



PONTIFÍCIA UNIVERSIDADE CATÓLICA DE GOIÁS
ESCOLA DE DIREITO, NEGÓCIOS E COMUNICAÇÃO
NÚCLEO DE PRÁTICA JURÍDICA
COORDENAÇÃO ADJUNTA DE TRABALHO DE CONCLUSÃO DE CURSO
MONOGRAFIA JURÍDICA

DIREITO À SAÚDE E INOVAÇÃO TERAPÊUTICA
A JUDICIALIZAÇÃO DOS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS NO BRASIL

ORIENTANDO – HIURY INRI LISBOA LOPES
ORIENTADOR – PROFESSOR DR. GIL CÉSAR COSTA DE PAULA

GOIÂNIA-GO

2026

HIURY INRI LISBOA LOPES

DIREITO À SAÚDE E INOVAÇÃO TERAPÊUTICA
A JUDICIALIZAÇÃO DOS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS NO BRASIL

Monografia Jurídica apresentada à disciplina de Trabalho de Conclusão de Curso II, da Escola de Direito, Negócios e Comunicação da Pontifícia Universidade Católica de Goiás (PUC Goiás).

Professor Orientador: Dr. Gil César Costa de Paula

GOIÂNIA
2026

HIURY INRI LISBOA LOPES

DIREITO À SAÚDE E INOVAÇÃO TERAPÊUTICA
A JUDICIALIZAÇÃO DOS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS NO BRASIL

Data da Defesa: 20 de maio de 2026

BANCA EXAMINADORA

Orientador: Professor Dr. Gil César Costa de Paula

Nota

Examinador (a) Convidado (a): Prof. (a): Titulação e Nome Completo

Nota

RESUMO

O presente trabalho analisou a judicialização dos medicamentos experimentais no Brasil, com enfoque nos fundamentos jurídicos do direito à saúde, nos limites regulatórios impostos pela vigilância sanitária e nos impactos decorrentes da concessão judicial de tratamentos não registrados ou ainda não incorporados às políticas públicas. O estudo teve por objetivo examinar em que medida a judicialização se apresentou como instrumento de efetivação do direito fundamental à saúde, bem como identificar os conflitos existentes entre a proteção da vida, a segurança sanitária e a sustentabilidade do sistema público de saúde. Para tanto, adotou-se o método dedutivo, com abordagem qualitativa, caráter exploratório e pesquisa bibliográfico-documental, mediante análise de doutrina, legislação, documentos técnicos e jurisprudência, com destaque para o entendimento firmado pelo Supremo Tribunal Federal no Tema 500. Os resultados evidenciaram que a judicialização da saúde desempenhou papel relevante na garantia de prestações estatais em contextos de omissão ou insuficiência administrativa, mas também revelou riscos à equidade, à racionalidade distributiva e à autoridade técnico-científica da Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Constatou-se que o fornecimento de medicamentos experimentais não deveria ocorrer de forma ampla e irrestrita, mas apenas em hipóteses excepcionais, cercadas de critérios rigorosos e respaldo técnico qualificado. Concluiu-se que a efetivação do direito à saúde exigiu a construção de um modelo de equilíbrio entre a tutela individual e a preservação das políticas públicas, recomendando-se o fortalecimento de medidas administrativas mais acessíveis ao cidadão e o aperfeiçoamento do suporte técnico ao Poder Judiciário, especialmente por meio de estruturas como o NatJus, a fim de tornar as decisões mais seguras, eficientes e compatíveis com os princípios constitucionais que regem a matéria.

Palavras-chave: Políticas públicas; regulação sanitária; mínimo existencial; reserva do possível; equidade distributiva.

ABSTRACT

This study analyzed the judicialization of experimental drugs in Brazil, focusing on the legal foundations of the right to health, the regulatory limits imposed by health surveillance, and the impacts arising from court-ordered access to treatments that have not been registered or have not yet been incorporated into public policies. The study aimed to examine the extent to which judicialization has functioned as an instrument for implementing the fundamental right to health, as well as to identify the conflicts between the protection of life, health safety, and the sustainability of the public health system. To this end, the study adopted the deductive method, with a qualitative approach, exploratory nature, and bibliographic-documentary research, based on the analysis of legal scholarship, legislation, technical documents, and case law, with special emphasis on the understanding established by the Federal Supreme Court in Theme 500. The results showed that health judicialization played a relevant role in ensuring state assistance in contexts of omission or administrative insufficiency, but also revealed risks to equity, distributive rationality, and the technical-scientific authority of the National Health Surveillance Agency. It was found that the provision of experimental drugs should not occur broadly and without restriction, but only in exceptional situations, supported by strict criteria and qualified technical backing. The study concluded that the implementation of the right to health required the construction of a balanced model between individual protection and the preservation of public policies, recommending the strengthening of administrative measures that are more accessible to citizens and the improvement of technical support for the Judiciary, especially through structures such as NatJus, in order to make decisions safer, more efficient,

and more consistent with the constitutional principles governing the matter.

Keywords: Public policies; health regulation; minimum core of rights; limitation of available resources; distributive equity.

SUMÁRIO

INTRODUÇÃO	8
1. O DIREITO À SAÚDE E ORDENAMENTO JURÍDICO BRASILEIRO	11
1.1 O DIREITO À SAÚDE NAS CONSTITUIÇÕES BRASILEIRAS.....	11
1.2 O PAPEL DO SUS E DAS OPERADORAS DE PLANOS PRIVADOS.....	14
1.3 A REGULAÇÃO DA INOVAÇÃO TERAPÊUTICA E O PAPEL DA ANVISA...	17
2. A JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E OS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS	21
2.1 CONCEITO DE JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E SEUS IMPACTOS.....	21
2.2 JURISPRUDÊNCIA DO STF E DO STJ SOBRE O FORNECIMENTO JUDICIAL DE MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS E NÃO REGISTRADOS	24
2.2.1 Posicionamento geral do STF	25
2.2.2 Critérios jurisprudenciais para a concessão excepcional de medicamentos sem registro	26
2.2.3 A posição do STJ sobre tratamentos experimentais	27
2.2.4 Responsabilidade dos entes federativos e competência jurisdicional	28
2.2.5 Limites da atuação judicial e a preservação da política pública de saúde	29
2.3 ANÁLISE DO TEMA 500 DO STF, QUE DEFINE CRITÉRIOS PARA O FORNECIMENTO DE MEDICAMENTOS NÃO REGISTRADOS	30
3. DESAFIOS E CAMINHOS PARA A SUSTENTABILIDADE NA JUDICIALIZAÇÃO DOS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS.....	33
3.1 IMPACTOS ECONÔMICOS E SOCIAIS DA JUDICIALIZAÇÃO PARA O SUS, PLANOS DE SAÚDE E A COLETIVIDADE	33
3.2 RISCOS ÉTICOS E SANITÁRIOS NA LIBERAÇÃO JUDICIAL DE TRATAMENTOS NÃO REGULAMENTADOS	35
3.3 EQUIDADE E RESPOSTAS INSTITUCIONAIS À JUDICIALIZAÇÃO DOS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS	39
3.3.1 A tensão entre tutela individual e equidade distributiva no acesso à saúde	39
3.3.2 A necessidade de critérios técnicos para uma judicialização qualificada	41
3.3.3 Caminhos institucionais para reduzir a judicialização e fortalecer a regulação da inovação terapêutica	42

CONCLUSÃO.....	45
REFERÊNCIAS	47

INTRODUÇÃO

A efetivação do direito à saúde no Brasil tem se consolidado como um dos temas mais relevantes do constitucionalismo contemporâneo, especialmente diante dos desafios impostos pela crescente demanda por tratamentos médicos e pela limitação estrutural dos sistemas de saúde.

Nesse contexto, a judicialização da saúde se apresenta como um fenômeno recorrente, caracterizado pela busca, em juízo, de prestações de saúde não fornecidas administrativamente pelo Estado ou indeferidas por operadoras de planos privados. Tal movimento revela não apenas a centralidade do direito à saúde no ordenamento jurídico brasileiro, mas também as limitações administrativas, técnicas e orçamentárias que dificultam sua efetivação plena.

Entre as diversas formas de manifestação da judicialização, ganham destaque as demandas envolvendo medicamentos experimentais. Trata-se de situações particularmente sensíveis, nas quais pacientes pleiteiam o acesso a tratamentos ainda não aprovados pelas autoridades sanitárias ou em fase de desenvolvimento científico, geralmente em contextos de urgência terapêutica e ausência de alternativas eficazes.

Esses casos colocam em evidência um cenário de elevada complexidade jurídica. De um lado, encontram-se os direitos fundamentais à vida e à saúde; de outro, os limites da atuação judicial, os critérios técnico-científicos estabelecidos por órgãos reguladores e as restrições inerentes à organização das políticas públicas. É nesse ponto que se intensificam os debates sobre o papel do Judiciário na concretização de direitos sociais em contextos de escassez e incerteza científica.

Diante desse cenário, o presente trabalho tem como objetivo analisar a judicialização dos medicamentos experimentais no Brasil, investigando seus fundamentos jurídicos, seus limites regulatórios e os impactos decorrentes de sua concessão no âmbito do sistema de saúde.

A pesquisa parte da constatação de que a crescente intervenção do Poder Judiciário na área da saúde, especialmente em casos que envolvem tratamentos não registrados ou ainda em fase experimental, suscita questionamentos relevantes quanto à legitimidade e aos efeitos dessas decisões. Busca-se, assim, compreender em que medida a judicialização desses medicamentos se apresenta como instrumento de efetivação do direito fundamental à saúde, bem como identificar as tensões que se estabelecem entre a proteção da vida, a segurança sanitária e os limites da atuação estatal.

Além disso, a investigação também se volta à análise do posicionamento adotado pelos tribunais superiores, especialmente o Supremo Tribunal Federal (STF) e o Superior Tribunal

de Justiça (STJ), no enfrentamento dessas demandas. Procura-se, ainda, examinar os desafios decorrentes da ausência de regulamentação específica sobre o tema e os riscos jurídicos e éticos associados à concessão judicial de tratamentos ainda não plenamente validados pela comunidade científica.

Para o desenvolvimento da pesquisa, adota-se o método dedutivo, com abordagem qualitativa e caráter exploratório. A escolha por essa abordagem decorre da natureza do objeto investigado, que exige a compreensão crítica dos fundamentos jurídicos, regulatórios e éticos da judicialização dos medicamentos experimentais no Brasil.

