that granting the injunctions requires that the State of RS provides the PKU formula in the form requested in the initial petitions made by the beneficiaries, i.e., the quantities and type of formula prescribed and requested. Failure to observe these decisions generated determinations of blocking values in the accounts of RS. In analysis, the authors identified, within the time frame of the study, the blocking of accounts deferred in most cases. On one hand, decisions of blocking values in government accounts assure immediate compliance of judicial orders for applicants, but these same decisions may represent a negative

effect on the performance of the State, since it precludes that the State of RS exercises its flexibility on negotiating or power of bargaining through procurement processes that meet budget planning. This may expose the health care system to a rise in costs for emergency purchases without procurement processes. (5, 27)

At the end of the analysis, almost all the lawsuits had been ruled with upheld decisions, confirming access to the formula and guarantee of the individual right to health of each applicant previously signaled by the granting of injunctions. The aspects that underlie the rulings also followed the injunctions, i.e., approaches were made for the medical reports and the right to health.

CONCLUSIONS

The judicialization of medicines in Brazil is a frequent phenomenon that deserves attention of the authorities. The use of the judicial process seems to offer safety to patients, ensuring access to treatment claimed by decisions that may end up forcing health systems to shoulder the high costs of emergency purchases.

In the case of judicialization of PKU in RS, our data revealed that the interruption in the supply of the formula for PKU is the main cause of judicialization, suggesting problems in the management of pharmaceutical services in the State, and that the right to health is the main legal foundation for favorable granting to the patient/plaintiff decisions. Regarding rare diseases, therefore, not always is the request for access to non-incorporated technologies in SUS the leading cause of judicialization.

Acknowledgement: This work received funding from research agencies of Rio Grande do Sul (FAPERGS) and Brazil (CNPq and CAPES). The authors thank Prof. Dr. Paulo Dornelles Picon, Dailor Sartori Junior, Tatiane Alves Vieira, and Nilson Fell for their valuable collaboration in the study.

REFERENCES

1. Brazil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME [Internet]. Brasília: Editora MS; 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/renome_2010.pdf
2. Biehl J, Amon JJ, Socal MP, Petryna A. Between the court and the clinic: lawsuits for medicines and the right to health in Brazil. *Health Hum Rights*. 2012;14:E36-52.
3. Travassos DV, Ferreira RC, Vargas AMD, Moura RNVd, Conceição EMdA, Marques DdF, et al. [The judicialization of health care: a case study of three state courts in Brazil]. *Cienc Saude Colet*. 2013;18:3419-29.
4. Sartori Jr D, Leivas PGC, Souza MVd, Krug BC, Balbinotto G, Schwartz IVD. [Court-ordered access to treatment of rare genetic diseases: Fabry Disease in the state of Rio Grande do Sul, Brazil]. *Cienc Saude Colet*. 2012;17:2717-28.
5. Diniz D, Medeiros M, Schwartz IVD. [Consequences of the judicialization of health policies: the cost of medicines for mucopolysaccharidosis]. *Cad Saude Publica*. 2012;28:479-89.
6. Boy R, Schwartz IV, Krug BC, Santana-da-Silva LC, Steiner CE, Acosta AX, et al. Ethical issues related to the access to orphan drugs in Brazil: the case of mucopolysaccharidosis type I. *J Med Ethics*. 2011;37:233-9.
7. Jardim LB, Palma-Dias R, Silva LC, Ashton-Prolla P, Giugliani R. Maternal hyperphenylalaninaemia as a cause of microcephaly and mental retardation. *Acta Paediatr*. 1996;85:943-6.
8. Brazil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - Fenilcetonúria [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://portal.saude.gov.br/portal/arquivos/pdf/pcdt_fenilcetonuria.pdf
9. Olsson GM, Montgomery SM, Alm J. Family conditions and dietary control in phenylketonuria. *J Inher Metab Dis*. 2007;30:708-15.
10. Mitchell JJ, Trakadis YJ, Scriver CR. Phenylalanine hydroxylase deficiency. *Genet Med*. 2011;13:697-707.
11. Zschocke J, Hoffmann GF. *Vademecum Metabolicum: Manual of Metabolic Paediatrics*. 2nd ed. Friedrichskoog: Schattauer; 2004.
12. Blau N. PKU and BH4: Advances in Phenylketonuria and Tetrahydrobiopterin. Chennai: Scientific Publishing Services; 2006.
13. Trefz FK, Blau N. Potential role of tetrahydrobiopterin in the treatment of maternal phenylketonuria. *Pediatrics*. 2003;112:1566-9.

14. Perez-Duenas B, Vilaseca MA, Mas A, Lambruschini N, Artuch R, Gomez L, et al. Tetrahydrobiopterin responsiveness in patients with phenylketonuria. *Clin Biochem.* 2004;37:1083-90.
15. Karam SdM. Avaliação epidemiológica da triagem neonatal para fenilcetonúria no Rio Grande do Sul - 1986-2003: um estudo de coorte [thesis]. Porto Alegre: Universidade Federal do Rio Grande do Sul; 2004.
16. Brazil. Ministério da Saúde. Secretaria de Assistência à Saúde. Coordenação-Geral de Atenção Especializada. Manual de Normas Técnicas e Rotinas Operacionais do Programa Nacional de Triagem Neonatal [Internet]. Brasília: Editora MS; 2001 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/triagem_neonatal.pdf
17. Souza CFMd, Schwartz IV, Giugliani R. [Neonatal screening of metabolic disorders] *Cienc Saude Colet.* 2002;7:129-37.
18. Brazil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas – Fenilcetonúria [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2002 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://dtr2001.saude.gov.br/sas/dsra/protocolos/do_f20_01.pdf
19. Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística (IBGE). Censo Demográfico - Rio Grande do Sul [Internet]. 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www.ibge.gov.br/estadosat/perfil.php?sigla=rs>
20. Leivas PGC, Schwartz IVD. A construção do instrumento de avaliação de processos judiciais em pesquisas interdisciplinares sobre as causas da “judicialização da saúde”. VIII SEPesq – Semana de Pesquisa, Pós-graduação e Extensão do Centro Universitário Ritter dos Reis; Porto Alegre: Ritter dos Reis; 2012.
21. Rios RR. Direito à saúde, universalidade, integralidade e políticas públicas: princípios e requisitos em demandas judiciais por medicamentos [Internet]. Porto Alegre: Revista de Doutrina da 4ª Região; 2009 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://www.revistadoutrina.trf4.jus.br/index.htm?http://www.revistadoutrina.trf4.jus.br/artigos/dicao031/roger_rios.html
22. Pepe VLE, Ventura M, Sant'ana JMB, Figueiredo TA, Souza VdRd, Simas L, et al. [Characterization of lawsuits for the supply of "essential" medicines in the State of Rio de Janeiro, Brazil]. *Cad Saude Publica.* 2010;26:461-71.
23. Biehl J, Petryna A, Gertner A, Amon JJ, Picon PD. Judicialisation of the right to health in Brazil. *Lancet.* 2009;373:2182-4.
24. Brazil. Superior Tribunal de Justiça. STJ - Recurso Especial 716.512 - RS (2005/0004911-6) [Internet]. Brasília: Superior Tribunal de Justiça; 2005 [cited 2013 Dec 05].

Available from: <http://stj.jusbrasil.com.br/jurisprudencia/7185655/recurso-especial-resp-716512-rs-2005-0004911-6/inteiro-teor-12923833>

25. Chieffi AL, Barata RB. ["Judicialization" of public health policy for distribution of medicines]. *Cad Saude Publica*. 2009;25:1839-49.
26. Pandolfo M, Delduque MC, Amaral RG. [Legal and sanitary aspects conditioning access to medicines in Brazilian courts]. *Rev Salud Publica*. 2012;14:340-9.
27. Diniz D, Medeiros M, Schwartz IVD [The thesis of judicialization of health care by the elites: medication for mucopolysaccharidosis]. *Cad Saúde Pública*. 2013;1079-1088.
28. Tribunal de Justiça do Estado do Rio Grande do Sul (TJRS). Acompanhamento Processual [Internet]. 2011 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www.tjrs.jus.br/site/>
29. Tribunal Regional Federal da 4ª Região (TRF). Consulta Processual - Rio Grande do Sul [Internet]. 2011 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www2.trf4.jus.br/trf4/>

TABLES

Table 1: Access to treatment of Phenylketonuria by judicial means in Rio Grande do Sul, Brazil: characterization of the sample (n = 19 lawsuits)

Variables	n
<i>Data about patients</i>	
Gender (M:F)	12:7
Age	
0 – 2 years	4
3 – 11 years	12
12 – 18 years	1
≥ 19 years	1
NI	1
<i>Data about the lawsuits</i>	
Defendant	
State of Rio Grande do Sul	14
State of Rio Grande do Sul + Municipality	4
Union + State of Rio Grande do Sul	1
Author/Plaintiff	
Public Defender	8 (42.1)
Public Ministry	7 (36.8)
Private Attorney	4 (21.1)
Request for Phenylketonuria formula	
Yes	18 (94.7)
No*	1 (5.3)
Request for special foods and/or drugs	
Yes**	2 (10.5)
No	17 (89.5)

*Request only for special foods for PKU; **One patient requested metabolic formula and anticonvulsant medication. The other patient requested milk formula for the first year of life and PKU formula.

NI: information not included in the process

Table 2: Access to treatment of Phenylketonuria by judicial means in Rio Grande do Sul, Brazil: summary of clinical information available in lawsuits (n= 19 cases)

Variables	n
Medical prescription attached to the lawsuit	18/19
Medical report attached to the lawsuit	14/19
Treatment prescribed	
Formula for Phenylketonuria	17/18
Special foods*	1/18
Others**	4/18
Patient's weight informed in lawsuit	
Yes	3/19
No	16/19
Adequate medical prescription	
Yes	3/18
Not possible to affirm	15/18

* pasta and flour with low concentrations of Phenylalanine; ** 3 lawsuits with prescription of milk formula for first year of life and the formula for Phenylketonuria; 1 lawsuit with prescribed anticonvulsant medication and formula for Phenylketonuria.

Table 3: Access to treatment of phenylketonuria by judicial means in Rio Grande do Sul, Brazil: data on early relief (n = 19)

Variables	n
Way to comply with the decision set by Judge	
Obligation to provide drugs	18
Obligation to provide the medication and/or provide financial resources for the patient to buy the treatment	1
Periodicity of provision of the formula set by the judge	
Monthly (amount for the month)	18
Semesterly (amount for the semester)	1
<i>Arguments used in ruling*:</i>	
Related to medical aspects and to research	
Existence of medical reports	12
Existence of evidence**	7
Risk of death/serious harm to life associated to non-treatment	1
Risk of developing mental retardation associated with non-treatment	1
Related to legal and constitutional aspects	
Violation of the right to health	12
Violation of children's rights	6
Violation of the principle of human dignity	1
Violation of the principle of priority	1
Related to economical aspects***	0
Related to administrative problems****	0

* more than one argument may have been cited in the ruling; **references to scientific articles, medical reports and clinical protocols related to Phenylketonuria were considered as evidence; *** references to cost-effectiveness of treatment requested, of scarce resources for the acquisition of inputs, lack of budgetary provision for the purchase of inputs for treatment and the impact on the public budget were considered as economic aspects; **** references to difficulties that the State of RS faces in stock control of the metabolic formula for Phenylketonuria and difficulties with procurement processes were considered aspects of management.

Table 4: Access to treatment of Phenylketonuria by judicial means in Rio Grande do Sul, Brazil: Data on the ruling (n=18)

Variable	n
Time elapsed between filing the lawsuit and the ruling	
< 6 months	5
6 months to 1 year	3
1 to 2 years	6
>2 years	4
Ruling	
Upheld*	17
Partially upheld**	1
Denied*	1
<i>Arguments used in the ruling***</i>	
Related to medical aspects and to research	
Existence of medical reports	13
Existence of evidence [#]	9
Existence of medicine/substitute treatment	1
Related to legal and constitutional aspects	
Violation of the right to health	15
Violation of children's rights	6
Violation of the principle of human dignity	4
Reserve for contingencies/Principle of proportionality	1
Discretion of the public administration/Principle of separation of powers	1
Violation of the principle of equality	1
Illegitimacy	1
Others ^{##}	3
Related to administrative problems ^{###}	0

* in a lawsuit the ruling was upheld against the State of RS and dismissed against the County, withdrawing it from the responsibility of providing the metabolic formula of Phenylketonuria; ** in this case the ruling determined the supply of 3 cans of metabolic formula for Phenylketonuria and the request was for 4 cans; *** more than one argument may have been cited in the ruling; # references to scientific articles, medical reports, and clinical guidelines related to Phenylketonuria were considered as evidence; ## a lawsuit discussed the legitimacy of prosecutors to plead individual rights, the other addressed the absence of weathered claim by the State of RS, and the third discussed the right to life. ### aspects of management, stock control difficulties of the metabolic formula for Phenylketonuria that the State of RS faces, and difficulties with procurement processes were considered.