A opção pela abordagem qualitativa justifica-se pelo fato de que o objetivo central do trabalho não consiste em mensurar estatisticamente o fenômeno da judicialização, mas em interpretar normas, decisões judiciais, posicionamentos doutrinários e documentos técnicos relacionados ao tema. Embora dados quantitativos secundários sejam utilizados pontualmente para contextualizar os impactos econômicos e sociais da judicialização, esses elementos exercem função acessória e ilustrativa, sem alterar a natureza predominantemente qualitativa da pesquisa.

A investigação estrutura-se como pesquisa bibliográfico-documental, com base na análise de fontes primárias e secundárias. As fontes foram selecionadas segundo critérios de pertinência temática, relevância jurídica, atualidade e autoridade institucional ou acadêmica, buscando-se reunir material diretamente relacionado à judicialização da saúde, à regulação sanitária e ao fornecimento de medicamentos experimentais.

Entre as fontes primárias, destacam-se a Constituição Federal de 1988, a legislação infraconstitucional pertinente, atos normativos e regulatórios da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), além de decisões judiciais do Supremo Tribunal Federal (STF) e do Superior Tribunal de Justiça (STJ) relacionadas ao objeto da pesquisa.

Entre as fontes secundárias, foram utilizadas obras doutrinárias, artigos científicos e documentos técnicos produzidos por instituições como o Conselho Nacional de Justiça (CNJ), o Instituto de Pesquisa Econômica Aplicada (Ipea) e outros órgãos com reconhecida atuação na área da saúde pública, do direito sanitário e da bioética. A seleção priorizou materiais capazes de oferecer sustentação teórica e técnica compatível com a complexidade do tema.

No que se refere ao recorte temporal, a pesquisa prioriza doutrina, documentos técnicos e produção acadêmica publicados entre 2008 e 2025, sem excluir obras anteriores de caráter teórico estruturante, quando indispensáveis à fundamentação conceitual do trabalho. Quanto à jurisprudência, o recorte abrange precedentes relevantes do STF e do STJ até o ano de 2025,

com especial atenção aos julgados mais recentes, por refletirem o estágio atual da evolução jurisprudencial sobre a matéria.

Tal delimitação se justifica pela natureza dinâmica do tema, marcado por constantes transformações normativas, regulatórias e decisórias, especialmente no campo da judicialização da saúde e da regulação da inovação terapêutica.

No que se refere à estrutura, o presente trabalho está dividido em três capítulos. No primeiro capítulo, examina-se o direito à saúde no ordenamento jurídico brasileiro, abordando sua formação histórica, sua consagração constitucional e a organização do Sistema Único de Saúde (SUS), bem como o papel das operadoras privadas e das agências reguladoras no processo de incorporação de tecnologias em saúde.

No segundo capítulo, analisa-se o fenômeno da judicialização da saúde, com enfoque específico nos medicamentos experimentais, discutindo seu conceito, seus impactos e o tratamento conferido pela jurisprudência dos tribunais superiores, com especial atenção ao Tema 500 do Supremo Tribunal Federal.

Por fim, no terceiro capítulo, são examinados os principais desafios decorrentes da judicialização dos medicamentos experimentais, especialmente sob as perspectivas econômica, social e sanitária, bem como possíveis caminhos para conciliar a efetivação do direito à saúde com a sustentabilidade das políticas públicas.

1. O DIREITO À SAÚDE E ORDENAMENTO JURÍDICO BRASILEIRO

1.1 O DIREITO À SAÚDE NAS CONSTITUIÇÕES BRASILEIRAS

O direito à saúde foi reconhecido internacionalmente em 1948, com a Declaração Universal dos Direitos Humanos, como parte essencial dos direitos fundamentais de todo ser humano. No Brasil, contudo, esse direito passou a ser assegurado apenas com a promulgação da Constituição da República Federativa do Brasil de 1988. Até então, a saúde era concebida como um "direito à assistência em saúde", limitado aos trabalhadores com vínculo formal no mercado de trabalho e a seus dependentes. Em outras palavras, apenas aqueles que contribuíam para a Previdência Social tinham acesso aos serviços de saúde garantidos pelo Estado.

Essa limitação excluía grande parte da população brasileira, que, por décadas, permaneceu sem acesso sistemático às ações de saúde pública. A maioria restava contar com a atuação das chamadas Casas de Misericórdia, instituições filantrópicas que ofereciam atendimento básico à população mais vulnerável, não como um direito, mas como um ato de caridade (Campos e Oliveira, 2014).

Desde os primeiros séculos do período colonial até a chegada da família real portuguesa ao Brasil, o cuidado com a saúde restringia-se ao saber empírico popular, como o curandeirismo, e ao uso de recursos naturais, como ervas, raízes e plantas medicinais. A escassez de profissionais qualificados na área da saúde era marcante tanto no Brasil colonial quanto no período imperial. Em 1746, por exemplo, todo o território que corresponde atualmente aos estados de São Paulo, Paraná, Mato Grosso, Mato Grosso do Sul e Goiás contava com apenas seis médicos formados em universidades europeias (Bertolli Filho, 2008).

Historicamente, a saúde pública no Brasil foi estruturada de forma a atender, prioritariamente, aos interesses político-econômicos dominantes. Desde a Proclamação da República, em 1889, até meados do século XX, as ações estatais no campo da saúde estiveram marcadamente voltadas a proteção de espaços estratégicos para o comércio exterior, como portos e centros urbanos.

O combate às epidemias, como a febre amarela e a peste, só ganhou protagonismo quando passou a comprometer o funcionamento da economia. A atuação do Estado era pontual, focada em campanhas de erradicação de doenças e medidas de saneamento em regiões que interessavam a exportação. O modelo sanitarista campanhista, consolidado com as iniciativas de Oswaldo Cruz e, posteriormente, com a reestruturação promovida por Carlos Chagas, passou a orientar a política pública de saúde, ainda que de forma limitada e desigual, mantendo

excluídas vastas parcelas da população que viviam fora dos grandes centros urbanos (Campos e Oliveira, 2014).

A crise econômica internacional de 1929 e a Revolução de 1930 marcaram o início de profundas transformações sociais, políticas e econômicas no Brasil, culminando no enfraquecimento da hegemonia agrário-exportadora e na consolidação de um projeto nacional de industrialização. Sob a liderança de Getúlio Vargas, o Estado Novo instituiu um modelo centralizador, que reconfigurou as instituições estatais e subordinou as políticas aos interesses do desenvolvimento econômico (Campos e Oliveira, 2014).

Nesse período, observa-se a implementação de políticas sanitárias com foco no controle de epidemias e doenças tropicais, porém com um viés seletivo e instrumental. A criação do Serviço Especial de Saúde Pública (SESP), em parceria com os Estados Unidos, exemplifica esse direcionamento: voltado à erradicação da febre amarela e da malária em regiões economicamente estratégicas, como a Amazônia e o Vale do Rio Doce, o SESP consolidou a saúde pública como suporte técnico à expansão industrial e ao esforço de guerra. Ainda assim, persistia a separação entre saúde pública, voltada ao controle coletivo de endemias, e assistência médica individual, concebida como benefício restrito aos trabalhadores formais, e não como direito universal de cidadania (Campos e Oliveira, 2014).

Com o advento do regime militar em 1964, o direito à saúde permaneceu sem reconhecimento expresso nas Constituições de 1967 e 1969. O atendimento estatal à saúde continuava voltado exclusivamente aos trabalhadores formais e seus dependentes, deixando à filantropia a responsabilidade pelo atendimento dos mais pobres. Ao longo da ditadura, a saúde foi compreendida como questão individual, o que favoreceu o setor privado e impulsionou o chamado “complexo médico-industrial” (Bertolli Filho, 2008).

Programas como a Superintendência de Campanhas de Saúde Pública (SUCAM), o Programa de Interiorização das Ações de Saúde e Saneamento (PIASS) e o Sistema Nacional de Saúde foram instituídos, entretanto, suas ações eram limitadas e fragmentadas. A precariedade do sistema levou, em 1979, a Organização Mundial da Saúde a classificar o Brasil como um dos países com maior número de doentes na América Latina (Campos e Oliveira, 2014).

O colapso do modelo previdenciário, somado à insatisfação social crescente, impulsionou iniciativas de reorganização do setor, como a criação do Conselho Nacional de Segurança Pública (CONASP) (1981) e das Ações Integradas de Saúde (AIS) em 1983. Com o fim do regime militar e a redemocratização do país, a 8ª Conferência Nacional de Saúde, realizada em 1986, foi um marco decisivo para a reforma sanitária. Ali se consolidou a

concepção da saúde como um direito humano fundamental e um dever do Estado. O relatório final da conferência defendia um modelo universal, igualitário e integrado, com atenção à promoção da saúde e às condições sociais básicas, como trabalho, moradia e educação. Essa mobilização foi essencial para a construção do que, dois anos depois, seria formalizado na Constituição de 1988: o Sistema Único de Saúde (SUS) (Carvalho e Pinto, 2011).

A promulgação da Constituição Federal de 1988 marcou uma mudança profunda na forma como o Estado brasileiro se comprometeu com o bem-estar da população. A saúde passou a ser reconhecida como um direito fundamental, garantido pelo Estado por meio de ações públicas voltadas à redução dos riscos à saúde e à promoção do acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação.

Esse conjunto de garantias está previsto no artigo 6º, que inclui a saúde entre os direitos sociais, e nos artigos 196 a 200, que estruturam o dever do Estado e os fundamentos da política pública de saúde no país. O artigo 196 é claro ao afirmar:

A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação. (Brasil, 1988, art. 196)

Dessa forma, o direito à saúde assegura ao cidadão a possibilidade de buscar, inclusive judicialmente, o acesso a medicamentos e tratamentos necessários à preservação de sua vida e integridade. Todavia, tal prerrogativa não se apresenta de forma absoluta, devendo ser analisada à luz de critérios jurídicos, técnicos e orçamentários que orientam a atuação estatal. Embora a Constituição Federal de 1988 estabeleça a saúde como direito de todos e dever do Estado, conforme previsto nos artigos 6º e 196, sua concretização envolve a formulação e execução de políticas públicas, bem como a observância de parâmetros definidos pelo sistema de saúde e pelos órgãos reguladores.

O Direito à saúde é classificado como um direito social de natureza prestacional, o que significa que sua efetivação depende de ações positivas por parte do Estado, como a disponibilização de medicamentos, a oferta de serviços médicos e hospitalares e o financiamento adequado do sistema público de saúde. Isso implica que a simples existência do direito no plano normativo não basta: ele precisa ser implementado por meio de políticas públicas eficazes e devidamente estruturadas (Schwartz e Bortolotto, 2008).

Apesar de estar assegurado pela Constituição, o direito à saúde enfrenta barreiras concretas para se efetivar plenamente. A população convive com problemas como a escassez

de recursos, filas de espera, desigualdades regionais e entraves administrativos, que dificultam o acesso integral e digno aos serviços de saúde.

Segundo Lessa e Dadalto (2021), a ineficácia persistente do sistema público de saúde tem provocado, ao longo dos anos, um aumento expressivo nas ações judiciais movidas por cidadãos em busca de medicamentos, cirurgias e tratamentos gratuitos, evidenciando que o ordenamento jurídico brasileiro não está adequadamente estruturado para lidar com o volume crescente de demandas.

Diante desse cenário, observa-se o fenômeno da judicialização da saúde, em que o Poder Judiciário passa a suprir lacunas do Poder Executivo na efetivação de políticas públicas de saúde, revelando um padrão de judicialização que, embora legítimo do ponto de vista constitucional, pode gerar tensões institucionais e consequências sistêmicas para a gestão da saúde. Essa realidade levanta debates sobre os limites da atuação judicial, os riscos à equidade do sistema e os impactos econômicos e éticos envolvidos, sobretudo em casos que envolvem medicamentos de alto custo ou ainda não aprovados pelas autoridades sanitárias (Wang, 2009).

Nesse sentido, asseveram Carvalho e Pinto (2011):

Fica evidente, a necessidade de participação popular para garantir as conquistas constitucionais. E, mais do que isso, para que essas conquistas tenham efeitos práticos na vida da população a vigilância do indivíduo e da sociedade como um todo tem que ser permanente. No presente momento, o SUS é uma realidade de construção constante que necessita da politização dos cidadãos (Carvalho e Pinto, 2011, p. 19).

1.2 O PAPEL DO SUS E DAS OPERADORAS DE PLANOS PRIVADOS

A promulgação da Constituição Federal de 1988 foi determinante para a estruturação do SUS, concebido como um sistema público universal, igualitário e descentralizado. O SUS passou a ser o principal instrumento de efetivação do direito à saúde no Brasil, com o objetivo de garantir acesso integral aos serviços de promoção, proteção e recuperação da saúde para toda a população, independentemente de condição socioeconômica.

Organizado de forma tripartite, o SUS é gerido de maneira articulada pela União, pelos Estados e pelos Municípios, sendo financiado por recursos orçamentários provenientes das três esferas de governo. Essa organização garante uma gestão compartilhada e descentralizada, com responsabilidades definidas para cada nível de governo na formulação, execução e fiscalização das políticas de saúde.

A atuação do SUS se estende por uma ampla gama de serviços que abrangem desde a atenção básica, porta de entrada preferencial do sistema, voltada para a prevenção de doenças,

acompanhamento de condições crônicas e promoção da saúde, até os níveis de média e alta complexidade, que envolvem atendimentos especializados, internações hospitalares, cirurgias, exames de alto custo e tratamentos oncológicos. Além disso, o sistema também é responsável por campanhas de vacinação em larga escala, vigilância epidemiológica e sanitária, fiscalização de ambientes e produtos, fornecimento gratuito de medicamentos essenciais e ações educativas voltadas à promoção da saúde e prevenção de riscos.

Essa estrutura encontra respaldo na Lei nº 8.080/1990, que regulamenta o funcionamento do SUS. A norma define princípios, diretrizes, atribuições das esferas de governo, formas de financiamento e a participação complementar dos serviços privados de saúde, além de dispor sobre os recursos humanos, planejamento, gestão financeira e disposições transitórias (Brasil, 1990).

Os princípios do SUS estão organizados em dois grupos principais: os princípios doutrinários, que asseguram sua identidade e objetivos, e os princípios organizativos, que orientam a forma como os serviços são prestados e distribuídos no território nacional. Ambos são essenciais para assegurar que os direitos constitucionais se transformem em políticas públicas efetivas (Gonçalves, 2014).

No que se refere aos princípios doutrinários, destacam-se a universalidade, a integralidade e a equidade. A universalidade prevê o acesso universal e igualitário a todos os cidadãos, garantindo que o SUS seja gratuito e acessível a qualquer pessoa que dele necessite, independentemente de contribuição previdenciária. A integralidade, por sua vez, estabelece que o sistema deve prover um conjunto articulado de ações voltadas à promoção da saúde, à prevenção de riscos e agravos, à assistência e à recuperação, de modo que o cuidado não se restrinja ao indivíduo isoladamente, mas considere também a coletividade em que está inserido. Já a equidade orienta o oferecimento de condições diferenciadas de atendimento, reconhecendo que as condições econômicas, sociais e de saúde são desiguais, razão pela qual se faz necessário direcionar maior atenção e recursos àqueles que se encontram em situação de maior vulnerabilidade (Gonçalves, 2014).

Quanto aos princípios organizativos, estes se referem aos meios utilizados para atingir os fins determinados pelos princípios doutrinários, estando relacionados à forma de organização e funcionamento do sistema de saúde (Carvalho, 2007 *apud* Gonçalves, 2014). Nesse sentido, destacam-se a regionalização e hierarquização, bem como a participação social. A regionalização e hierarquização dizem respeito à organização dos serviços de saúde em uma base territorial definida, levando em consideração a divisão político-administrativa do país e a necessidade de estruturação de redes de atenção. Essa organização permite a articulação entre

unidades de diferentes níveis de complexidade, por meio de sistemas de referência e contrarreferência, garantindo maior eficiência na prestação dos serviços.

A participação social, por sua vez, assegura a presença da comunidade na formulação, acompanhamento e fiscalização das políticas de saúde, por meio dos Conselhos e das Conferências de Saúde, compostos por representantes dos usuários, gestores e trabalhadores. Essa diretriz encontra respaldo no artigo 198 da Constituição Federal e na Lei nº 8.142/1990, sendo essencial para a democratização da gestão do sistema e para a adequação das políticas públicas às necessidades reais da população (Gonçalves, 2014).

Apesar de seus avanços, o SUS enfrenta desafios persistentes. O subfinanciamento crônico, a desigual distribuição de serviços e profissionais entre as regiões, a morosidade burocrática e os processos de judicialização da saúde comprometem sua plena efetivação. Ainda assim, o sistema representa uma das maiores conquistas sociais do país, sendo responsável pelo atendimento da maioria da população brasileira.

Paralelamente, coexistem no Brasil as operadoras de planos privados de saúde, que atuam de maneira complementar ao SUS, conforme previsto no artigo 199 da Constituição Federal. Essas operadoras são acessíveis, majoritariamente, às camadas da população com maior poder aquisitivo, promovendo um sistema de acesso seletivo. Embora desempenhem papel relevante na desconcentração da demanda do sistema público, os planos privados são frequentemente criticados por práticas como seleção de riscos, negativas de cobertura e longos períodos de carência.

A atuação das operadoras privadas é regulada pela Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS), responsável por estabelecer padrões de cobertura, fiscalização, reajustes e relação com os usuários. Contudo, mesmo com regulação, observa-se um fenômeno crescente de judicialização também nesse setor, revelando falhas na proteção efetiva do consumidor de planos de saúde.

Portanto, embora o sistema privado complemente a prestação de serviços de saúde no Brasil, é o SUS que representa a espinha dorsal da garantia do direito à saúde. O fortalecimento do sistema público, por meio de financiamento adequado, gestão eficiente e participação social ativa, é condição essencial para a efetivação do direito à saúde como previsto na Constituição de 1988.

1.3 A REGULAÇÃO DA INOVAÇÃO TERAPÊUTICA E O PAPEL DA ANVISA

A constante evolução científica e tecnológica no campo da saúde tem permitido o desenvolvimento de novas abordagens terapêuticas, capazes de tratar doenças antes consideradas incuráveis ou sem alternativas eficazes. Neste contexto, a inovação terapêutica refere-se à introdução de novos medicamentos, produtos biológicos, terapias gênicas e celulares, bem como a reformulações significativas de tratamentos já existentes, visando a melhoria dos resultados clínicos, a ampliação do acesso e a redução de efeitos adversos. Tais inovações podem ser classificadas como incrementais, quando aprimoram tecnologias já disponíveis, ou radicais, quando representam uma ruptura com os tratamentos convencionais existentes (Anvisa, 2020).

No entanto, o processo de incorporação dessas inovações aos sistemas de saúde exige critérios técnicos, éticos e econômicos rigorosos, tendo em vista que muitos desses tratamentos envolvem custos elevados, riscos clínicos ainda não totalmente conhecidos e limitações de evidência científica. É nesse cenário que se insere a atuação das agências reguladoras de saúde, responsáveis por estabelecer parâmetros de avaliação e controle para garantir a segurança sanitária da população.

No Brasil, a regulação dos medicamentos e das tecnologias em saúde é atribuída à Anvisa, criada pela Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999, como uma autarquia sob regime especial, dotada de independência administrativa e autonomia financeira e decisória. A Anvisa tem como função principal proteger a saúde da população por meio do controle sanitário da produção, comercialização e uso de produtos sujeitos à vigilância sanitária, o que inclui medicamentos, equipamentos médicos, alimentos, cosméticos e produtos biológicos (Brasil, 1999).

É imperativo distinguir a regulação de mercado, exercida pela Anvisa, da regulação de assistência, de competência da Conitec. Enquanto o registro sanitário na Anvisa atesta a segurança e a eficácia de um fármaco para sua comercialização no território nacional, a incorporação ao SUS exige uma análise de 'macrojustiça', pautada na Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS). Nesse processo, a Conitec examina não apenas o benefício clínico individual, mas a relação de custo-efetividade e o impacto orçamentário frente às limitações do sistema público. A judicialização, portanto, frequentemente emerge não pela inexistência de registro, mas pela negativa de incorporação administrativa baseada em critérios de sustentabilidade financeira, tensionando a garantia do acesso integral (Vieira, 2020).

Complementarmente a esse fluxo de avaliação, o fornecimento de medicamentos essenciais é orientado pela Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename), instituída oficialmente pela Portaria nº 233/1975 do então Ministério da Previdência e Assistência Social. A responsabilidade pela proposta de atualização da Rename cabe à Conitec no SUS, que atua como órgão de assessoramento técnico ao Ministério da Saúde Conforme o Decreto nº 7.646/2011, posteriormente alterado pelo Decreto nº 11.161/2022, compete à Conitec assessorar o Ministério da Saúde na incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde no SUS (Brasil, 2011; Brasil 2022).