FIGURES

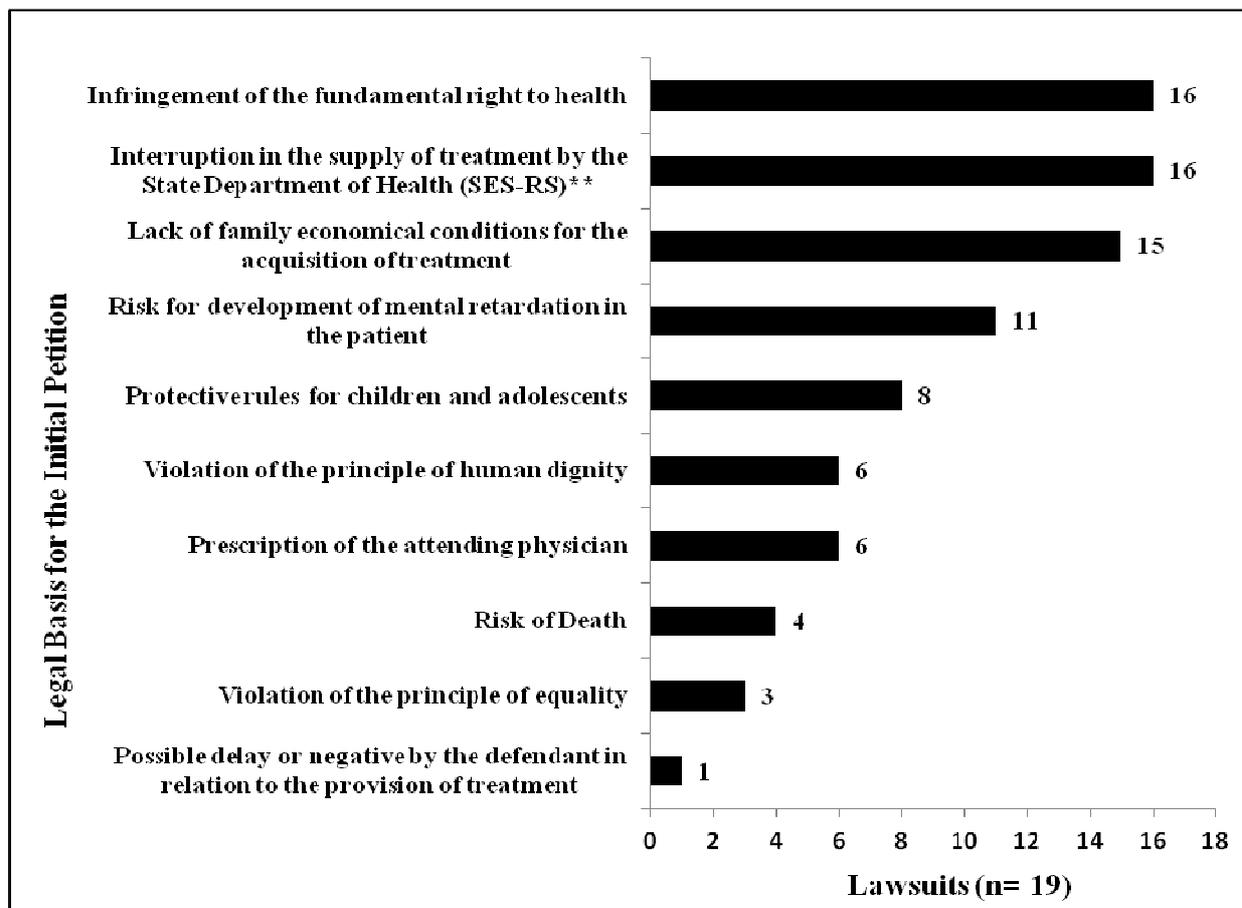


Figure 1: Access to treatment of Phenylketonuria by judicial means in Rio Grande do Sul, Brazil: Legal Basis for the Initial Petition

* Medical and research aspects, economic, legal, and constitutional issues that figured most frequently during the analysis of the initial petitions are present in the arguments;

** State Department of Health of Rio Grande do Sul, Brazil (Secretaria Estadual de Saúde, SES-RS).

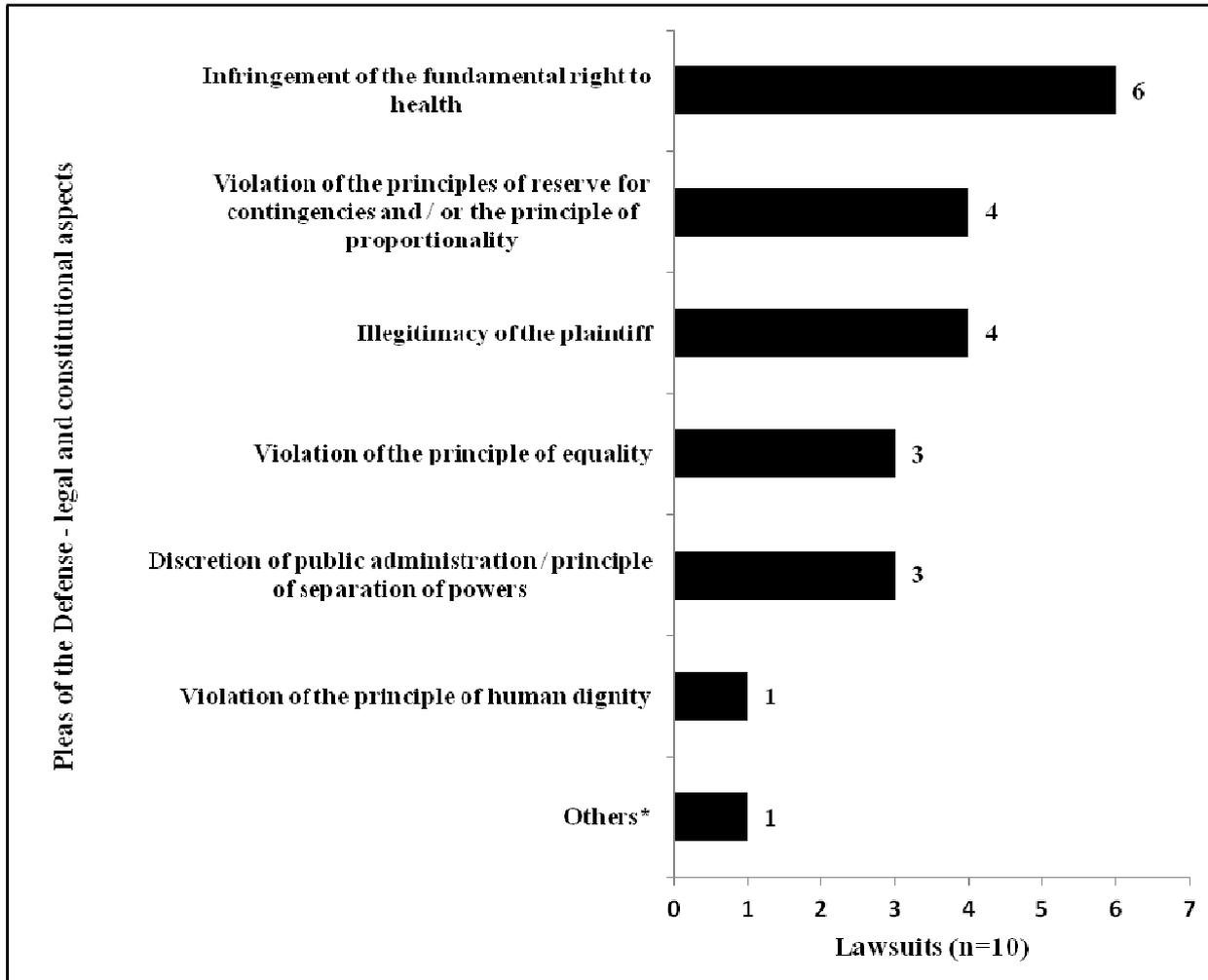


Figure 2: Access to treatment of Phenylketonuria by judicial means in Rio Grande do Sul, Brazil: Pleas of the Defense - legal and constitutional aspects

* claims absence of procedural interest on the part of the plaintiff.

7. CONCLUSÕES

OBJETIVO ESPECÍFICO 1 – Estimar a existência de dificuldade de acesso ao tratamento da PKU no RS por meio do número de ações ajuizadas solicitando alguma das formas de tratamento da PKU.

Conclusões: As análises mostraram que 20 pacientes ou aproximadamente 18% do total de pacientes em tratamento com a fórmula metabólica no RS, utilizaram a via judicial para que o fornecimento da fórmula metabólica fosse restabelecido, sugerindo a existência de problemas relacionados à gestão da SES – RS e que podem estar contribuindo para as dificuldades de acesso ao tratamento da PKU.

OBJETIVO ESPECÍFICO 2 – Verificar o tipo de tratamento da PKU que apresenta maior frequência de busca por meio da via judicial.

Conclusões: A fórmula metabólica foi o tratamento solicitado com maior frequência nos processos analisados.

OBJETIVO ESPECÍFICO 3 – Identificar as razões que levam os pacientes com PKU no RS a escolher a via judicial para o acesso ao seu tratamento.

Conclusões: As análises feitas pela nossa equipe identificou que o principal fator motivador para a judicialização da PKU no RS foi a interrupção do fornecimento da fórmula metabólica pela SES – RS, violando o direito à saúde.

OBJETIVO ESPECÍFICO 4 – Caracterizar o nível socioeconômico dos demandantes, a fim de averiguar a plausibilidade da tese da judicialização das elites.

Conclusões: Não foi possível caracterizar o nível socioeconômico dos demandantes, pois dados como renda familiar, profissão entre outros, não estavam disponíveis nos processos em quantidades estatisticamente relevantes. Portanto, não se pode afirmar que a judicialização no RS ocorra pelas elites.

OBJETIVO ESPECÍFICO 5 – Detalhar as justificativas médicas para a prescrição do tratamento da PKU.

Conclusões: As justificativas médicas mais frequentes para a prescrição da fórmula metabólica foram o risco de desenvolvimento de retardo mental no paciente, risco de convulsões, hiperatividade, irritabilidade e agitação.

OBJETIVO ESPECÍFICO 6 – Caracterizar o embasamento das decisões judiciais.

Conclusões: As fundamentações das decisões judiciais mais frequentes foram sobre aspectos médicos, legais ou constitucionais, sendo que os laudos médicos e a violação do direito à saúde representaram os principais embasamentos das decisões. Algumas decisões embasaram-se também no Estatuto da Criança e do Adolescente (ECA), além é claro, dos aspectos médicos, legais ou constitucionais.

8. CONSIDERAÇÕES FINAIS E PERSPECTIVAS

Baseado na análise de processos judiciais de indivíduos com PKU, o estudo mostrou, durante a fase de obtenção das cópias dos processos, uma falta de adoção de critérios e procedimentos administrativos por parte dos cartórios dos tribunais em relação ao atendimento dos pedidos de extração de cópia dos processos, ainda que a finalidade seja para fins científicos e devidamente aprovado por comitês de ética de instituições de ensino e de pesquisa. Muito embora a equipe não figure em nenhum dos polos dos processos, a informatização dos tribunais torna público suas decisões permitindo o monitoramento dos atos judiciais ao longo do tempo como uma espécie de prestação à sociedade. Apesar disso, a equipe se deparou com algumas limitações que exigiram esforços adicionais para que o acesso às amostras necessárias para a realização do estudo não acabassem comprometidas.

O fornecimento das cópias dos processos incluídos no presente estudo dependeram de estratégias diversas, como um ofício ao Corregedor do Tribunal de Justiça do RS e um expediente administrativo do mesmo Tribunal autorizando o acesso aos processos utilizados pela equipe e, que mesmo assim, parecem depender de critérios e decisões particulares dos juízes ou chefes de cartório.

Foram caracterizados os principais aspectos e argumentos médicos, econômicos, legais e constitucionais das ações revelando os motivos pelos quais os pacientes com PKU no RS utilizaram a via judicial para o acesso à fórmula metabólica. O resultados mostram que a violação ao direito à saúde através da interrupção do fornecimento da fórmula metabólica pela SES-RS são os fatores responsáveis pela judicialização da PKU no RS. Conclui-se que, embora pareça inexpressivo, a amostra analisada neste estudo representa aproximadamente 18% (20/114) do total de pacientes em tratamento com fórmula metabólica no RS em 2011 quando nossa equipe iniciou a coleta de dados. Assim, o uso da via judicial para a obtenção do tratamento da PKU por estes pacientes, sugere que as dificuldades que estes pacientes tem

encontrado no acesso à fórmula metabólica tem contribuído para o aumento da judicialização da saúde no RS.

Em última análise, espera-se que a caracterização e a avaliação do impacto da “judicialização da saúde”, sob a perspectiva dos vários atores envolvidos, possa colaborar para a implementação de uma melhor assistência farmacêutica aos pacientes com PKU no RS, reforçando o papel dos Centros de Referência e diminuindo a demanda por ações judiciais. As conclusões obtidas no presente estudo, na opinião dos autores, poderão ser generalizadas para muitas outras doenças, especialmente para aquelas que possuem seus medicamentos inseridos em listas governamentais, mas que, ainda assim, permanecem associadas a uma demanda judicial alta.

9. APÊNDICES

APÊNDICE I - ARTIGO EM PORTUGUÊS**ACESSO AO TRATAMENTO DA FENILCETONÚRIA POR VIA JUDICIAL NO RIO
GRANDE DO SUL, BRASIL**

Luciano Manguiera Trevisan¹; Tatiele Nalin²; Tassia Tonon³, Lauren Monteiro Veiga⁴,
Paula Vargas^{5,6}, Bárbara Corrêa Krug⁷; Paulo Gilberto Cogo Leivas⁸; Ida V.D. Schwartz^{9,10}

- 1- Bacharel em Direito e mestrando no Programa de Pós-Graduação: Ciências Médicas – UFRGS, Porto Alegre – Brasil.
- 2- Nutricionista, Mestre em Medicina: Ciências Médicas – UFRGS, doutoranda no Programa de Pós-Graduação em Genética e Biologia Molecular – UFRGS, Porto Alegre – Brasil.
- 3- Biomédica, mestranda no Programa de Pós-Graduação em Genética e Biologia Molecular – UFRGS, Porto Alegre - Brasil.
- 4-Acadêmica de Direito, Centro Universitário Ritter dos Reis (UNIRITTER), Porto Alegre - Brazil.
- 5 - Médica, Mestre em Endocrinologia Pediátrica pela UNIFESP, São Paulo – Brasil.
- 6- Coordenadora do Programa de Triagem Neonatal do Rio Grande do Sul – Hospital Materno Infantil Presidente Vargas (HMIPV) – Porto Alegre – Brasil.
- 7 - Farmacêutica, Mestre em Ciências Médicas – UFRGS, Porto Alegre – Brasil.
- 8 - Doutor em Direito – UFRGS: Professor do Curso de Mestrado Acadêmico em Direito - UNIRITTER. Procurador Regional da República – Ministério Público Federal, Porto Alegre – Brasil.
- 9 - Doutora em Ciências: Genética, Professora adjunta do Departamento de Genética, UFRGS, Porto Alegre – Brasil.
- 10 -Serviço de Genética Médica do Hospital de Clínicas de Porto Alegre – Brasil.

Autor Correspondente:

Prof. Ida Vanessa D. Schwartz

Rua Ramiro Barcellos, 2350
90035-003 - Porto Alegre - RS, Brasil
idadschwartz@gmail.com
Fone +55 51 33598309
Fax + 55 51 33598010

RESUMO

A judicialização da saúde para obtenção de medicamentos, incluindo os que fazem parte das listas ou protocolos clínicos criados pelo sistema público de saúde, é considerada frequente no Brasil. O tratamento da Fenilcetonúria (PKU), doença genética detectada pelo Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN), inclui o uso de fórmula metabólica isenta de Fenilalanina (Phe), a qual deve ser fornecida gratuitamente pelo Sistema Único de Saúde (SUS). O uso da fórmula metabólica permite que os pacientes com PKU mantenham a concentração sérica de Phe em níveis considerados aceitáveis e que se associam à prevenção do desenvolvimento de retardo mental. Não existem estudos sobre o uso da via judicial para o acesso ao tratamento da PKU no Brasil. **Objetivo Geral:** caracterizar o uso da via judicial para a obtenção do tratamento para PKU no Estado do Rio Grande do Sul (RS), Brasil **Metodologia:** estudo observacional e retrospectivo, baseado na análise de processos judiciais. Para serem incluídos no estudo, os processos deveriam ter sido iniciados entre 2001 e 2010, terem como beneficiários indivíduos com PKU e solicitarem alguma forma de tratamento para essa doença. Foram analisados os dados correspondentes ao período compreendido entre a propositura da ação e a sentença. **Resultados:** no período analisado, foram ajuizados 20 processos que preenchem os critérios de inclusão, correspondentes a 16,8% dos pacientes com PKU mas somente 19 foram obtidos na íntegra para análise. Entre esses, apenas dois visavam à obtenção de terapias diferentes da fórmula metabólica. Em 17/17 processos havia relato de solicitação prévia de fornecimento do tratamento deferida pela Secretaria de Saúde – RS. Figuraram como réus o estado do RS (n=19), a União (n=1) e municípios (n=4). Em todos os processos, houve pedidos de antecipação de tutela deferidos. Sentença ocorreu em 18/19 dos processos, sendo que em todas elas foi reconhecida a obrigação dos réus fornecerem os insumos solicitados. Os dados apontam a violação do direito à saúde e a interrupção do fornecimento do tratamento pelo Estado como as principais razões para o uso da via judicial. **Discussão/Conclusões:** os nossos dados sugerem que os pacientes com PKU enfrentam dificuldades para o acesso do seu tratamento no Rio Grande do Sul. Ao contrário do que acontece com outras doenças genéticas, nesse caso a busca pela via judicial visa à obtenção de um produto que já está incluído na política de assistência farmacêutica nacional, achado que sugere que falhas de gestão são um dos fatores desencadeantes da judicialização no país.

INTRODUÇÃO

O Brasil possui um Sistema Único de Saúde (SUS) que é universal e gratuito, e que atende à população brasileira. A política de assistência farmacêutica do SUS prevê que determinado grupo de medicamentos (os medicamentos “listados”) seja fornecido, pelo governo, de forma gratuita. Atualmente encontram-se listados mais de 500 medicamentos e insumos, incluindo aqueles considerados essenciais pela Organização Mundial da Saúde (OMS) (por exemplo, prednisona e furosemida), os estratégicos (por exemplo, talidomida e zidovudina), os especializados (como infliximabe e olanzapina) bem como insumos e medicamentos de uso hospitalar.(1) Apesar disso, um fenômeno frequente no Brasil são as ações judiciais para obtenção de medicamentos.(2) No caso das chamadas "doenças raras", essas ações, de acordo com a literatura, referem-se principalmente às novas tecnologias. (3-6)

O presente artigo toma como modelo de estudo a doença genética rara Fenilcetonúria (PKU), que apresenta uma incidência de 1:12000-16.000 no sul do Brasil.(7, 8) A PKU é causada pela atividade deficiente da enzima hepática fenilalanina hidroxilase (PAH), que catalisa a conversão do aminoácido fenilalanina (Phe) em tirosina, a qual tem papel importante na produção dos neurotransmissores dopamina e noradrenalina (9). Em consequência, os pacientes não tratados apresentam concentração sérica elevada de Phe, a qual é tóxica para o sistema nervoso central e pode causar, entre outros, retardo mental e crises convulsivas.(10) A PKU foi o primeiro erro inato do metabolismo tratado com sucesso, em estudo pioneiro de Bickel, em 1953.(11) O seu tratamento inclui a administração, durante todo o período de vida do paciente, de fórmulas metabólicas específicas, isentas em Phe mas ricas em aminoácidos essenciais, e a ingestão de uma dieta com baixos níveis de Phe, ambas de maneira individualizada, ajustadas conforme a tolerância individual de cada paciente e os níveis alvo de Phe para cada faixa etária. No Brasil, as fórmulas metabólicas para PKU fazem parte da relação de medicamentos do Componente Especializado de Assistência Farmacêutica (CEAF) e são fornecidas gratuitamente seguindo os critérios estabelecidos pelo respectivo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (CTPG).(8) Outras estratégias de tratamento que podem ser utilizadas para o controle dos níveis de Phe são a utilização de alimentos especiais (por exemplo, massa feita com farinha que contém baixa quantidade de Phe), o uso de aminoácidos de cadeia longa ramificada (que competem com a Phe, impedindo a sua absorção e a entrada no SNC) e o BH4, cofator da enzima; (12-15) entretanto, o SUS não contempla o fornecimento de qualquer uma dessas outras estratégias. O diagnóstico da PKU é feito por meio da medida da concentração de Phe em material biológico (sangue total ou impregnado em papel-filtro), idealmente por meio da Triagem Neonatal, pois o tratamento precoce e realizado de forma regular, sem interrupções, evita o desenvolvimento de

retardo mental e de outras complicações neurológicas. (16, 17) Em relação à PKU, não existem, no Brasil, estudos que relatem a ocorrência de pedidos judiciais para acesso às diversas estratégias terapêuticas disponíveis. Nossa hipótese é a de que existe a dificuldade de acesso a essas estratégias no país devido a alguma falha na efetivação das políticas públicas existentes.

MÉTODOS

Este é um estudo observacional e retrospectivo, aprovado pelos Comitês de Ética locais, e que teve como objetivo caracterizar o uso da via judicial para a obtenção de tratamento para PKU no Estado do Rio Grande do Sul (RS), Brasil. Para tanto, foram identificados e analisados os processos ajuizados entre 2001 e 2010, cujos beneficiários eram pacientes com PKU e nos quais era solicitada alguma forma de tratamento para essa doença. O período 2001-2010 foi escolhido como tentativa de uniformização dos dados, uma vez que, em 2001, foi instituído o Programa Nacional de Triagem Neonatal, que inclui a pesquisa da PKU, e, em 2002, foi publicado o primeiro CTPG para essa doença (18), o qual foi atualizado em 2010. (8) Para cada processo identificado foram analisadas variáveis relativas ao período compreendido entre a sua propositura e a sentença.

O RS, estado localizado mais ao sul do Brasil, possui 11.164.043 habitantes, taxa de natalidade de 11,6 para cada mil habitantes e PIB per capita de R\$ 23.606,00.(19) No início da coleta de dados (2011), eram conhecidos 119 pacientes com PKU no Estado, sendo que 62 eram tratados no Hospital de Clínicas de Porto Alegre (HCPA) e 57 no Hospital Materno-Infantil Presidente Vargas (HMIPV), hospitais públicos localizados na capital (Porto Alegre). Entre esses pacientes, para 114 havia a indicação de uso de fórmula metabólica isenta de Phe, sendo que 20/114 (17,5%) tinham acesso à fórmula metabólica por via judicial. No RS, o paciente diagnosticado com PKU, a fim de solicitar o seu tratamento de forma administrativa, deve dirigir-se à Secretaria Municipal de Saúde da sua cidade com a prescrição médica. Essa solicitação é tecnicamente avaliada por um profissional da área da saúde designado pelo gestor estadual e, quando adequada, o procedimento é autorizado para posterior dispensação. A partir do deferimento, o medicamento é dispensado ao paciente usualmente de forma mensal, no seu município, devendo, para tanto, haver reavaliação da solicitação de forma trimestral.

Os dados iniciais sobre os 20 processos (tais como número do processo, estado de movimentação, etc.) foram obtidos a partir da consulta aos bancos eletrônicos das justiças estadual e federal. (28, 29) Após essa etapa foi feito contato, por email/telefone/pessoal, com os cartórios das comarcas envolvidas e também com as subseções da Ordem dos Advogados do Brasil (OAB) de cada município, sendo solicitadas cópias dos processos na sua íntegra. Com

essa estratégia, foram obtidas cópias de 11 processos. Os nove processos restantes não foram obtidos devido à negativa ou demora no atendimento das solicitações de cópias por parte dos cartórios das comarcas (n=3) ou pelo fato do processo envolver crianças ou adolescentes (n=6). Foi, então, emitido ofício à Corregedoria do Tribunal do Justiça – RS solicitando acesso a tais processos para fins de pesquisa, estratégia que resultou na obtenção de cópias de mais 8 processos (o pedido de um caso foi indeferido). Dessa forma, a amostra do presente estudo inclui 19 processos, todos atualizados até o final de 2011. Dois formulários específicos foram elaborados pela equipe para a coleta dos dados a partir da revisão dos processos, e estão disponíveis para consulta sob solicitação aos autores. O processo de elaboração dos formulários foi descrito por Leivas e Schwartz, 2012. (20)

O Formulário 1, mais extenso, incluía informações sobre o trâmite dos processos e sobre os argumentos dos advogados ou demandantes da parte beneficiada para a propositura da ação, contestação, decisões liminares, bloqueios em contas do governo, sentenças e recursos. Os argumentos foram classificados em argumentos jurídicos, empíricos (médicos/de pesquisa/econômicos) e relacionados à gestão. Por exemplo, foram consideradas como argumentos jurídicos as citações ao direito à saúde e das crianças; como argumentos médicos, as citações a evidências embasadoras do tratamento da PKU (artigos científicos, laudos médicos e protocolos clínicos relacionados com PKU); como argumentos econômicos, as citações a aspectos de custo-efetividade, de recursos escassos, de falta de previsão orçamentária e de impacto no orçamento público; e como argumentos relacionados à gestão do estado do RS, as citações a dificuldades de controle de estoque da fórmula metabólica para PKU e de dificuldades com processos licitatórios.