No que se refere especificamente à inovação terapêutica, a Anvisa é responsável por autorizar pesquisas clínicas em território nacional, aprovar novos medicamentos e conceder registros sanitários com base na comprovação da segurança, eficácia e qualidade dos produtos. Esses requisitos são aferidos com base em evidências científicas obtidas em estudos clínicos conduzidos conforme as diretrizes internacionais de Boas Práticas Clínicas (GCP), adotadas pela Organização Mundial da Saúde (OMS) e incorporadas ao ordenamento jurídico brasileiro.

Além dos registros sanitários regulares, a Anvisa também regula o uso compassivo e o acesso expandido a medicamentos que ainda estão em fase de desenvolvimento, mas que podem ser utilizados em situações excepcionais, geralmente para pacientes com doenças graves ou raras, que não respondem às terapias convencionais. O acesso compassivo está disciplinado pela Resolução RDC nº 38/2013 e pela RDC nº 205/2017, esta última voltada especificamente às terapias avançadas e medicamentos destinados a doenças raras (Brasil, 2017).

A existência dessas vias regulatórias demonstra o esforço institucional para equilibrar o direito à saúde com a proteção da saúde pública, ao mesmo tempo em que permite a introdução responsável de terapias inovadoras no território nacional. No entanto, como se discutirá nos tópicos seguintes, a atuação da Anvisa muitas vezes é tensionada por decisões judiciais que autorizam o fornecimento de medicamentos ainda não registrados, criando um campo de conflito entre regulação técnica e tutela jurisdicional de direitos fundamentais.

No âmbito das políticas públicas de saúde, a incorporação de novas tecnologias ao SUS é realizada por meio de um processo técnico-administrativo coordenado pela Conitec, instituída pela Lei nº 12.401/2011. A Conitec é responsável por elaborar pareceres sobre a inclusão, alteração ou exclusão de medicamentos, produtos e procedimentos no âmbito do SUS, bem como pela elaboração ou revisão de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (Oliveira, 2023).

A avaliação das tecnologias em saúde realizada pela Conitec se baseia em critérios de eficácia, segurança, impacto orçamentário e custo-efetividade, conforme diretrizes

metodológicas estabelecidas pelo próprio Ministério da Saúde. O processo é pautado pela análise crítica de evidências científicas e por uma consulta pública que busca promover a transparência e a participação social. Apesar de sua importância, esse processo pode ser demorado, o que gera impasses para pacientes que necessitam de tratamentos urgentes ou que se encontram em situações clínicas para as quais não há alternativas terapêuticas eficazes disponíveis no SUS (Oliveira, 2023).

A partir desse quadro, as lacunas temporais e procedimentais têm contribuído para o aumento das ações judiciais que pleiteiam o acesso a medicamentos ainda não incorporados, tensionando o sistema regulatório e desafiando os critérios técnicos de priorização adotados pelo poder público.

Embora a Anvisa possua competência legal para regulamentar o uso de medicamentos no país, inclusive estabelecendo exigências para o registro e controle sanitário, sua autoridade técnica tem sido relativizada por decisões judiciais que autorizam, em caráter liminar, o fornecimento de medicamentos não registrados no Brasil.

O STF, ao julgar o Tema 500 (RE 657.718/MG), estabeleceu entendimento de que o Estado pode, em caráter excepcional, ser compelido a fornecer medicamentos sem registro na Anvisa, desde que preenchidos determinados requisitos: (I) inexistência de alternativa terapêutica no Brasil; (II) registro do medicamento em agências sanitárias de renome internacional; e (III) atuação do solicitante de boa-fé. Sob essa perspectiva, a decisão acabou por legitimar a possibilidade de flexibilização do processo regulatório, criando margem para a atuação judicial em campos de alta complexidade técnica.

À luz dessas premissas, essa flexibilização gera impactos importantes: de um lado, possibilita o acesso urgente a medicamentos que podem ser a única esperança de tratamento para pacientes em situações críticas; de outro, enfraquece a função reguladora da Anvisa, colocando em risco os critérios de segurança e eficácia exigidos para proteção da saúde pública.

A regulação da inovação terapêutica no Brasil representa um esforço institucional para equilibrar o avanço científico com a proteção da saúde pública, observando critérios técnicos, éticos e econômicos. A atuação da Anvisa, assim como da Conitec, busca garantir que o acesso a novos tratamentos ocorra de maneira segura, eficaz e financeiramente viável, respeitando os princípios constitucionais do SUS.

Neste cenário, torna-se essencial refletir sobre formas de aprimorar a articulação entre regulação sanitária e efetivação do direito à saúde, promovendo um equilíbrio entre o avanço terapêutico, a segurança coletiva e a racionalidade na alocação de recursos públicos.

Nesse quadro, a tensão entre a necessidade de garantir acesso a tratamentos inovadores e os limites regulatórios e financeiros do sistema público de saúde tem impulsionado o fenômeno da judicialização da saúde no Brasil. Nesse contexto, o Poder Judiciário passou a desempenhar papel relevante na definição do acesso a medicamentos e tecnologias ainda não incorporadas ao sistema, o que levanta debates jurídicos importantes acerca dos limites da atuação judicial, da reserva do possível e da garantia do mínimo existencial.

2. A JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E OS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS

2.1 CONCEITO DE JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE E SEUS IMPACTOS

A crescente busca pelo Poder Judiciário como meio de garantir o acesso a tratamentos médicos e medicamentos tem dado origem ao fenômeno conhecido como judicialização da saúde. Esse processo ocorre quando indivíduos recorrem ao Poder Judiciário para obter prestações de saúde que não foram fornecidas pelo Estado ou por operadoras de planos privados, seja por limitações administrativas, ausência de incorporação de determinadas tecnologias ao sistema público ou restrições de cobertura contratual. No Brasil, a judicialização se consolidou como um mecanismo relevante de efetivação do direito à saúde, sobretudo após o reconhecimento constitucional desse direito como fundamental pela Constituição de 1988.

Nesse contexto, o Poder Judiciário passou a desempenhar papel relevante na concretização de prestações de saúde individualizadas, frequentemente determinando o fornecimento de medicamentos, tratamentos ou procedimentos médicos não disponibilizados pelo SUS. A atuação judicial fundamenta-se, em grande medida, na compreensão de que o direito à saúde está diretamente relacionado à proteção da vida e da dignidade da pessoa humana, valores centrais do ordenamento constitucional brasileiro. Assim, quando há risco concreto à saúde ou à vida do indivíduo, a intervenção judicial tende a privilegiar a garantia do direito fundamental, mesmo diante de argumentos estatais relacionados a limitações orçamentárias.

A discussão acerca dos impactos financeiros dessas decisões é frequentemente apresentada pelo Estado com base no princípio da reserva do possível, segundo o qual a efetivação de direitos sociais estaria condicionada à disponibilidade de recursos públicos. Contudo, parte significativa da doutrina constitucional sustenta que tal argumento não pode ser invocado de forma genérica para afastar a proteção de direitos fundamentais, especialmente quando relacionados ao mínimo existencial e à preservação da vida. Nesse contexto, a judicialização da saúde se apresenta como resposta às falhas estruturais das políticas públicas, ainda que suscite debates sobre seus efeitos na gestão orçamentária e na organização do sistema sanitário.

Segundo Sarlet e Figueiredo (2008), a reserva do possível não pode ser invocada de forma genérica para impedir a concretização do mínimo existencial, especialmente quando estão em jogo prestações fundamentais relacionadas à saúde e à própria preservação da vida.

Sob essa perspectiva, a judicialização da saúde emerge como uma resposta institucional às falhas estruturais na implementação das políticas públicas sanitárias. Embora o fenômeno

suscite debates acerca de seus impactos sobre o orçamento público e a gestão do sistema de saúde, parte significativa da doutrina sustenta que a intervenção judicial se legitima quando destinada à proteção de direitos fundamentais indispensáveis à sobrevivência e à dignidade humana.

Nesse sentido, Wang (2009) destaca que a atuação do Judiciário passa a representar um instrumento de garantia do mínimo existencial em matéria de saúde, especialmente em situações nas quais a ausência de tratamento adequado pode comprometer de maneira irreversível a vida ou a integridade do paciente.

Vieira (2020) observa que o direito à saúde ganhou grande relevância no debate público nas últimas décadas justamente em razão do aumento do acionamento do Poder Judiciário por cidadãos que buscam garantir acesso a bens e serviços de saúde não fornecidos pelo Estado

A ampliação dessas demandas judiciais evidencia tanto a centralidade do direito à saúde no ordenamento constitucional brasileiro quanto as dificuldades estruturais enfrentadas pelo sistema público de saúde para assegurar plenamente esse direito. Ainda segundo Vieira, embora o SUS represente um avanço significativo na universalização do acesso aos serviços de saúde, persistem desigualdades e limitações na oferta de tecnologias e tratamentos, o que frequentemente leva os indivíduos a recorrerem ao Judiciário como mecanismo de garantia de seus direitos fundamentais.

A partir dessas constatações, a judicialização passa a funcionar como instrumento de concretização do direito à saúde quando as políticas públicas existentes não conseguem atender adequadamente às necessidades da população. A atuação judicial, nesses casos, busca assegurar que o Estado cumpra os deveres constitucionais estabelecidos no artigo 196 da Constituição Federal, garantindo o acesso às ações e serviços necessários à preservação da saúde e da vida.

A expressão “medicamento experimental” deve ser empregada com cautela no âmbito da judicialização da saúde, pois não se confunde, de forma automática, com outras categorias jurídico-sanitárias, como medicamento sem registro na Anvisa, medicamento não incorporado ao SUS ou tratamento utilizado em caráter excepcional. Essa distinção é relevante porque o próprio Supremo Tribunal Federal, ao julgar o Tema 500, diferenciou a vedação ao fornecimento de medicamentos experimentais da possibilidade excepcional de concessão judicial de medicamentos sem registro sanitário, desde que preenchidos requisitos específicos. Assim, a correta delimitação conceitual do termo constitui etapa indispensável para a análise jurídica do problema proposto neste trabalho (STF, 2019).

Em sentido técnico, considera-se experimental o medicamento ou tratamento que ainda se encontra em fase de pesquisa e experimentação, sem ter concluído de forma satisfatória as

etapas necessárias à demonstração de segurança e eficácia para uso regular. Conforme expõem Moreira, Capanema e Rabello (2010), o desenvolvimento de um novo medicamento passa por etapas pré-clínicas e clínicas sucessivas, de modo que, antes da aprovação nas fases exigidas para sua liberação, ele permanece em condição experimental. A atual disciplina das pesquisas com seres humanos reforça essa compreensão ao submeter tais estudos a parâmetros éticos e científicos próprios, demonstrando que a condição experimental está ligada, antes de tudo, ao estágio de desenvolvimento da tecnologia em investigação (Moreira; Capanema; Rabello, 2010; Brasil, 2024; Brasil, 2025).