O segundo formulário permitia examinar questões sobre os demandantes e demandados tais como: perfil do beneficiário da ação, origem da prescrição e suas justificativas, tipo e forma de solicitação do medicamento. As prescrições eram consideradas adequadas quando as mesmas estavam de acordo com o CTPG para PKU publicado em 2002 (18). Para avaliar corretamente as prescrições, era necessário o conhecimento da idade e do peso do paciente e de sua concentração sérica atual de Phe.

A coleta de dados foi feita por dois profissionais de direito (Formulários 1 e 2) e por um profissional da saúde (Formulário 2), os quais posteriormente se reuniram para a confecção de um instrumento consenso para cada processo, e cujos dados foram digitados em banco de dados e analisadas em relação às médias e frequências. Foram analisadas as variáveis cujas informações estavam disponíveis para no mínimo 70% da amostra.

RESULTADOS

Considerando os 19 processos incluídos no estudo, a média de dias transcorrido entre a data da sua propositura até 31/12/2011 foi de 2.117 dias (aproximadamente 6 anos), sendo que o primeiro processo foi proposto em 05/01/2001 e o último em 20/08/2010. A média de dias transcorridos entre a propositura e a sentença foi de 648 dias (aproximadamente 1 ano e meio). Em 17 processos, havia descrição de deferimento prévio de pedido administrativo de tratamento para PKU; em outros dois processos essa informação não estava disponível. Todos os processos analisados apresentaram confirmação documental da doença (receitas, laudos ou declarações médicas).

A Tabela 1 contém dados sobre o perfil dos beneficiários das ações e dos demandados, assim como sobre os pedidos feitos nas petições iniciais. Os dados sobre as prescrições estão descritos na Tabela 2. Segundo os laudos médicos anexados aos processos, a justificativa mais frequente para a prescrição foi o risco de desenvolvimento de problemas neurológicos associado ao não tratamento da PKU.

A Figura 1 detalha os fundamentos mais frequentemente alegados pelos demandantes na petição inicial.

A Tabela 3 demonstra que todos os pedidos de antecipação de tutela foram deferidos. Em relação à forma de cumprimento dos pedidos, em todos os processos o juiz determinou que o réu adquirisse os insumos necessários para o tratamento dos demandantes, sendo que em um processo o réu também poderia fornecer o valor em dinheiro para aquisição dos insumos. Os dados na Tabela 4 detalham os fundamentos das sentenças dos processos.

Houve contestação em 18/19 dos processos, sendo que em 15/18 somente pelo estado do RS, em 2/18 pelo estado do RS e Município e 1/18 pela União e estado.

Em relação aos argumentos utilizados na contestação, em 12/18 processos o réu utilizou abordagens relacionadas a aspectos médicos, sendo os mais frequentes: discussão sobre o pedido de substituição do fornecimento da fórmula metabólica em concentrações diversas daquelas deferidas administrativamente (n= 6/12), a apresentação de provas de que o paciente necessita do tratamento através de relatórios médicos (n= 1/12), alegação de que o tratamento não consta em lista de fornecimento gratuito pelo SUS (processo ajuizado anterior ao CTPG 2002) (n= 1/12) e ausência de laudos atualizados (n= 8/12). Em 5 processos (n= 5/18), os réus arguíram aspectos econômicos tais como: falta de previsão orçamentária para aquisição do tratamento solicitado e também recursos escassos (n= 1/5), impacto no orçamento público (n= 2/5), impacto no orçamento público, recursos escassos e o princípio da reserva do possível (n= 1/5) e em um processo (n= 1/5) alegou recursos escassos para cumprimento da decisão. Em 3/18

processos os réus mencionaram problemas de gestão relacionados às dificuldades com controle de estoque e demora nos processos licitatórios como justificativa para a interrupção no fornecimento do tratamento pela Secretaria Estadual de Saúde do RS (SES-RS). Quanto aos dados dos aspectos legais e constitucionais extraídos das contestações (figura 2), as arguições e discussões mais frequentes foram em relação: ao direito fundamental à saúde (n= 6/10), ao princípio da reserva do possível (n= 4/10) e a ilegitimidade do Ministério Público para a propositura da ação (n= 4/10). Em 13 processos (n= 13/19) houve o bloqueio de valores nas contas do Estado do RS. A soma total desses bloqueios foi de R\$ 228.112,39 (amplitude: R\$ 1.831,32 - R\$ 52.313,38). Em média, ocorreram 2 bloqueios por processo sendo que 7 processos tiveram 2 bloqueios de valores cada e um processo apresentou 6 bloqueios de valores.

DISCUSSÃO

Apesar do grande número de políticas e de ações públicas de assistência farmacêutica existentes no Brasil, o fornecimento de medicamentos pelo SUS por meio do uso da via judicial tem provocado discussões objetivando a efetivação do Direito à Saúde. Trata-se de um fenômeno no cenário brasileiro, no qual demandas judiciais para o acesso a medicamentos no âmbito do SUS são intentadas perante a Justiça Federal e a Justiça Estadual, revelando-se como uma alternativa mais rápida e efetiva, tanto para o acesso a novas tecnologias em saúde, como para o acesso aos medicamentos fornecidos de forma gratuita pelo SUS.(21-23)

Segundo pesquisas prévias desenvolvidas por nosso grupo, e tomando como modelo as doenças genéticas Mucopolissacaridoses e doença de Fabry, a principal causa para judicialização no campo das doenças raras no Brasil é a busca pelo acesso a tecnologias ainda não incorporadas ao SUS.(4-6)

Nos processos estudados, a maioria dos beneficiários fez o pedido extrajudicial prévio que deferido para o recebimento do tratamento por via administrativa, atendendo aos critérios estabelecidos pelo CTPG para PKU.(8) A priori, recorrer ao judiciário para obter o acesso à fórmula metabólica para PKU parece significar um contrassenso, mas os dados obtidos na análise dos fundamentos dos pedidos dos processos indicam que a interrupção do fornecimento da fórmula metabólica, a violação ao direito fundamental à saúde e as condições econômicas das famílias para aquisição dos tratamentos são os principais fatores que levaram os pacientes com PKU no RS a ingressarem na justiça em busca do acesso ao tratamento de sua doença.

As poucas informações constantes nos processos não nos permitiu caracterizar profundamente o perfil dos beneficiários das ações, devido ao fato de dados sobre a renda, profissão e escolaridade estarem disponíveis somente para poucos processos. Outros dados

indicaram que a amostra estudada pertence, em sua maioria, à faixa etária pediátrica. O predomínio de indivíduos do sexo masculino deve ter sido ao acaso, visto que a doença é autossômica recessiva e não se espera diferente prevalência entre sexos.

A análise das configurações do polo passivo dos processos revelou que o RS figurou como réu em todas as demandas avaliadas. Tal fato já era esperado pela equipe, uma vez que os pacientes possuíam processos administrativos previamente deferidos pela SES – RS e também histórico de recebimento da fórmula metabólica.

Recentemente, estudos empíricos sobre a judicialização da saúde vêm buscando caracterizar a tese de que a judicialização da saúde é feita por elites econômicas ferindo princípios constitucionais do SUS, como o da equidade.(27) A sustentação desta tese complexa depende de materiais e métodos específicos que sejam capazes de capturar indícios que contribuam para a caracterização do problema e, que até este momento, ainda são insuficientes. Na pesquisa realizada com a PKU, vários são os indícios que contrariam a tese das elites. O estudo caracterizou a Defensoria Pública (DP) e o Ministério Público (MP) como principais agentes propositores das ações. Além disso, poucos processos foram propostos por advogados privados. Dados como a renda familiar e a profissão não estavam disponíveis em quantidades estatisticamente relevantes nos processos analisados que pudessem remeter a equipe a uma interpretação adequada. Todas as prescrições eram originárias de hospitais públicos universitários, o que também não representa um bom indicador de classe social, pois estes locais abrigam os serviços de referência em atendimento, pesquisas e tecnologias na área da genética, além do acesso ao SUS que se dá de forma equitativa e universal. Portanto, não é possível afirmar se a judicialização da PKU no RS é feita por elites econômicas ou possui correlação com classes sociais.

A solicitação da fórmula metabólica para PKU foi feita na quase totalidade dos processos, sendo que em um processo não houve pedido de fórmula metabólica e sim de alimentos especiais. O pedido judicial de alimentos especiais para o tratamento da PKU pode estar relacionado ao fato dos pacientes ou seus familiares não terem renda ou condições suficientes para o acesso aos alimentos que, no caso da PKU, são importados e de alto custo. Porém, questões culturais das famílias e a dificuldade de conviver diariamente com uma doença crônica e que pode não ser socialmente aceita, pode estar associada a uma baixa adesão à dieta com base nestes alimentos especiais, priorizando o uso da via judicial para a obtenção da fórmula metabólica. De forma geral, os pacientes ingressam na justiça buscando medicamentos, mas é necessário lembrar que, para o tratamento da PKU, tão importante quanto o acesso à fórmula metabólica para PKU, é o acesso à dieta alimentar com níveis controlados de Phe e a

administração combinada dessas formas de tratamento possibilita, ao paciente de PKU, atingir concentrações de Phe consideradas aceitáveis.

Em relação às prescrições, a maior parte dos beneficiários dos processos já possuía pedido administrativo prévio deferido pela SES-RS para o recebimento da fórmula metabólica sugerindo a existência de uma prescrição adequada para cada paciente. Porém, segundo a metodologia do estudo, a análise dos dados sobre a prescrição da fórmula metabólica para PKU não nos permitiu afirmar, em grande parte dos casos estudados, se a quantidade solicitada ou a prescrição da fórmula metabólica estavam adequadas. Faltou a informação sobre as concentrações de Phe ao diagnóstico e atual e dados sobre o peso do paciente, que são necessários para cálculo da dose a ser administrada, assim como, a definição do tipo de fórmula metabólica a ser prescrita.

A presença do Ministério Público como substituto processual do beneficiário foi objeto de contestação por parte dos demandados gerando extensas discussões quanto à legitimidade do Ministério Público para propositura de ações civis de interesses individuais. O protagonismo do Ministério Público ao assumir para si a função de garantidor dos interesses individuais indisponíveis relativos às questões de saúde, assim como, de proteção ao Estatuto da Criança e do Adolescente, está pacificado na jurisprudência do Superior Tribunal de Justiça. (STJ) (24)

Como esperado, os dados mais frequentes obtidos das argumentações das contestações relacionados aos aspectos econômicos foram a falta de previsão no orçamentária para o cumprimento de decisões judiciais, o impacto destas decisões no orçamento público e a violação de princípios constitucionais como: Princípio da reserva do possível. O direito à saúde também foi discutido nos argumentos das contestações, porém apenas para o reconhecimento, por parte do Estado, sobre suas responsabilidades em prestar assistência farmacêutica adequada aos cidadãos.

Mas, em alguns processos, foi possível verificar argumentos em que o RS admite os próprios problemas de gestão e dificuldades de controle dos estoques da fórmula metabólica para PKU devido a demora nos processos licitatórios. Tais fatos apontam fortemente para uma possível razão da interrupção do fornecimento da fórmula metabólica para PKU por parte do RS, motivando estes pacientes prejudicados a procurarem a via judicial em busca do acesso à fórmula metabólica.

Outro fato que mereceu atenção nas análises dos processos PKU diz respeito aos argumentos médicos e de pesquisa apresentados pelo Estado em suas contestações. Em suas estratégias de contestação, o Estado objetivou a discussão acerca dos pedidos de substituição de tratamento por fórmula metabólica para PKU em concentrações diversas daquelas deferidas administrativamente pelo RS, solicitou que o paciente apresentasse provas de que necessita do

tratamento por meio de relatórios; solicitou laudos atualizados e, ainda, alegou que o medicamento não constava em nenhuma lista de fornecimento obrigatória por parte do Estado. Importante ressaltar que os beneficiários dos processos já possuem processos administrativos previamente deferidos e, como dito anteriormente, o tratamento da PKU é feito por toda a vida através de fórmula metabólica específica, que no Brasil, faz parte do CEAF e é distribuída gratuitamente pelo RS segundo os critérios do CTPG no SUS. O Estado demonstrou carecer de conhecimento técnico sobre a PKU e suas políticas públicas, talvez por falha de comunicação entre os vários setores envolvidos.

A análise da antecipação de tutela é de extrema importância para a compreensão do fenômeno da judicialização de medicamentos no Brasil. Nos processos analisados, todos os beneficiários tiveram seus pedidos de antecipação de tutela concedidos. Como regra geral, a concessão das liminares baseou-se nos fatos alegados nos laudos médicos e nos preceitos do direito à saúde. Nenhuma decisão liminar mencionou a presença do PDCT para PKU, evidenciando os achados em outros estudos sobre judicialização da saúde, em que os julgadores tem proferido decisões favoráveis ao fornecimento de medicamentos sem a observância das políticas de assistência farmacêuticas vigentes no SUS.(26)

Importante perceber, também, que a concessão das liminares obriga o RS a fornecer a fórmula metabólica para PKU nos moldes do pedido feito nas petições iniciais pelos beneficiários, ou seja, nas quantidades e tipo de fórmula metabólica prescritas e solicitadas. O descumprimento dessas decisões geraram determinações de bloqueios de valores nas contas do RS. Em análise, os autores identificaram, dentro do recorte temporal da pesquisa, o bloqueio de valores deferidos na maior parte dos processos. Por um lado, as decisões de bloqueios de valores nas contas do Governo garantem os pedidos judiciais imediatos dos demandantes, porém essas mesmas decisões podem representar um efeito negativo para a atuação do Estado, pois impedem que o RS exerça sua flexibilidade de negociação ou poder de barganha através dos processos licitatórios que atendam o seu planejamento orçamentário. Tal fato pode expor o sistema de saúde a uma elevação de custos por compras emergenciais sem processos licitatórios.(5, 25) Ao final das análises, a quase totalidade dos processos haviam sido sentenciados com decisões procedentes, confirmando o acesso à fórmula metabólica e a garantia do direito individual à saúde de cada demandante já sinalizado anteriormente pela concessão das liminares. Os aspectos que fundamentaram as sentenças também acompanharam as liminares, ou seja, foram feitas abordagens quanto aos laudos médicos e ao direito à saúde.

CONCLUSÕES

A judicialização de medicamentos no Brasil é um fenômeno frequente e que merece atenção dos poderes públicos. O uso da via judicial parece oferecer, ao paciente, segurança e garantia de acesso ao tratamento pleiteado mediante decisões que podem acabar obrigando os sistemas de saúde a arcarem com os custos elevados de compras emergenciais.

No caso da judicialização da PKU no RS, os dados analisados revelaram que a interrupção do fornecimento da fórmula metabólica para PKU é a principal causa da mesma, sugerindo problemas na gestão da assistência farmacêutica no Estado, e que o direito à saúde representa o principal fundamento jurídico para a concessão de decisões favoráveis ao paciente demandante. No tocante às doenças raras, portanto, nem sempre a busca por acesso a tecnologias não-incorporadas no SUS é a principal causa de judicialização.

Agradecimentos: este trabalho recebeu fomento das agências de pesquisa do Rio Grande do Sul (FAPERGS) e do Brasil (CNPq e CAPES). Os autores agradecem ao Prof. Dr. Paulo Dornelles Picon, Dailor Sartori Junior, Tatiane Alves Vieira e Nilson Fell por sua valiosa colaboração no estudo.

REFERÊNCIAS

1. Brazil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME [Internet]. Brasília: Editora MS; 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/renome_2010.pdf
2. Biehl J, Amon JJ, Socal MP, Petryna A. Between the court and the clinic: lawsuits for medicines and the right to health in Brazil. *Health Hum Rights*. 2012;14:E36-52.
3. Travassos DV, Ferreira RC, Vargas AMD, Moura RNVd, Conceição EMdA, Marques DdF, et al. [The judicialization of health care: a case study of three state courts in Brazil]. *Cienc Saude Colet*. 2013;18:3419-29.
4. Sartori Jr D, Leivas PGC, Souza MVd, Krug BC, Balbinotto G, Schwartz IVD. [Court-ordered access to treatment of rare genetic diseases: Fabry Disease in the state of Rio Grande do Sul, Brazil]. *Cienc Saude Colet*. 2012;17:2717-28.
5. Diniz D, Medeiros M, Schwartz IVD. [Consequences of the judicialization of health policies: the cost of medicines for mucopolysaccharidosis]. *Cad Saude Publica*. 2012;28:479-89.
6. Boy R, Schwartz IV, Krug BC, Santana-da-Silva LC, Steiner CE, Acosta AX, et al. Ethical issues related to the access to orphan drugs in Brazil: the case of mucopolysaccharidosis type I. *J Med Ethics*. 2011;37:233-9.
7. Jardim LB, Palma-Dias R, Silva LC, Ashton-Prolla P, Giugliani R. Maternal hyperphenylalaninaemia as a cause of microcephaly and mental retardation. *Acta Paediatr*. 1996;85:943-6.
8. Brazil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - Fenilcetonúria [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://portal.saude.gov.br/portal/arquivos/pdf/pcdt_fenilcetonuria.pdf
9. Olsson GM, Montgomery SM, Alm J. Family conditions and dietary control in phenylketonuria. *J Inher Metab Dis*. 2007;30:708-15.
10. Mitchell JJ, Trakadis YJ, Scriver CR. Phenylalanine hydroxylase deficiency. *Genet Med*. 2011;13:697-707.
11. Zschocke J, Hoffmann GF. *Vademecum Metabolicum: Manual of Metabolic Paediatrics*. 2nd ed. Friedrichskoog: Schattauer; 2004.
12. Blau N. *PKU and BH4: Advances in Phenylketonuria and Tetrahydrobiopterin*. Chennai: Scientific Publishing Services; 2006.
13. Trefz FK, Blau N. Potential role of tetrahydrobiopterin in the treatment of maternal phenylketonuria. *Pediatrics*. 2003;112:1566-9.

14. Perez-Duenas B, Vilaseca MA, Mas A, Lambruschini N, Artuch R, Gomez L, et al. Tetrahydrobiopterin responsiveness in patients with phenylketonuria. *Clin Biochem.* 2004;37:1083-90.
15. Karam SdM. Avaliação epidemiológica da triagem neonatal para fenilcetonúria no Rio Grande do Sul - 1986-2003: um estudo de coorte [thesis]. Porto Alegre: Universidade Federal do Rio Grande do Sul; 2004.
16. Brazil. Ministério da Saúde. Secretaria de Assistência à Saúde. Coordenação-Geral de Atenção Especializada. Manual de Normas Técnicas e Rotinas Operacionais do Programa Nacional de Triagem Neonatal [Internet]. Brasília: Editora MS; 2001 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/triagem_neonatal.pdf
17. Souza CFMd, Schwartz IV, Giugliani R. [Neonatal screening of metabolic disorders] *Cienc Saude Colet.* 2002;7:129-37.
18. Brazil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas – Fenilcetonúria [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2002 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://dtr2001.saude.gov.br/sas/dsra/protocolos/do_f20_01.pdf
19. Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística (IBGE). Censo Demográfico - Rio Grande do Sul [Internet]. 2010 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www.ibge.gov.br/estadosat/perfil.php?sigla=rs>
20. Leivas PGC, Schwartz IVD. A construção do instrumento de avaliação de processos judiciais em pesquisas interdisciplinares sobre as causas da “judicialização da saúde”. VIII SEPesq – Semana de Pesquisa, Pós-graduação e Extensão do Centro Universitário Ritter dos Reis; Porto Alegre: Ritter dos Reis; 2012.
21. Rios RR. Direito à saúde, universalidade, integralidade e políticas públicas: princípios e requisitos em demandas judiciais por medicamentos [Internet]. Porto Alegre: Revista de Doutrina da 4ª Região; 2009 [cited 2013 Dec 05]. Available from: http://www.revistadoutrina.trf4.jus.br/index.htm?http://www.revistadoutrina.trf4.jus.br/artigos/dicao031/roger_rios.html
22. Pepe VLE, Ventura M, Sant'ana JMB, Figueiredo TA, Souza VdRd, Simas L, et al. [Characterization of lawsuits for the supply of "essential" medicines in the State of Rio de Janeiro, Brazil]. *Cad Saude Publica.* 2010;26:461-71.
23. Biehl J, Petryna A, Gertner A, Amon JJ, Picon PD. Judicialisation of the right to health in Brazil. *Lancet.* 2009;373:2182-4.
24. Brazil. Superior Tribunal de Justiça. STJ - Recurso Especial 716.512 - RS (2005/0004911-6) [Internet]. Brasília: Superior Tribunal de Justiça; 2005 [cited 2013 Dec 05].

Available from: <http://stj.jusbrasil.com.br/jurisprudencia/7185655/recurso-especial-resp-716512-rs-2005-0004911-6/inteiro-teor-12923833>

25. Chieffi AL, Barata RB. ["Judicialization" of public health policy for distribution of medicines]. *Cad Saude Publica*. 2009;25:1839-49.
26. Pandolfo M, Delduque MC, Amaral RG. [Legal and sanitary aspects conditioning access to medicines in Brazilian courts]. *Rev Salud Publica*. 2012;14:340-9.
27. Diniz D, Medeiros M, Schwartz IVD. [A tese da judicialização da saúde pelas elites: os medicamentos para mucopolissacaridose]. *Cad Saúde Pública*. 2013;1079-1088.
28. Tribunal de Justiça do Estado do Rio Grande do Sul (TJRS). Acompanhamento Processual [Internet]. 2011 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www.tjrs.jus.br/site/>
29. Tribunal Regional Federal da 4ª Região (TRF). Consulta Processual - Rio Grande do Sul [Internet]. 2011 [cited 2013 Dec 05]. Available from: <http://www2.trf4.jus.br/trf4/>

TABELAS

Tabela 1: Acesso ao tratamento da Fenilcetonúria por via judicial no Rio Grande do Sul, Brazil: caracterização da amostra (n=19 processos)

Variáveis	n
<i>Dados sobre os pacientes</i>	
Sexo (M:F)	12:7
Idade	
0 – 2 anos	4
3 – 11 anos	12
12 – 18 anos	1
≥ 19 anos	1
NI	1
<i>Dados sobre os processos</i>	
Reú	
Estado do Rio Grande do Sul	14
Estado do Rio Grande do Sul + Município	4
União + estado do Rio Grande do Sul	1
Autor/demandante	
Defensoria Pública	8 (42,1)
Ministério Público	7 (36,8)
Advogado particular	4 (21,1)
Solicitação de fórmula metabólica específica para Fenilcetonúria	
Sim	18 (94,7)
Não*	1 (5,3)
Solicitação de alimentos especiais e/ou outros medicamentos	
Sim**	2 (10,5)
Não	17 (89,5)

* solicitação apenas de alimentos especiais para PKU; **Um paciente solicitou fórmula metabólica metabólica e medicamento anticonvulsivante. O outro paciente solicitou fórmula metabólica láctea para primeiro ano de vida e fórmula metabólica para PKU.

NI: informação não constava no processo

Tabela 2: Acesso ao tratamento da Fenilcetonúria por via judicial no Rio Grande do Sul, Brasil: resumo de informações clínicas disponibilizadas nos processos (n= 19 processos)

Variáveis	n
Prescrição médica anexada ao processo	18/19
Laudo médico anexado ao processo	14/19
Tratamento prescrito	
Fórmula metabólica para fenilcetonúria	17/18
Alimentos especiais*	1/18
Outros**	4/18
Peso do paciente informado no processo	
Sim	3/19
Não	16/19
Prescrição médica adequada (n=18)	
Sim	3
Não é possível afirmar	15

*macarrão e farinha com baixas concentrações de fenilalanina; ** 3 processos com prescrição de fórmula metabólica láctea de primeiro ano de vida e de fórmula metabólica para Fenilcetonúria; 1 processo com prescrição de medicamento anticonvulsivante e de fórmula metabólica para Fenilcetonúria.

Tabela 3: Acesso ao tratamento da Fenilcetonúria por via judicial no Rio Grande do Sul, Brasil: dados sobre a antecipação de tutela (n=19)

Variáveis	n
Forma de cumprimento da decisão definida pelo juiz	
Obrigação de fornecer o medicamento	18
Obrigação de fornecer o medicamento e/ou de fornecer o recurso financeiro ao paciente para compra do tratamento	1
Periodicidade do fornecimento da fórmula metabólica definida pelo juiz	
Mensal (quantidade relativa ao mês)	18
Semestral (quantidade relativa ao semestre)	1
Fundamentos utilizados na decisão*:	
Relativos a aspectos médicos e de pesquisa	
Existência de laudo médico	12
Existência de evidência**	7
Risco de morte/danos graves à vida associados ao não-tratamento	1
Risco de desenvolvimento de retardo mental associados ao não-tratamento	1
Relativos a aspectos legais e constitucionais	
Violação do direito à saúde	12
Violação do direito das crianças	6
Violação do princípio da dignidade humana	1
Violação do princípio da prioridade	1
Relativos a aspectos econômicos***	0
Relativos a aspectos de gestão****	0

*mais de um fundamento pode ter sido citado na decisão; ** foram consideradas como evidências as citações a artigos científicos, laudos médicos e protocolos clínicos relacionados com Fenilcetonúria; *** foram consideradas como aspectos econômicos as citações a aspectos de custo -efetividade do tratamento solicitado, de recursos escassos para aquisição dos insumos, da falta de previsão orçamentária para aquisição dos insumos para o tratamento e do impacto no orçamento público; **** foram considerados como aspectos de gestão, as citações a dificuldades de controle de estoque da fórmula metabólica para Fenilcetonúria e a dificuldades com processos licitatórios.