Não se deve confundir, porém, medicamento experimental com medicamento sem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Embora as duas categorias possam coincidir em determinados casos, elas não são necessariamente equivalentes. O registro sanitário constitui o ato administrativo por meio do qual a Anvisa reconhece, a partir de critérios técnico-científicos, que determinado produto apresenta condições mínimas de segurança, eficácia e qualidade para ser colocado em circulação regular no país. Por isso, a ausência de registro representa, em regra, obstáculo jurídico relevante à sua comercialização e ao seu fornecimento, mas isso não significa que todo medicamento sem registro seja experimental no mesmo sentido em que o é um produto ainda em fase de pesquisa clínica (Fagundes; Chiappa, 2010).

Também é necessário distinguir o medicamento experimental das hipóteses reguladas de acesso excepcional a produtos ainda não registrados. A Resolução RDC nº 38/2013 da Anvisa disciplina programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo, todos destinados a situações específicas e submetidos a controle regulatório. Nessas hipóteses, o acesso ao medicamento em desenvolvimento não decorre de liberalidade irrestrita, mas de vias administrativas excepcionais, voltadas a pacientes com doenças graves, debilitantes ou ameaçadoras da vida, sem alternativa terapêutica satisfatória no país. Isso demonstra que o ordenamento sanitário brasileiro não ignora situações extremas, mas procura tratá-las dentro de marcos regulatórios próprios, distintos da simples judicialização de terapias incertas (Anvisa, 2013).

De igual modo, não se pode equiparar medicamento experimental a medicamento não incorporado ao Sistema Único de Saúde. A incorporação de tecnologias ao SUS obedece a lógica distinta da pesquisa clínica e do registro sanitário. Enquanto a Anvisa analisa a segurança, a eficácia e a qualidade para fins de autorização de uso e comercialização, a Conitec examina se a tecnologia deve ou não ser adotada no SUS à luz de critérios de efetividade, impacto orçamentário, comparação com alternativas já existentes e relevância para a política

pública. Assim, um medicamento pode estar regularmente registrado na Anvisa e, ainda assim, não ter sido incorporado ao SUS, sem que isso o torne experimental (Brasil, 2022).

Essa diferenciação conceitual é fundamental para o desenvolvimento deste trabalho, porque a judicialização dos medicamentos experimentais não pode ser tratada com categorias imprecisas. Ao contrário, é necessário identificar se a demanda envolve produto ainda em pesquisa, medicamento sem registro sanitário, terapia submetida a uso compassivo ou tecnologia já registrada, mas não incorporada à política pública. Somente a partir dessa distinção se torna possível compreender com maior rigor os limites da atuação judicial, o alcance da regulação sanitária e os parâmetros fixados pela jurisprudência constitucional brasileira, especialmente no julgamento do Tema 500 (STF, 2019; Anvisa, 2013; Brasil, 2022).

A análise dessas demandas exige uma ponderação entre a segurança sanitária e a urgência terapêutica, especialmente quando inexistem alternativas eficazes disponíveis no sistema público de saúde. Nesse contexto, a discussão acerca do fornecimento de medicamentos experimentais ganha destaque no debate jurídico contemporâneo, revelando novos desafios para a efetivação do direito à saúde e para a definição dos limites da atuação judicial na concretização das políticas públicas sanitárias.

2.2 JURISPRUDÊNCIA DO STF E DO STJ SOBRE O FORNECIMENTO JUDICIAL DE MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS E NÃO REGISTRADOS

A análise da jurisprudência dos tribunais superiores revela-se essencial para a compreensão dos contornos jurídicos da judicialização da saúde no Brasil, especialmente no que se refere ao fornecimento judicial de medicamentos sem registro sanitário e, em sentido mais restrito, de tratamentos qualificados como experimentais.

Nesse contexto, a atuação jurisdicional não se limita à simples aplicação do direito positivo, mas envolve a ponderação entre valores constitucionais relevantes, como o direito à vida, a dignidade da pessoa humana, a segurança sanitária e a organização das políticas públicas de saúde. A jurisprudência, portanto, assume função estruturante, contribuindo para a construção de parâmetros decisórios que orientam magistrados em todo o país.

A seguir, serão analisados entendimentos firmados pelo STF e pelo STJ, com destaque para os critérios adotados na concessão de medicamentos experimentais, as hipóteses de excepcionalidade admitidas e os limites impostos pela própria jurisprudência à atuação judicial nesse campo.

2.2.1 Posicionamento geral do STF

O STF tem consolidado entendimento no sentido de que o fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa não constitui regra no ordenamento jurídico brasileiro, sendo, em princípio, vedado. Essa orientação decorre da necessidade de preservação da segurança sanitária e do respeito aos critérios técnico-científicos estabelecidos pelas autoridades reguladoras.

Tal compreensão foi firmada no julgamento do Recurso Extraordinário nº 657.718 (Tema 500 da repercussão geral), no qual a Corte estabeleceu que o Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais ou não registrados na Anvisa, ressalvadas hipóteses excepcionais. Esse entendimento vem sendo reiterado em decisões mais recentes, demonstrando a consolidação de uma linha jurisprudencial restritiva quanto à concessão indiscriminada desses tratamentos.

Nesse sentido, no julgamento do RE 1493040 AgR, de relatoria do Ministro Flávio Dino, a Primeira Turma do STF reafirmou que as ações que envolvem o fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa devem observar os parâmetros fixados no Tema 500, inclusive no que se refere à necessidade de inclusão da União no polo passivo, em razão de sua competência constitucional para o controle sanitário (STF, RE 1493040 AgR, 2025).

De forma semelhante, na Rcl 73160 AgR, sob relatoria do Ministro Alexandre de Moraes, a Corte destacou que a análise dessas demandas deve considerar a classificação dos medicamentos não incorporados às políticas públicas de saúde, abrangendo, entre outros, aqueles sem registro na Anvisa ou utilizados fora das indicações aprovadas, reforçando a centralidade dos critérios técnicos na definição do acesso a tais tratamentos (STF, Rcl 73160 AgR, 2025).

Não obstante essa orientação geral restritiva, o STF tem admitido a flexibilização desse entendimento em situações excepcionais, especialmente quando presentes circunstâncias que evidenciem risco à vida e ausência de alternativas terapêuticas eficazes. Nesse contexto, ganha relevância a ponderação entre a proteção da saúde individual e os limites impostos pela regulação sanitária.

Essa perspectiva pode ser observada no julgamento da Rcl 72876 AgR, relatada pelo Ministro Luiz Fux, em que se reconheceu a possibilidade excepcional de fornecimento de terapia gênica destinada ao tratamento de doença rara, considerando a premência do direito à vida e as especificidades do caso concreto (STF, Rcl 72876 AgR, 2025).

De maneira ainda mais detalhada, na Rcl 68709 MC-Ref, de relatoria do Ministro Gilmar Mendes, o Tribunal Pleno reafirmou os critérios estabelecidos no Tema 500, ao mesmo tempo em que reconheceu a possibilidade de concessão do medicamento em caráter excepcional, desde que preenchidos requisitos como a inexistência de alternativa terapêutica, o registro em agências reguladoras estrangeiras de renome e a demonstração da necessidade clínica do tratamento (STF, Rcl 68709 MC-Ref, 2025).

Por fim, no ARE 1490639 ED-ED-AgR, também sob relatoria do Ministro Flávio Dino, o STF reafirmou que, embora a regra geral seja a vedação ao fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa, é possível admitir exceções quando demonstrados os requisitos jurisprudencialmente estabelecidos, além de reforçar a responsabilidade solidária dos entes federados na prestação do direito à saúde (STF, ARE 1490639 ED-ED-AgR, 2025).

Nesse quadro jurisprudencial, observa-se que a jurisprudência do STF se estrutura a partir de uma regra geral restritiva, fundada na proteção da segurança sanitária, mas admite flexibilizações pontuais diante de situações excepcionais, especialmente quando estão em jogo direitos fundamentais como a vida e a dignidade da pessoa humana. Trata-se, portanto, de um modelo decisório baseado na ponderação entre valores constitucionais, no qual a atuação judicial busca equilibrar a proteção individual com a racionalidade das políticas públicas de saúde.

2.2.2 Critérios jurisprudenciais para a concessão excepcional de medicamentos sem registro

A partir da consolidação do entendimento firmado no Tema 500 da repercussão geral, o STF estabeleceu critérios objetivos para a admissibilidade excepcional do fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa. Cumpre destacar que tais critérios dizem respeito à concessão excepcional de medicamentos não registrados, não afastando a vedação geral ao fornecimento de medicamentos experimentais em sentido estrito, tal como delimitado pelo próprio Supremo Tribunal Federal no Tema 500. Tais parâmetros visam conferir maior racionalidade e segurança jurídica às decisões judiciais, evitando a concessão indiscriminada de tratamentos desprovidos de comprovação científica adequada.

Nesse sentido, conforme destacado por Santos (2019), em estudo sobre os critérios fixados pelo STF no Tema 500 da repercussão geral, a Corte fixou que a concessão judicial de medicamentos não registrados somente é possível quando preenchidos, cumulativamente, três requisitos: (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (ressalvados os casos

de medicamentos órfãos destinados a doenças raras); (ii) a comprovação de registro do fármaco em agências reguladoras estrangeiras de reconhecida credibilidade; e (iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no país.

A exigência desses critérios revela a preocupação do Tribunal em equilibrar o direito fundamental à saúde com a necessidade de preservação da segurança sanitária, reconhecendo que o registro na Anvisa constitui instrumento essencial de controle técnico-científico sobre a eficácia e segurança dos medicamentos (Delduque e Lyra, 2009).

Além disso, a jurisprudência tem enfatizado que a mera prescrição médica não é suficiente para justificar o fornecimento do medicamento, sendo imprescindível a demonstração da necessidade do tratamento e da inexistência de alternativa terapêutica disponível no âmbito do SUS. Tal entendimento está alinhado aos critérios fixados pelo STF no Tema 500, que condicionam a concessão excepcional à observância de requisitos técnicos e científicos (Santos, 2019).

Dessa forma, observa-se que o STF, ao estabelecer tais requisitos, procurou limitar a atuação judicial a hipóteses verdadeiramente excepcionais, preservando a lógica regulatória do sistema sanitário brasileiro e evitando a banalização da judicialização da saúde.