Tabela 4: Acesso ao tratamento da Fenilcetonúria por via judicial no Rio Grande do Sul, Brasil: Dados sobre a sentença (n=18)

Variáveis	n
Tempo decorrido entre a propositura da ação e a sentença	
< 6 meses	5
6 meses a 1 ano	3
1 a 2 anos	6
>2 anos	4
Sentença	
Procedente*	17
Parcialmente procedente**	1
Improcedente*	1
Fundamentos utilizados na decisão***	
Relativos a aspectos médicos e de pesquisa	
Existência de laudos médicos	13
Existência de evidência [#]	9
Existência de medicamento/ tratamento substituto	1
Relativos a aspectos legais e constitucionais	
Violação do direito à saúde	15
Violação do direito das crianças	6
Violação do princípio da dignidade humana	4
Reserva do possível/Princípio da proporcionalidade	1
Discricionariedade da administração pública/Princípio da separação dos poderes	1
Violação do princípio da igualdade	1
Ilegitimidade	1
Outros ^{##}	3
Relativos a aspectos de gestão ^{###}	0

* em um processo a sentença foi procedente contra o Estado do RS e improcedente contra o Município, afastando o mesmo da responsabilidade de fornecimento da fórmula metabólica de Fenilcetonúria; ** neste processo a sentença determinou fornecimento de 3 latas de Fenilcetonúria e o pedido foi de 4 latas; ***mais de um fundamento pode ter sido citado na decisão; [#] foram consideradas como evidência as citações a artigos científicos, laudos médicos e protocolos clínicos relacionados com a Fenilcetonúria; ^{##} um processo discutiu a legitimidade do Ministério Público para pleitear direitos individuais, o outro abordou ausência de pretensão resistida por parte do Estado do RS, e o terceiro discutiu direito à vida. ^{###} foram considerados como aspectos de gestão, dificuldades de controle de estoque da fórmula metabólica para PKU e dificuldades com processos licitatórios.

FIGURAS

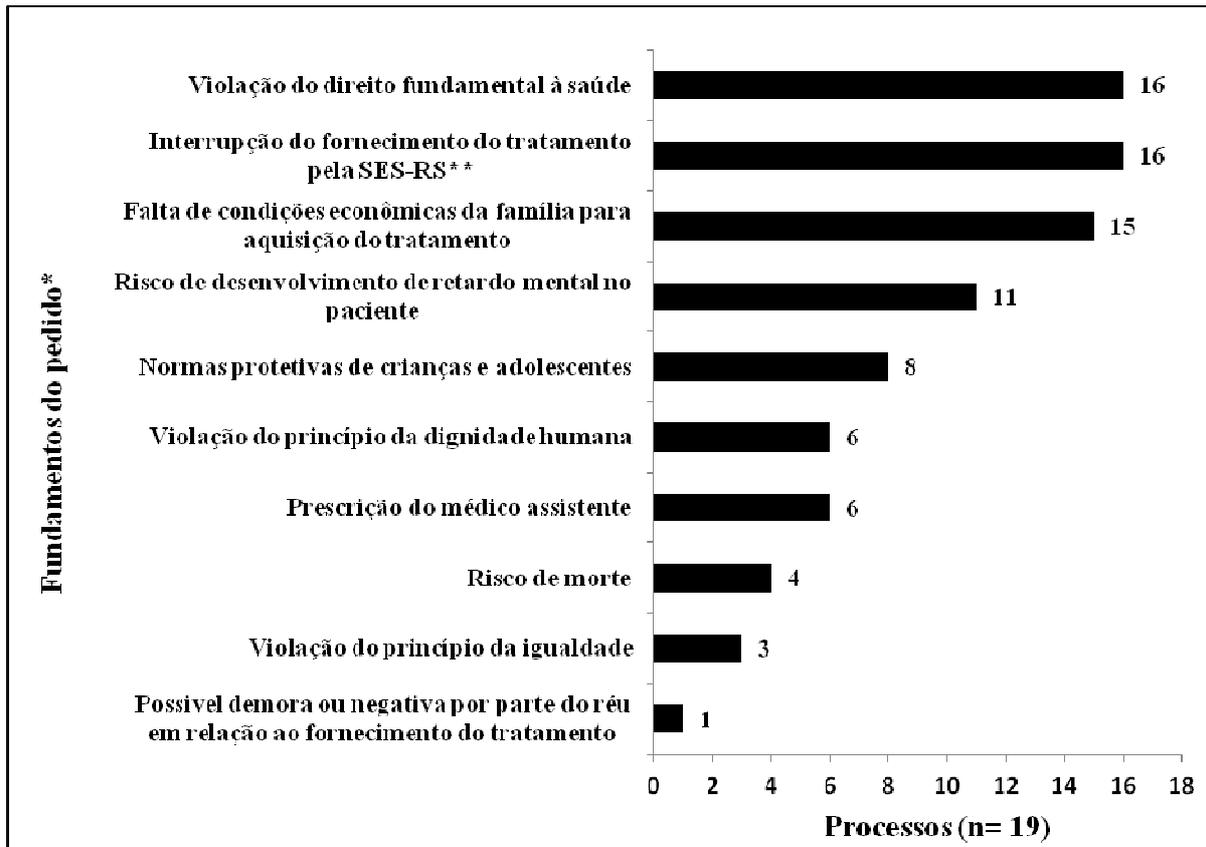


Figura 1: Acesso ao tratamento da Fenilcetonúria por via judicial no Rio Grande do Sul, Brasil: Fundamentos da petição inicial

* Estão presentes nos fundamentos do pedido os aspectos médicos e de pesquisa, econômicos, legais e constitucionais que figuraram com maior frequência durante as análises das petições iniciais;

**SES-RS: secretaria estadual da saúde do Rio Grande do Sul, Brasil

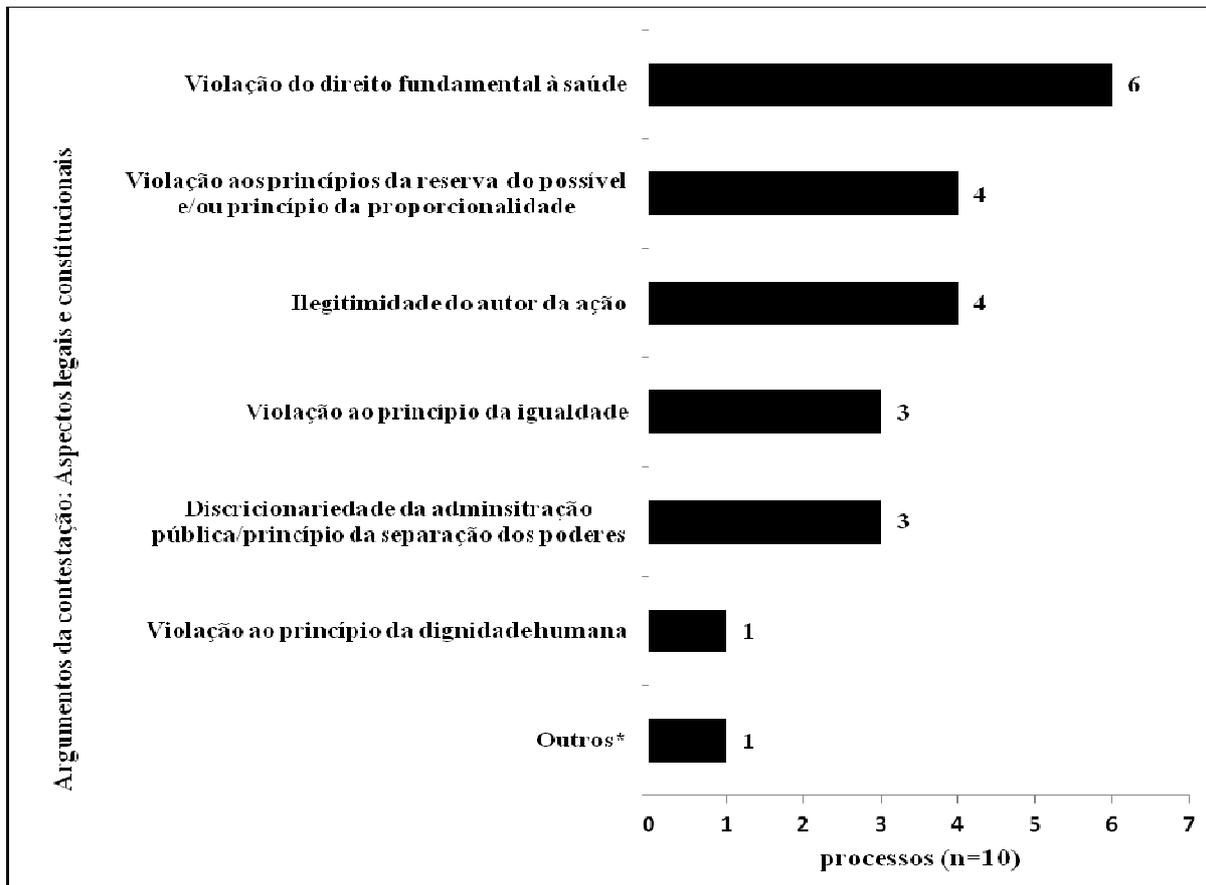


Figura 2: Acesso ao tratamento da Fenilcetonúria por via judicial no Rio Grande do Sul, Brasil: Fundamentos da contestação – Aspectos legais e constitucionais

*Alega ausência de interesse processual por parte do demandante.

**APÊNDICE II - FORMULÁRIO 1 - AVALIAÇÃO DOS PROCESSOS JUDICIAIS -
EQUIPE JURÍDICA**

AVALIAÇÃO DOS PROCESSOS JUDICIAIS

**ACESSO AO TRATAMENTO DA FENILCETONÚRIA POR VIA JUDICIAL NO RIO GRANDE DO SUL,
BRASIL**

Data de preenchimento: ____/____/____

Responsável:

Número processo:

Comentários gerais:

1. PARTES

1.1. DADOS SOBRE OS PACIENTES: (se houver mais de um demandante, as informações abaixo deverão ser preenchidas para cada um dos demandantes; utilizar folhas anexas):

Número:

Código do Paciente: _____

Idade no momento do ajuizamento:

0-2 anos 3-11 anos 12- 18 anos

> ou = 19 anos não informada

Sexo: Masculino Feminino

Estado Civil: casado solteiro viúvo divorciado N/A

Profissão:

Escolaridade:

Naturalidade (cidade/estado):

Domicilio atual (bairro/cidade/estado):

Renda mensal bruta total na unidade familiar em salários-mínimos:

Número de membros da família:

Peso do demandante no momento do ajuizamento é informado?

Sim kg

Não

1.2. DADOS DO REPRESENTANTE DO PACIENTE

() Sem representante

Código do representante do paciente: _____

Grau de parentesco com demandante: _____

Sexo: () masculino () feminino

Estado Civil: () casado () solteiro () viúvo () divorciado () n/a

Profissão:

Escolaridade:

Naturalidade (cidade/estado):

PETIÇÃO INICIAL**2. DADOS DO RÉU** (O tópico “4.2.” trata da alteração de competência)

() União () Rio Grande do Sul () Município () Outro. Qual?

2.1. GERAL

Data da propositura: _____

Demandante:

() Defensoria Pública () Ministério Público () Advogado particular

Solicitação:

() Fórmula para fenilcetonúria () Alimentos especiais:

() outros (citar abaixo):

Confirmação documental de doença Fenilcetonúria está anexada ao pedido?