2.2.3 A posição do STJ sobre tratamentos experimentais

No âmbito infraconstitucional, o STJ também desempenha papel relevante na consolidação de critérios para o fornecimento de tratamentos de saúde, especialmente no que se refere à delimitação do conceito de medicamento ou procedimento experimental. Diferentemente do STF, cuja atuação se concentra na definição de parâmetros constitucionais, o STJ tem se dedicado à análise da cobertura de tratamentos no âmbito dos planos de saúde e à interpretação da legislação infraconstitucional, especialmente a Lei nº 9.656/1998.

Nesse contexto, a Corte tem adotado postura criteriosa ao afastar a natureza experimental de determinados tratamentos quando comprovada sua eficácia e reconhecimento por órgãos técnicos competentes. Exemplo disso é o julgamento do REsp nº 2.108.440/GO, de relatoria da Ministra Nancy Andrighi, no qual se entendeu que a terapia pelo método *Pediasuit* não poderia ser considerada experimental, em razão de seu reconhecimento por conselhos profissionais e da existência de registro na Anvisa.

Tal entendimento evidencia que a caracterização de um tratamento como experimental não depende apenas da ausência de previsão em protocolos oficiais, mas exige análise técnica mais aprofundada acerca de sua eficácia e aceitação pela comunidade científica.

Segundo Santos (2019), a definição de experimentalidade deve observar critérios objetivos estabelecidos pelas autoridades sanitárias e pelos conselhos profissionais, sob pena de se ampliar indevidamente a margem de discricionariedade judicial. Nesse sentido, o STJ contribui para a uniformização da interpretação do conceito de tratamento experimental, evitando decisões baseadas exclusivamente em critérios subjetivos.

Assim, a atuação do STJ complementa a jurisprudência do STF ao reforçar a necessidade de observância de parâmetros técnicos na concessão de tratamentos de saúde, especialmente no âmbito das relações privadas e da saúde suplementar.

2.2.4 Responsabilidade dos entes federativos e competência jurisdicional

Outro aspecto relevante na jurisprudência dos tribunais superiores diz respeito à definição da responsabilidade dos entes federativos e à competência para o julgamento das ações que envolvem o fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa.

O STF consolidou entendimento no sentido de que há responsabilidade solidária entre União, Estados e Municípios na prestação do direito à saúde, conforme fixado no Tema 793 da repercussão geral. No entanto, em se tratando de medicamentos sem registro sanitário, a Corte estabeleceu a necessidade de inclusão da União no polo passivo das demandas.

Tal orientação decorre do fato de que a Anvisa, responsável pelo registro e controle sanitário de medicamentos, integra a estrutura da Administração Pública Federal, sendo, portanto, competência da União responder por questões relacionadas à regulação sanitária (Santos, 2019).

Nesse sentido, conforme reafirmado em diversos julgados recentes, as ações que demandam o fornecimento de medicamentos sem registro devem ser propostas necessariamente em face da União, o que implica o deslocamento da competência para a Justiça Federal.

Além disso, o STF, ao julgar o Tema 1.234 da repercussão geral, estabeleceu regras de modulação quanto ao deslocamento de competência, determinando que tal entendimento se aplica apenas às ações ajuizadas após a publicação do julgamento, preservando-se a competência dos processos já em curso.

Essa definição contribui para a organização do sistema judicial e para a redução de conflitos de competência, ao mesmo tempo em que reforça a centralidade da União na regulação sanitária.

2.2.5 Limites da atuação judicial e a preservação da política pública de saúde

A atuação do Poder Judiciário na judicialização da saúde, embora fundamental para a concretização de direitos fundamentais, encontra limites na própria estrutura das políticas públicas e na necessidade de respeito aos critérios técnico-científicos estabelecidos pelas autoridades sanitárias.

Conforme destaca Vieira (2020), a judicialização excessiva na área da saúde pode gerar impactos significativos na gestão do sistema público, comprometendo a alocação racional de recursos e desorganizando as políticas públicas. Nesse contexto, decisões judiciais que determinam o fornecimento de medicamentos de alto custo ou ainda não registrados podem produzir efeitos distributivos indesejados, ao privilegiar demandas individuais em detrimento de políticas coletivas de saúde. Tal dinâmica pode aprofundar desigualdades no acesso ao sistema, favorecendo aqueles que conseguem acessar o Judiciário, em prejuízo da universalidade e da equidade que orientam o SUS.

Além disso, a doutrina destaca que o registro sanitário constitui mecanismo essencial de proteção coletiva, garantindo que apenas medicamentos seguros e eficazes sejam disponibilizados à população. A sua relativização, portanto, pode implicar riscos à saúde pública e à própria credibilidade do sistema regulatório (Delduque e Lyra, 2009).

O próprio STF, ao firmar o entendimento no Tema 500, reconheceu a necessidade de preservar a autoridade da Anvisa e evitar que decisões judiciais substituam critérios técnicos por avaliações casuísticas. Trata-se, portanto, de uma tentativa de harmonizar a proteção do direito individual à saúde com a racionalidade das políticas públicas.

Dessa forma, a jurisprudência dos tribunais superiores evidencia a construção de um modelo decisório pautado pela excepcionalidade, no qual a intervenção judicial é admitida apenas quando estritamente necessária, respeitando-se, sempre que possível, a estrutura normativa e técnica do sistema de saúde brasileiro.

Desse modo, embora a atuação judicial desempenhe papel fundamental na proteção de direitos individuais, sua expansão descontrolada pode comprometer a própria lógica de funcionamento do sistema de saúde, exigindo a construção de critérios mais rigorosos e equilibrados para sua atuação.

2.3 ANÁLISE DO TEMA 500 DO STF, QUE DEFINE CRITÉRIOS PARA O FORNECIMENTO DE MEDICAMENTOS NÃO REGISTRADOS

O julgamento do Recurso Extraordinário nº 657.718/MG, paradigma do Tema 500 da repercussão geral, representa um dos precedentes mais relevantes da jurisprudência constitucional brasileira em matéria de judicialização da saúde, ao estabelecer parâmetros objetivos para a apreciação judicial de pedidos envolvendo medicamentos não registrados na Anvisa. A centralidade desse precedente decorre do fato de que ele delimita, em caráter vinculante, os limites da atuação judicial diante de tratamentos ainda não plenamente admitidos no sistema regulatório brasileiro (Brasil, STF, 2019).

A importância do Tema 500 também se revela em sua função estruturante. Ao reconhecer a repercussão geral da matéria, o STF buscou uniformizar a atuação do Judiciário em todo o país, oferecendo diretrizes capazes de orientar decisões em casos semelhantes e reduzir a heterogeneidade decisória que marcava a judicialização da saúde. Nesse sentido, materiais de sistematização jurisprudencial apontam que o precedente passou a integrar o conjunto de parâmetros centrais para a atuação judicial nessa área (Cadip, 2024).

No referido julgamento, o Supremo fixou diretrizes fundamentais. Em primeiro lugar, estabeleceu que o Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais. Em segundo, afirmou que a ausência de registro na Anvisa impede, como regra geral, o fornecimento judicial do medicamento. Em terceiro, admitiu, de forma excepcional, a concessão de medicamento sem registro sanitário em caso de mora irrazoável da Anvisa na análise do pedido, desde que preenchidos cumulativamente requisitos específicos, como a existência de pedido de registro no Brasil, o registro em agências reguladoras estrangeiras de reconhecida credibilidade e a inexistência de substituto terapêutico disponível no país. Por fim, definiu que as ações devem ser propostas em face da União (Brasil, STF, 2019).

Essa construção evidencia que o Supremo não adotou uma solução de deferimento irrestrito nem de vedação absoluta, mas estruturou um modelo decisório baseado na excepcionalidade. A regra permanece sendo o não fornecimento, sendo admitida flexibilização apenas em hipóteses rigorosamente delimitadas. Nesse sentido, Wang (2021) observa que o atendimento desses requisitos não implica concessão automática do medicamento, mas apenas a superação de um dos obstáculos regulatórios, permanecendo necessária a análise concreta da demanda.

Um dos fundamentos centrais da decisão reside na valorização do registro sanitário como instrumento de proteção da saúde pública. O STF consignou que o registro na Anvisa não constitui mera formalidade administrativa, mas mecanismo essencial para garantir a segurança,

a eficácia e a qualidade dos medicamentos, além de possibilitar o controle estatal sobre sua circulação (Brasil, STF, 2019).

No voto-vista do Ministro Luís Roberto Barroso, essa compreensão é aprofundada ao se afirmar que a exigência de registro sanitário representa uma relevante ferramenta regulatória, tendo em vista que o desenvolvimento e a disponibilização de medicamentos envolvem riscos significativos à saúde coletiva. O registro, portanto, integra o próprio conteúdo do direito à saúde, ao assegurar que apenas tratamentos devidamente avaliados sejam disponibilizados à população (Brasil, STF, 2019).

Tal entendimento encontra respaldo na doutrina de Lyra e Delduque (2009), que apontam o registro sanitário como instrumento essencial de controle estatal, responsável por submeter medicamentos à verificação de segurança, eficácia e qualidade antes de sua introdução no mercado. Essa aproximação entre o precedente judicial e a literatura especializada reforça a ideia de que a decisão do Tema 500 se fundamenta em uma racionalidade regulatória, e não apenas em argumentos de contenção administrativa.

A decisão também evidencia a necessidade de deferência institucional à Anvisa. Parte-se do pressuposto de que o Poder Judiciário não detém a mesma capacidade técnica que os órgãos reguladores para avaliar, em abstrato, a segurança e a eficácia de novos tratamentos. Nesse sentido, Wang (2021) aponta que a judicialização frequentemente se baseia em prescrições médicas individuais, que nem sempre refletem evidências científicas consolidadas ou os critérios técnicos utilizados pelas políticas públicas de saúde.

Apesar de estabelecer parâmetros relevantes, a aplicação do Tema 500 apresenta desafios práticos. A aferição dos requisitos definidos pelo Supremo, como a inexistência de alternativa terapêutica e a comprovação da eficácia do medicamento, depende de elementos técnicos que nem sempre estão adequadamente disponíveis no processo judicial, o que pode comprometer a uniformidade das decisões (Wang, 2021).

Além disso, a própria noção de “mora irrazoável” da Anvisa não foi delimitada de forma precisa pelo acórdão, o que transfere ao julgador a tarefa de avaliar, caso a caso, a eventual demora na análise do pedido de registro. Essa indeterminação contribui para a existência de decisões divergentes e evidencia a dificuldade de aplicação uniforme dos critérios estabelecidos (Brasil, STF, 2019).