() Sim: () Laudo/Declaração () Exame (nível de fenilalanina no sangue) () Não

Valor estimado da solicitação, conforme inicial (especificar moeda e/ou quantidades abaixo):

() anual () semestral () mensal

() outro: _____ () não informado

Quantidade de latas de fórmula solicitadas:

() anual () semestral () mensal () outro: _____ () não informado

Requerimento de antecipação dos efeitos da tutela:

() sim () não

2.2. DADOS SOBRE A PRESCRIÇÃO MÉDICA:

Data da primeira prescrição: _____

- receita SUS
 receita particular
 não apresentou receita

Nível de Fenilalanina que levou à prescrição: _____(mg/dL)

Especialidade médico prescritor: _____

Prescrição:

- Fórmula para fenilcetonúria Alimentos especiais:
 outros (citar abaixo):

Justificativa clínica/médica da prescrição:

- aumento da sobrevida
 ausência de outras formas de tratamento
 risco de desenvolvimento de retardo mental
 risco de morte
 melhora da qualidade de vida
 outros:
-

Prescrição vinculada à instituição universitária? Sim Não**2.3. PEDIDO ADMINISTRATIVO/EXTRAJUDICIAL** sim não

Decisão:

- deferido.
 indeferido. Motivo:
 sem outro:
 não n/a

2.4. RECEBIMENTO ANTERIOR A QUALQUER DECISÃO JUDICIAL

- sim regularmente
 com atrasos durante a prestação/fornecimento irregular
 interrompido
 com posterior negativa de continuidade do tratamento
 não
 n/a

2.5. FATOS E ARGUMENTOS DA PETIÇÃO INICIAL

Aspectos médicos e de pesquisa:

- () prescrição do médico assistente
 () risco de morte
 () risco de desenvolvimento de retardo mental
 () outros: _____

Aspectos econômicos e de gestão

- () condições econômicas para aquisição dos insumos do tratamento
 () possível demora ou negativa por parte do passivo em relação ao fornecimento do medicamento
 () negativa anterior do réu em relação ao pedido administrativo
 () interrupção do fornecimento do medicamento por falha de gestão
 () outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- () direito à saúde
 () dignidade humana
 () princípio da igualdade
 () normas protetivas de criança e adolescentes
 () outros: _____

Comentários:

2.6. FORMA DE CUMPRIMENTO DO PEDIDO

2.6.1. DA AQUISIÇÃO DO MEDICAMENTO

- () Medicamento a ser dispensado diretamente pelo réu
 () Medicamento a ser adquirido diretamente pelo demandante:
 () porque foi solicitado dessa maneira
 () porque não houve cumprimento da tutela antecipada
 () outro: _____

2.6.2. DA COERÇÃO

- () multa () bloqueio de valores () prisão () outro: _____

3. CONTESTAÇÃO. *Se for litisconsórcio passivo, as informações abaixo deverão ser preenchidas para cada um dos réus; utilizar folhas anexas.*

Apresentou contestação? () Sim . Data:

() Não

() Estado () Município () União () Outro: _____

ARGUMENTAÇÃO UTILIZADA

Aspectos médicos e de pesquisa:

() evidência

() laudos médicos

() protocolos do Ministério da Saúde

() medicamento substituto

() outros: _____

Aspectos econômicos:

() custo-efetividade

() ética dos recursos escassos

() falta de previsão

() impacto no orçamento público.

Demonstração do impacto: () sim () não

() outros: _____

Problemas de gestão:

() dificuldade com controle de estoque

() dificuldade com licitação

() outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

() ausência de documentação (receita médica, etc.)

() dignidade humana

() direito à saúde

() direito das crianças

() discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes

() princípio da igualdade

() reserva do possível/princípio da proporcionalidade

() ilegitimidade passiva

() chamamento de outro(s) ente(s):

() outros: _____

4. DECISÕES INTERLOCUTÓRIAS. *Os dados aqui registrados não precisam se restringir ao conteúdo da decisão descrita no “4.1.”. Nas datas das decisões, deve-se atribuir um numeral, o qual será utilizado em todo o “4.”.No local destinado ao “X”, deve ser assinalado o numeral atribuído à decisão.*

4.1. GERAL.

	Data da decisão:	Resumo da decisão:

Comarca: _____ Vara Judicial: _____

Decisão sobre a antecipação dos efeitos da tutela:

- () Procedente
 () Parcialmente procedente. Em que: _____
 () Improcedente

() Obrigação de dar coisa: _____

() Obrigação de pagar quantia: _____

() anual () semestral () trimestral () outro:

Dispositivo reformado: () não () sim

() qual decisão

4.2. ALTERAÇÃO DE COMPETÊNCIA

- () União () Rio Grande do Sul () Município () Laboratório
 () Outro. Qual?
 () Não se aplica

4.3. FATOS E ARGUMENTOS DAS DECISÕES INTERLOCUTÓRIAS

Aspectos médicos e de pesquisa:

- evidência
- laudos médicos
- participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado
- protocolos do Ministério da Saúde
- medicamento substituto
- outros: _____

Aspectos econômicos:

- custo-efetividade
 - recursos escassos
 - falta de previsão orçamentária
 - impacto no orçamento público.
- Demonstração do impacto: sim não
- outros: _____

Problemas de gestão:

- dificuldade com controle de estoque
- dificuldade com licitação
- outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- ausência de documentação (receita médica, etc.)
- dignidade humana
- direito à saúde
- direito das crianças
- direito das pessoas com deficiência
- discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
- princípio da igualdade
- reserva do possível/princípio da proporcionalidade
- ilegitimidade passiva
- chamamento de outro(s) ente(s):
- outros: _____

4.4. FORMA DE CUMPRIMENTO

4.4.1. DA AQUISIÇÃO

- () Medicamento a ser dispensado diretamente pelo réu
 () Medicamento a ser adquirido diretamente pelo demandante:
 () porque foi solicitado dessa maneira
 () porque não houve cumprimento da tutela antecipada
 () outro: _____

4.4.2. DA COERÇÃO

- () prisão
 () outro: _____
 () multa. Valor: _____
 () bloqueio de valores. Valor/tempo: _____

4.4.2.1. DA INICIATIVA DA COERÇÃO

- () Autor () Ministério Público () Julgador

Tabela relativa aos bloqueios de valores antes do trânsito em julgado da sentença

Data	Valor	Período de tratamento

5. AGRAVOS

5.1. RECORRENTE

- () Autor () Estado () União () Município () Outro: _____

5.2. DECISÃO RECORRIDA. Colocar data e numeral correspondente utilizado em "4".

Decisão recorrida:

Data do recurso:

5.3. FORMA DE RECEBIMENTO E REQUERIMENTO DE REFORMA

- () Total () Parcial. Em que: _____

5.4. RAZÕES

- Reitera todos os fundamentos aduzidos em primeiro grau.
 Desenvolve melhor alguns dos argumentos aduzidos em primeiro grau.

Quais: _____

- Matéria de execução.

Bloqueio de valores Multa Outro: _____

5.5. CONTRA-RAZÕES Sim Não

- Reitera todos os fundamentos aduzidos em primeiro grau.
 Reitera alguns dos argumentos aduzidos em primeiro grau.

Quais: _____

- Traz argumentos novos aos aduzidos em primeiro grau

Quais: _____

- Matéria de execução

Bloqueio de valores Multa Outro: _____

5.6. () ACÓRDÃO () DECISÃO MONOCRÁTICA

Data do julgamento: _____

Tribunal: _____ Turma ou Câmara: _____

Decisão: provimento desprovimento

provimento parcial. Em quê? _____

Determinação:

Obrigação de dar coisa: _____

Obrigação de pagar quantia: _____

anual semestral trimestral mensal outro: _____

Dispositivo reformado: não sim Qual decisão: _____

5.6.1. FUNDAMENTAÇÃO DO**() VOTO VENCEDOR OU DA () DECISÃO MONOCRÁTICA**Aspectos médicos e de pesquisa:

- () evidência
- () laudos médicos
- () participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado
- () protocolos do Ministério da Saúde
- () medicamento substituto
- () outros: _____

Aspectos econômicos:

- () custo-efetividade
- () ética dos recursos escassos
- () falta de previsão
- () impacto no orçamento público.
- Demonstração do impacto: () sim () não
- () outros: _____

Problemas de gestão:

- () dificuldade com controle de estoque
- () dificuldade com licitação
- () outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- () ausência de documentação (receita médica, etc.)
- () dignidade humana
- () direito à saúde
- () direito das crianças
- () discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
- () princípio da igualdade
- () reserva do possível/princípio da proporcionalidade
- () ilegitimidade passiva
- () chamamento de outro(s) ente(s):
- () outros: _____

5.6.2. FUNDAMENTAÇÃO DO VOTO VENCIDOAspectos médicos e de pesquisa:

- evidência
- laudos médicos
- participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado
- protocolos do Ministério da Saúde
- medicamento substituto
- outros: _____

Aspectos econômicos:

- custo-efetividade
 - ética dos recursos escassos
 - falta de previsão
 - impacto no orçamento público.
- Demonstração do impacto: sim não
- outros: _____

Problemas de gestão:

- dificuldade com controle de estoque
- dificuldade com licitação
- outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- ausência de documentação (receita médica, etc.)
- dignidade humana
- direito à saúde
- direito das crianças
- discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
- princípio da igualdade
- reserva do possível/princípio da proporcionalidade
- ilegitimidade passiva
- chamamento de outro(s) ente(s):
- revelia
- outros: _____

6. MINISTÉRIO PÚBLICO, PERÍCIA E SENTENÇA

6.1. PARECER DO MINISTÉRIO PÚBLICO

Houve parecer do Ministério Público: () Sim: () Favorável () Desfavorável
() Não

Data do parecer: _____

FATOS E ARGUMENTOS

Aspectos médicos e de pesquisa:

- () evidência
- () laudos médicos
- () participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado
- () protocolos do Ministério da Saúde
- () medicamento substituto
- () outros: _____

Aspectos econômicos:

- () custo-efetividade
 - () ética dos recursos escassos
 - () falta de previsão
 - () impacto no orçamento público.
- Demonstração do impacto: () sim () não
- () outros: _____

Problemas de gestão:

- () dificuldade com controle de estoque
- () dificuldade com licitação
- () outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- () ausência de documentação (receita médica, etc.)
- () dignidade humana
- () direito à saúde
- () direito das crianças
- () discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
- () princípio da igualdade
- () reserva do possível/princípio da proporcionalidade
- () ilegitimidade passiva
- () chamamento de outro(s) ente(s):
- () revelia
- () outros: _____

6.2. PERÍCIA JUDICIAL

Houve perícia: () Sim () Não

Data da perícia: _____

Especialidade do médico perito: _____

Parecer: () favorável () desfavorável

Aspectos médicos e de pesquisa:

() evidência

() laudos médicos

() participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado

() protocolos do Ministério da Saúde

() medicamento substituto

() outros: _____

Aspectos econômicos:

() custo-efetividade

() ética dos recursos escassos

() falta de previsão

() impacto no orçamento público.

Demonstração do impacto: () sim () não

() outros: _____

6.3. SENTENÇA

6.3.1. GERAL

Data da sentença: _____

Comarca: _____ Vara Judicial: _____

Dispositivo: () procedente () improcedente
() parcialmente procedente. Em quê? _____

() obrigação de dar a coisa

() obrigação de pagar a quantia

() anual () semestral () trimestral () mensal () outro: _____

Dispositivo reformado: () não () sim
() Qual decisão: _____

6.3.2. FUNDAMENTAÇÃO

Aspectos médicos e de pesquisa:

() evidência clínica e/ou médica

() laudos médicos

() participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado

() protocolos do Ministério da Saúde

() medicamento substituto

() outros: _____

Aspectos econômicos:

() custo-efetividade

() ética dos recursos escassos

() falta de previsão

() impacto no orçamento público.

Demonstração do impacto: () sim () não

() outros: _____

Aspectos de gestão:

- () dificuldade com controle de estoque
 () dificuldade com licitação
 () outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- () ausência de documentação (receita médica, etc.)
 () dignidade humana
 () direito à saúde
 () direito das crianças
 () discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
 () princípio da igualdade
 () reserva do possível/princípio da proporcionalidade
 () ilegitimidade passiva
 () chamamento de outro(s) ente(s):
 () revelia
 () outros: _____

6.3.3. FORMA DE CUMPRIMENTO**6.3.3.1. DA AQUISIÇÃO**

- () Medicamento a ser adquirido diretamente pelo réu
 () Medicamento a ser adquirido diretamente pelo demandante:
 () porque foi solicitado dessa maneira
 () porque não houve cumprimento da tutela antecipada
 () outro: _____

6.3.3.2. DA COERÇÃO

- () prisão
 () outro: _____
 () multa. Valor: _____
 () bloqueio de valores. Valor/tempo: _____

Tabela relativa aos bloqueios de valores após o trânsito em julgado da sentença

Data	Valor	Período de tratamento

7. APELAÇÃO**7.1. RECORRENTE**

() Autor () Estado () União () Município () Laboratório: _____

7.2. SENTENÇA RECORRIDA

Sentença recorrida: _____

Data do recurso: _____

7.3. REQUERIMENTO DE REFORMA

() Total () Parcial. Em que: _____

7.4. RAZÕES

() Reitera todos os fundamentos aduzidos em primeiro grau.

() Desenvolve melhor alguns dos argumentos aduzidos em primeiro grau.

Quais: _____

() Matéria de execução

() Bloqueio de valores () Multa () Outro: _____

7.5. CONTRA-RAZÕES () Sim () Não

() Reitera todos os fundamentos aduzidos em primeiro grau.

() Reitera alguns dos argumentos aduzidos em primeiro grau.

Quais: _____

() Traz argumentos novos aos aduzidos em primeiro grau

Quais: _____

() Matéria de execução

() Bloqueio de valores () Multa () Outro: _____

7.6. () ACÓRDÃO () DECISÃO MONOCRÁTICA

Data do julgamento: _____

Tribunal: _____ Turma ou Câmara: _____

Decisão: () provimento () desprovimento

() provimento parcial. Em quê? _____

Determinação:

() Obrigação de dar coisa: _____

() Obrigação de pagar quantia: _____

() anual () semestral () trimestral () mensal () outro: _____

Dispositivo reformado: () não () sim

() Qual decisão: _____

7.6.1. FUNDAMENTAÇÃO DO () VOTO VENCEDOR OU DA () DECISÃO MONOCRÁTICAAspectos médicos e de pesquisa:

() evidência

() laudos médicos

() participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado

() protocolos do Ministério da Saúde

() medicamento substituto

() outros: _____

Aspectos econômicos:

() custo-efetividade

() ética dos recursos escassos

() falta de previsão

() impacto no orçamento público.

Demonstração do impacto: () sim () não

() outros: _____

Problemas de gestão:

() dificuldade com controle de estoque

() dificuldade com licitação

() outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- () ausência de documentação (receita médica, etc.)
- () dignidade humana
- () direito à saúde
- () direito das crianças
- () discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
- () princípio da igualdade
- () reserva do possível/princípio da proporcionalidade
- () ilegitimidade passiva
- () chamamento de outro(s) ente(s):
- () revelia
- () outros: _____

7.6.2. ARGUMENTAÇÃO DO VOTO VENCIDOAspectos médicos e de pesquisa:

- () evidência
- () laudos médicos
- () participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado
- () protocolos do Ministério da Saúde
- () medicamento substituto
- () outros: _____

Aspectos econômicos:

- () custo-efetividade
- () ética dos recursos escassos
- () falta de previsão
- () impacto no orçamento público.
- Demonstração do impacto: () sim () não
- () outros: _____

Problemas de gestão:

- () dificuldade com controle de estoque
- () dificuldade com licitação
- () outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- () ausência de documentação (receita médica, etc.)
 () dignidade humana
 () direito à saúde
 () direito das crianças
 () discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
 () princípio da igualdade
 () reserva do possível/princípio da proporcionalidade
 () ilegitimidade passiva
 () chamamento de outro(s) ente(s):
 () revelia
 () outros: _____

8. () STJ - RECURSO ESPECIAL () STF – RECURSO EXTRAORDINÁRIO**8.1. RECORRENTE**

- () Autor () Estado () União () Município () Laboratório: _____

8.2. ACÓRDÃO RECORRIDO

Acórdão recorrido: _____

Data do recurso: _____

8.3. REQUERIMENTO DE REFORMA

- () Total () Parcial. Em que: _____

8.4. RAZÕES

- () Reitera todos os fundamentos aduzidos em primeiro grau.
 () Desenvolve melhor alguns dos argumentos aduzidos em primeiro grau.

Quais: _____

- () Matéria de execução

() Bloqueio de valores () Multa () Outro: _____

8.5. CONTRA-RAZÕES () Sim () Não

() Reitera todos os fundamentos aduzidos em primeiro grau.

() Reitera alguns dos argumentos aduzidos em primeiro grau.

Quais: _____

() Traz argumentos novos aos aduzidos em primeiro grau

Quais: _____

() Matéria de execução

() Bloqueio de valores () Multa () Outro: _____

8.6. () ACÓRDÃO () DECISÃO MONOCRÁTICA

Data do julgamento: _____

Tribunal: _____ Turma ou Câmara: _____

Decisão: () provimento () desprovimento

() provimento parcial. Em quê? _____

Determinação:

() Obrigação de dar coisa: _____

() Obrigação de pagar quantia: _____

() anual () semestral () trimestral () mensal () outro: _____
_____Dispositivo reformado: () não

() sim () Qual decisão: _____

8.6.1. ARGUMENTAÇÃO DO () VOTO VENCEDOR OU DA () DECISÃO MONOCRÁTICAAspectos médicos e de pesquisa:

() evidência

() laudos médicos

() participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado

() protocolos do Ministério da Saúde

() medicamento substituto

() outros: _____

Aspectos econômicos:

- custo-efetividade
- ética dos recursos escassos
- falta de previsão
- impacto no orçamento público.

Demonstração do impacto: sim não

outros: _____

Problemas de gestão:

- dificuldade com controle de estoque
- dificuldade com licitação
- outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- ausência de documentação (receita médica, etc.)
- dignidade humana
- direito à saúde
- direito das crianças
- discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
- princípio da igualdade
- reserva do possível/princípio da proporcionalidade
- ilegitimidade passiva
- chamamento de outro(s) ente(s):
- revelia
- outros: _____

8.6.2. ARGUMENTAÇÃO DO VOTO VENCIDOAspectos médicos e de pesquisa:

- evidência
- laudos médicos
- participação do demandante em protocolos de pesquisa envolvendo o medicamento solicitado
- protocolos do Ministério da Saúde
- medicamento substituto
- outros: _____

Aspectos econômicos:

- custo-efetividade
- ética dos recursos escassos
- falta de previsão
- impacto no orçamento público.

Demonstração do impacto: sim não

outros: _____

Problemas de gestão:

- dificuldade com controle de estoque
- dificuldade com licitação
- outros: _____

Aspectos legais e constitucionais:

- ausência de documentação (receita médica, etc.)
- dignidade humana
- direito à saúde
- direito das crianças
- discricionariedade da administração pública/princípio da separação dos poderes
- princípio da igualdade
- reserva do possível/princípio da proporcionalidade
- ilegitimidade passiva
- chamamento de outro(s) ente(s):
- revelia
- outros: _____

EXECUÇÃO DE SENTENÇA**Exequente:**

() Autor () Estado () Município

Data: _____

Argumentos:

() Reitera todos os fundamentos aduzidos em primeiro grau.

() Reitera alguns dos argumentos aduzidos em primeiro grau.

Quais: _____

() Traz argumentos novos aos aduzidos em primeiro grau

Quais: _____

Matéria da execução:

() Bloqueio de valores () Multa () Outro: _____

APÊNDICE III - FORMULÁRIO 2 - AVALIAÇÃO DOS PROCESSOS JUDICIAIS - EQUIPE MÉDICA

AVALIAÇÃO DOS PROCESSOS JUDICIAIS

ACESSO AO TRATAMENTO DA FENILCETONÚRIA POR VIA JUDICIAL NO RIO GRANDE DO SUL, BRASIL

Data de preenchimento: _____

Responsável: _____

Número processo: _____

Comentários gerais

1. Partes

1.1. Dados do autor

(se houver mais de um demandante, as informações abaixo deverão ser preenchidas para cada um dos demandantes; utilizar folhas anexas):

Número _____ (coloque “u” para único):

Código do demandante: _____

Idade no momento do ajuizamento:

0-2 anos 3-11 anos 12- 18 anos > ou = 19 anos

não informada

Sexo: masculino feminino

Estado Civil: casado solteiro viúvo divorciado N/A

Profissão: _____

Escolaridade: _____

Naturalidade (cidade/estado): _____

Domicílio atual (bairro/cidade/estado): _____

Peso do demandante no momento do ajuizamento é informado? Sim _____ kg
 Não

1.2. Dados do representante do autor. Sem representante

Código do representante do autor: _____

Grau de parentesco com demandante: _____

Sexo: masculino feminino

Estado Civil: casado solteiro viúvo divorciado N/A

Profissão: _____

Escolaridade: _____

Naturalidade (cidade/estado): _____

2. Petição Inicial

2.1. Geral

Solicitação: Fórmula para fenilcetonúria

Alimentos especiais: _____

outros (citar abaixo): _____

O produto solicitado é pedido:

na forma genérica

como marca comercial. Qual? _____

Se pedido como marca comercial, é indicado motivo?

Confirmação documental de doença Fenilcetonúria está anexada ao pedido?

Sim: Laudo/Declaração Exame (nível de fenilalanina no sangue)

Não

Quantidade de latas de fórmula solicitadas: _____

anual semestral mensal outro: _____

não informado

2.2. Prescrição

Data da primeira prescrição: _____

receituário SUS

receituário particular

não apresentou receita

Nível de Fenilalanina que levou à prescrição _____ (mg/dL)

Especialidade médico prescritor: _____

não informado

Prescrição: Fórmula para fenilcetonúria

Alimentos especiais: _____

outros _____

Justificativa clínica/médica da prescrição (se houver prescrição de mais de um produto, indicar a justificativa para cada um dos produtos; se necessário usar folha anexa):

risco de morte

melhora da qualidade de vida

aumento da sobrevida

ausência de outras formas de tratamento;

risco de desenvolvimento de retardo mental;

não informado

outros: _____

Prescrição vinculada à instituição universitária? () Sim () Não

A prescrição está adequada?

() sim

() não. Motivo:

() os níveis de fenilalanina não exigem tratamento, de acordo com o Ministério da Saúde

() a quantidade de fórmula solicitada não corresponde ao peso do paciente

() o tipo de fórmula solicitada não corresponde à idade do paciente

() não tem prescrição. Neste caso, preencher;

() não temos como afirmar, pois a seguinte variável não é informada:

() outro: _____

A quantidade solicitada está adequada?

() sim

() não. Motivo:

() os níveis de fenilalanina não exigem tratamento, de acordo com o Ministério da Saúde

() a quantidade de fórmula solicitada não corresponde ao peso do paciente

() o tipo de fórmula solicitada não corresponde à idade do paciente

() não temos como afirmar, pois a seguinte variável não é informada:

() outro: _____

10. ANEXOS

ANEXO I - APROVAÇÃO DO COMITÊ DE ÉTICA E PESQUISA DO HOSPITAL DE CLÍNICAS DE PORTO ALEGRE



HCPA - HOSPITAL DE CLÍNICAS DE PORTO ALEGRE
GRUPO DE PESQUISA E PÓS-GRADUAÇÃO
COMISSÃO CIENTÍFICA E COMISSÃO DE PESQUISA E ÉTICA EM SAÚDE

HCPA
25 JAN, 2010
Secretaria Executiva

À
Presidência do HCPA

Projeto: 09-258

Reg. CONEP:

CAAE: 0229.1.001.000-09

Título: ACESSO E ADESÃO AO TRATAMENTO DA FENILCETONÚRIA:
AVALIAÇÃO DA JUDICIALIZAÇÃO E DO IMPACTO MÉDICO E
SOCIOECONÔMICO PARA OS PACIENTES E SUAS FAMÍLIAS A PARA
O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE NO RIO GRANDE DO SUL

O presente projeto de pesquisa foi submetido e aprovado nos colegiados vinculados ao GPPG.

Pesquisador Responsável:
IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ

Porto Alegre, 25 de janeiro de 2010.

Profº José Roberto Goldim
GPPG/HCPA

ANEXO II - APROVAÇÃO DO COMITÊ DE ÉTICA E PESQUISA DO HOSPITAL MATERNO INFANTIL PRESIDENTE VARGAS



Prefeitura Municipal de Porto Alegre
Secretaria Municipal da Saúde
Hospital Materno Infantil Presidente Vargas



Porto Alegre, 06 de dezembro de 2010.

Ilmo (a) Sr. (a)
Paula Regla Vargas

Informamos que o projeto de pesquisa intitulado "Acesso e adesão ao tratamento da fenilcetonúria: avaliação da judicialização e do impacto médico e socioeconômico para os pacientes e suas famílias para o sistema único de saúde do Rio grande do Sul" do(a) pesquisador(a) **Paula Regla Vargas** protocolado neste CEP sob nº 38/10, foi **Aprovado**, pelo Comitê de Ética em Pesquisa do HMIPV, em 06/12/2010 estando ética e metodologicamente adequado às Diretrizes e Normas Regulamentadoras da Pesquisa envolvendo Seres Humanos - (Resolução 196/96) - do Conselho Nacional de Saúde.. Informamos que os autores deverão encaminhar relatórios semestrais sobre o andamento do projeto, bem como relatório final quando do término do mesmo.

Atenciosamente,


Dr Ygor Arzeno Ferrão
Presidente do Comitê de Ética em
Pesquisa/HMIPV

Av. Independência, 661 - Cep: 90035-076 - Porto Alegre-RS
Fone: (51) 3289.3000 - Fax: (51) 3226.9075