Outro ponto sensível diz respeito à exigência de registro em agências reguladoras estrangeiras. Embora funcione como critério de validação científica, a literatura aponta que a aprovação em outros países não garante, por si só, a adequação do medicamento ao contexto brasileiro, o que exige cautela na utilização desse parâmetro (Lyra; Delduque, 2009).

Dessa forma, o Tema 500 representa um marco na tentativa de disciplinar a judicialização dos medicamentos não registrados, ao estabelecer critérios que buscam equilibrar a proteção do direito individual à saúde com a necessidade de observância dos parâmetros técnico-científicos da regulação sanitária. Ainda assim, sua aplicação evidencia que a atuação judicial nesse campo permanece marcada por elevada complexidade, exigindo fundamentação qualificada e constante diálogo com o conhecimento técnico produzido pelas instâncias reguladoras.

Diante desse cenário, a análise do Tema 500 revela não apenas os critérios jurídicos que orientam a atuação do Poder Judiciário, mas também as tensões inerentes à efetivação do direito à saúde em contextos de incerteza científica e limitação institucional. Essas tensões serão aprofundadas no capítulo seguinte, no qual se examinam os desafios e caminhos para a sustentabilidade da judicialização dos medicamentos experimentais, especialmente no que se refere aos seus impactos econômicos e sociais, aos riscos éticos e sanitários envolvidos, ao problema da equidade na alocação de recursos públicos e às possíveis estratégias para o aperfeiçoamento da regulação da inovação terapêutica.

3. DESAFIOS E CAMINHOS PARA A SUSTENTABILIDADE NA JUDICIALIZAÇÃO DOS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS

3.1 IMPACTOS ECONÔMICOS E SOCIAIS DA JUDICIALIZAÇÃO PARA O SUS, PLANOS DE SAÚDE E A COLETIVIDADE

A judicialização da saúde, especialmente no que se refere ao fornecimento de medicamentos de alto custo e não incorporados às políticas públicas, tem produzido impactos significativos não apenas no plano jurídico, mas também nas dimensões econômica e social do sistema de saúde brasileiro. Trata-se de um fenômeno que, embora contribua para a concretização de direitos individuais, também impõe desafios relevantes à sustentabilidade do SUS e à equidade na distribuição de recursos públicos.

A relevância empírica da judicialização também pode ser percebida a partir de dados recentes da assistência farmacêutica no SUS. Em levantamento nacional com estados e municípios participantes da pesquisa, identificou-se que, em 2023, 8% dos municípios informaram fornecer medicamentos sem registro na Anvisa em razão de decisão judicial, ao passo que, entre os estados, esse percentual alcançou 72%. No mesmo levantamento, 10,5% dos municípios e 84% dos estados relataram fornecimento de medicamentos *off label* por força de ação judicial. Esses dados evidenciam que a judicialização, além de ampla, alcança hipóteses particularmente sensíveis do ponto de vista regulatório e terapêutico, aproximando o debate não apenas da insuficiência de acesso, mas também dos limites da segurança sanitária e da racionalidade da política pública (Vieira et al., 2025).

Sob a perspectiva econômica, os efeitos da judicialização tornam-se ainda mais evidentes quando observados os gastos com medicamentos judicializados. Segundo levantamento nacional sobre a assistência farmacêutica no SUS, em 2023 os medicamentos judicializados representaram, em média, 8,4% do gasto total com medicamentos dos municípios participantes e 10,1% da despesa com recursos próprios destinada à aquisição de medicamentos (Vieira et al., 2025).

No caso dos estados com informações consistentes em todos os anos analisados, essas participações alcançaram 32,9% do gasto total com medicamentos e 37,4% da despesa com recursos próprios, revelando o comprometimento de parcela expressiva do orçamento com demandas determinadas judicialmente. Tais dados demonstram que a judicialização não produz apenas impacto pontual, mas interfere de forma concreta na capacidade de planejamento e financiamento da assistência farmacêutica pública (Vieira et al., 2025).

Além disso, o impacto financeiro da judicialização não se distribui de forma homogênea entre os entes federativos. Conforme destacado por Wang (2021, p. 3), municípios, sobretudo os de menor porte, são particularmente afetados, uma vez que possuem orçamentos mais restritos e menor capacidade técnica para lidar com demandas complexas. Em muitos casos, uma única decisão judicial envolvendo tratamento de alto custo é suficiente para comprometer parcela significativa dos recursos destinados à saúde, afetando diretamente a prestação de serviços a outros usuários do sistema.

Esse fenômeno evidencia um efeito indireto relevante: a realocação de recursos públicos. Como os valores destinados ao cumprimento de decisões judiciais não são previamente previstos nas políticas públicas, sua execução frequentemente implica a retirada de recursos originalmente destinados a programas coletivos de saúde. Nesse sentido, a judicialização aparenta contribuir para a desorganização do planejamento sanitário e para a redução da eficiência na alocação de recursos.

Do ponto de vista teórico, essa problemática pode ser compreendida à luz da chamada “reserva do possível”, segundo a qual a efetivação de direitos sociais depende da disponibilidade de recursos públicos. Como ressaltam Nogueira e Reis Júnior (2007), a escassez de recursos impõe limites concretos à atuação estatal, sendo inviável atender integralmente todas as demandas individuais sem comprometer o funcionamento das políticas públicas. Os autores destacam que decisões judiciais voltadas ao atendimento individual podem retirar recursos previamente destinados a ações coletivas, prejudicando o atendimento de outros cidadãos.

A partir desses impactos, emerge o conflito entre micro justiça e macro justiça. Enquanto a atuação judicial busca solucionar demandas individuais concretas, garantindo acesso imediato a tratamentos, seus efeitos sistêmicos podem comprometer a justiça distributiva, ao privilegiar determinados indivíduos em detrimento da coletividade. Tal tensão revela um dos principais desafios da judicialização da saúde: conciliar a proteção de direitos fundamentais com a gestão racional e equitativa dos recursos públicos.

No plano social, os impactos da judicialização também são relevantes. A literatura aponta que esse fenômeno contribui para a formação de um sistema desigual de acesso à saúde, frequentemente descrito como um “SUS de duas portas” (Wang, 2021, p. 5). De um lado, encontram-se os indivíduos que recorrem ao Judiciário e obtêm acesso ampliado a tratamentos, muitas vezes fora das políticas públicas estabelecidas. De outro, permanecem os usuários que dependem exclusivamente da oferta regular do sistema, submetidos às limitações orçamentárias e administrativas existentes (Wang, 2021).

Essa dinâmica evidencia que a judicialização pode aprofundar desigualdades já existentes, favorecendo aqueles que possuem maior acesso à informação, assistência jurídica e estrutura institucional para demandar judicialmente. Nesse sentido, o fenômeno deixa de ser apenas um instrumento de efetivação de direitos e passa a atuar como fator potencial de desequilíbrio social, produzindo desigualdade e ineficiência no SUS (Wang, 2021, p. 5).

Ademais, a judicialização também impacta a eficiência do sistema de saúde. Como observa Wang (2021, p. 5), decisões judiciais muitas vezes atribuem peso excessivo à opinião do médico do paciente, ainda que ela não esteja amparada em evidências científicas sólidas, e pouca consideração às informações técnicas fornecidas pela Administração e às políticas públicas do SUS. Isso pode resultar na concessão de tratamentos de eficácia incerta ou custo desproporcional, comprometendo a racionalidade do sistema e expondo pacientes a riscos desnecessários.

Por fim, observa-se que a judicialização da saúde não pode ser analisada de forma simplista. Embora represente um mecanismo legítimo de acesso à justiça e de proteção de direitos fundamentais, seus impactos econômicos e sociais demonstram que a intervenção judicial, quando não acompanhada de critérios técnicos e institucionais adequados, pode comprometer a sustentabilidade do SUS, a eficiência das políticas públicas e a equidade no acesso à saúde.

3.2 RISCOS ÉTICOS E SANITÁRIOS NA LIBERAÇÃO JUDICIAL DE TRATAMENTOS NÃO REGULAMENTADOS

A judicialização da saúde, especialmente no tocante à concessão de medicamentos experimentais ou não registrados na Anvisa, suscita relevantes preocupações de ordem ética e sanitária, as quais se tornam ainda mais evidentes diante das recentes transformações legislativas e jurisprudenciais no cenário brasileiro. Embora tais decisões frequentemente se fundamentem na proteção do direito fundamental à vida e à saúde, a flexibilização de critérios técnico-regulatórios pode expor pacientes a riscos significativos, além de comprometer a segurança coletiva e a racionalidade do sistema de saúde.

Do ponto de vista sanitário, o principal risco reside na ausência de comprovação científica robusta quanto à eficácia e segurança dos tratamentos pleiteados judicialmente. Conforme assentado pelo STF no julgamento do Tema 500, medicamentos ainda não submetidos ao regular processo de registro podem apresentar efeitos adversos graves, justamente por não terem passado por todas as etapas de validação científica exigidas. Nesse

contexto, o registro sanitário não se configura como mera exigência burocrática, mas como verdadeiro instrumento de proteção à saúde pública.

Em sentido convergente, Villas-Bôas (2025, p. 287-288) evidencia a relevância do controle ético-social e dos parâmetros técnico-científicos na circulação e no acesso a fármacos, destacando, no contexto do Tema 500, a distinção entre medicamentos experimentais, ainda que sem comprovação científica de eficácia e segurança e aqueles cuja eficácia e segurança já se encontram demonstradas, embora ainda sem registro na Anvisa. A partir dessa perspectiva, a flexibilização judicial dos controles sanitários pode fragilizar a lógica protetiva do sistema e tensionar a confiança institucional nas políticas públicas de saúde.

A literatura em direito sanitário reforça essa compreensão. Segundo Delduque e Lyra (2009), o controle regulatório exercido pela Anvisa tem como finalidade assegurar que apenas medicamentos seguros, eficazes e de qualidade sejam disponibilizados à população, sendo o registro sanitário etapa indispensável para a proteção coletiva. A relativização desse controle por decisões judiciais pode, portanto, fragilizar a própria lógica de proteção sanitária construída pelo Estado.

Ademais, há situações em que medicamentos judicialmente pleiteados ou autorizados sequer contam com base científica suficiente quanto à sua eficácia e segurança. O caso da fosfoetanolamina sintética é ilustrativo nesse sentido, pois, conforme registrado em estudo sobre o tema, não havia na Anvisa registro concedido, pedido de registro ou pesquisa clínica em seres humanos em curso envolvendo a substância. Nesse contexto, o próprio Supremo Tribunal Federal suspendeu a eficácia da lei que autorizava seu uso, ressaltando que a concretização do direito à saúde exige rigoroso crivo científico e controle prévio de viabilidade sanitária, justamente para evitar desenganos, charlatanismos e efeitos prejudiciais ao ser humano. Esse tipo de situação demonstra que a flexibilização prematura dos controles regulatórios pode expor pacientes a tratamentos de eficácia incerta e a riscos indevidamente assumidos pelo sistema de saúde (Godri; Marcelino, 2020)

Nesse cenário, emerge um risco adicional: a transformação do paciente em sujeito indireto de experimentação terapêutica fora dos protocolos formais de pesquisa clínica. Isso ocorre quando tratamentos ainda não suficientemente testados passam a ser fornecidos por decisão judicial, sem observância das garantias próprias da pesquisa científica, como consentimento informado qualificado, acompanhamento sistemático e controle ético institucional. Tal prática tensiona os fundamentos da bioética, especialmente os princípios da não maleficência e da justiça (Villas-Bôas, 2025).

O debate ganha contornos ainda mais complexos com a introdução da Lei nº 14.874/2024, que passou a disciplinar de forma mais sistemática a ética em pesquisa com seres humanos no Brasil. Conforme destaca Villas-Bôas (2025), essa nova normativa surge em um contexto de intensa rediscussão da judicialização da saúde, especialmente após os julgamentos dos Temas de Repercussão Geral nº 6, 500 e 1234 pelo STF. O estudo evidencia uma preocupação relevante: ao mesmo tempo em que se tornam mais rigorosos os critérios para concessão judicial de medicamentos já incorporados ou registrados, observa-se uma possível redução do controle ético-social sobre a pesquisa farmacológica, o que pode gerar desequilíbrios significativos entre segurança, inovação e interesses econômicos.

No plano ético, destaca-se ainda o problema do chamado “direito à esperança”, frequentemente invocado em demandas judiciais de saúde. Embora seja compreensível que pacientes em situações graves busquem alternativas terapêuticas diante da limitação ou inexistência de tratamentos eficazes, a invocação desse direito exige uma análise mais cautelosa e tecnicamente fundamentada. Conforme sustentado por Ribeiro; Colen (2018), o que se verifica, na prática, é que muitas dessas demandas não se limitam ao direito à saúde em sentido estrito, mas refletem uma pretensão mais ampla, voltada à preservação da própria possibilidade de continuidade da vida, o que os autores denominam como “direito à esperança”, frequentemente mobilizado como *ultima ratio* perante o Poder Judiciário.

Todavia, a elevação do direito à esperança à condição de fundamento decisório autônomo pode gerar distorções relevantes. Isso porque, ao se afastar de critérios técnico-científicos e regulatórios, o Judiciário corre o risco de legitimar a concessão de tratamentos desprovidos de evidência de eficácia e segurança, convertendo a esperança — que possui natureza subjetiva e existencial — em parâmetro jurídico decisório. Tal deslocamento pode conduzir à formação de expectativas infundadas nos pacientes e seus familiares, além de expô-los a intervenções potencialmente ineficazes ou até prejudiciais.

Ademais, o próprio estudo evidencia que, em muitos casos analisados, há elevado índice de mortalidade dos demandantes no curso do processo, o que demonstra a gravidade das enfermidades envolvidas, mas também evidencia os limites concretos da intervenção judicial diante da realidade clínica (Ribeiro; Colen, 2018). Nesse contexto, a concessão indiscriminada de tratamentos experimentais pode não apenas falhar em alcançar o resultado esperado, mas também implicar desvio de recursos públicos escassos, comprometendo a implementação de políticas públicas baseadas em evidências e voltadas ao atendimento coletivo. (Villas-Bôas, 2025)

A problemática se intensifica quando se observa a relação entre judicialização, indústria farmacêutica e vulnerabilidade social. Conforme apontado no estudo analisado, há o risco de formação de um ciclo estrutural no qual populações vulneráveis participam de pesquisas, auxiliam no desenvolvimento de medicamentos e, posteriormente, recorrem ao Judiciário para obter acesso ao tratamento que ajudaram a viabilizar (Villas-Bôas, 2025). Esse fenômeno evidencia uma possível distorção na distribuição dos ônus e benefícios da inovação terapêutica, contrariando o princípio bioético da justiça distributiva.

Além disso, há situações em que fatores econômicos influenciam diretamente a dinâmica da judicialização. Como destacado por Villas-Bôas (2025), a interface entre ética e economia é inevitável no campo da saúde, especialmente quando se trata da incorporação de novas tecnologias. Nesse sentido, decisões judiciais que desconsideram análises de custo-efetividade podem comprometer a sustentabilidade do sistema, ao mesmo tempo em que a flexibilização de exigências regulatórias pode favorecer interesses mercadológicos em detrimento da segurança dos pacientes.

Ademais, a exigência de Medicina Baseada em Evidências (MBE), reforçada pelos Temas 6 e 1234 do STF, evidencia uma tentativa de reequilibrar essa equação, condicionando a concessão judicial de medicamentos a critérios técnicos mais rigorosos. Entretanto, tais exigências podem gerar dificuldades probatórias significativas para pacientes hipossuficientes, criando uma tensão entre o rigor científico e o acesso efetivo à justiça.

Há, portanto, uma tensão ética relevante: de um lado, a necessidade de reconhecer a dignidade da pessoa humana e o direito de buscar alternativas terapêuticas em situações extremas; de outro, a obrigação do Estado e do Judiciário de atuar com responsabilidade sanitária, evitando a legitimação de práticas que possam configurar, ainda que indiretamente, formas de experimentação não controlada. Nesse sentido, a utilização do direito à esperança como fundamento jurídico deve ser manejada com parcimônia, inserida no âmbito do mínimo existencial, mas sempre condicionada a parâmetros de razoabilidade, proporcionalidade e evidência científica (Ribeiro; Colen, 2018).

Por fim, verifica-se que os riscos éticos e sanitários da judicialização de tratamentos não regulados não implicam a negação do direito à saúde, mas sim a necessidade de sua concretização em consonância com critérios técnico-científicos e regulatórios. A própria evolução jurisprudencial do STF demonstra a busca por esse equilíbrio, ao restringir a concessão de medicamentos experimentais e estabelecer parâmetros mais rigorosos para os não incorporados. Dessa forma, conclui-se que a judicialização da saúde, quando dissociada dos parâmetros da ciência e da regulação sanitária, pode gerar efeitos adversos relevantes, incluindo

a exposição indevida de pacientes a riscos, a fragilização do controle ético da pesquisa e a desorganização do sistema de saúde, tornando imprescindível uma atuação judicial mais qualificada, pautada em evidências, em diálogo institucional e no respeito aos limites éticos da inovação terapêutica.

3.3 EQUIDADE E RESPOSTAS INSTITUCIONAIS À JUDICIALIZAÇÃO DOS MEDICAMENTOS EXPERIMENTAIS

3.3.1 A tensão entre tutela individual e equidade distributiva no acesso à saúde

A judicialização da saúde, especialmente nas demandas que envolvem medicamentos experimentais ou não incorporados às políticas públicas, impõe ao direito um problema que ultrapassa a proteção do caso individual: a necessidade de compatibilizar a tutela jurisdicional do direito à saúde com a equidade distributiva no interior de um sistema público universal. Isso ocorre porque o reconhecimento judicial de prestações sanitárias não se dá em ambiente de abundância, mas em um contexto de escassez de recursos, multiplicidade de necessidades e exigência de escolhas alocativas. Nesse sentido, Wang (2008) adverte que os direitos sociais possuem custos e que sua efetivação demanda consideração séria sobre os recursos disponíveis e sobre os efeitos distributivos das decisões estatais.

Essa constatação não significa reduzir o direito à saúde a uma variável meramente econômica, nem admitir que a limitação orçamentária, por si só, neutralize a tutela de direitos fundamentais. Significa, antes, reconhecer que a concretização desse direito ocorre no interior de uma política pública estruturada, voltada à realização simultânea da universalidade, da integralidade e da equidade. Por isso, Villas-Bôas (2010) ressalta que a justiça distributiva em saúde exige critérios racionais de alocação de recursos escassos, justamente porque as necessidades humanas tendem a ser ilimitadas, enquanto os bens e serviços disponíveis são necessariamente finitos. A equidade, nessa perspectiva, não dispensa escolhas; ao contrário, exige que elas sejam justificáveis, transparentes e orientadas pela redução de desigualdades injustas.

Essa dimensão distributiva já foi destacada na literatura sobre judicialização da saúde no Brasil. Vieira (2020) observa que a microjustiça, embora relevante para a proteção do caso concreto, não pode se tornar o único horizonte de análise do sistema de justiça em matéria sanitária, sob pena de comprometer a macrojustiça e a efetividade das políticas públicas. Nessa perspectiva, decisões judiciais voltadas à satisfação imediata de demandas individuais por tecnologias não previstas nas políticas públicas podem tensionar a lógica distributiva do SUS,

sobretudo quando se trata de tratamentos de alto custo, não incorporados ou ainda sujeitos a controvérsia científica. A exigência de equidade, portanto, impõe que a tutela do direito à saúde seja compreendida também a partir de seus efeitos sistêmicos e coletivos (Vieira, 2020).

A tensão entre o caso individual e o interesse coletivo pode ser compreendida a partir da distinção entre microjustiça e macrojustiça. Nogueira e Reis Júnior (2007) explicam que, em matéria de prestações estatais positivas, o atendimento judicial de demandas individuais pode comprometer recursos previamente destinados à execução de políticas públicas, o que evidencia a tensão entre microjustiça e macrojustiça. Nessa lógica, o atendimento judicial de determinadas pretensões pode comprometer a capacidade estatal de atender outras demandas igualmente legítimas, o que revela a natureza distributiva das escolhas feitas nesse campo.

É justamente por isso que o debate sobre medicamentos experimentais não pode ser resolvido apenas com base na urgência do caso concreto ou na dramaticidade da situação clínica do paciente. A proteção judicial da saúde, embora constitucionalmente legítima, não se realiza em um vazio institucional. O próprio STF, ao enfrentar a matéria no RE 657.718, reconhece que a implementação do direito à saúde envolve escolhas públicas e critérios de justiça distributiva, os quais devem ser observados especialmente quando se está diante de prestações sanitárias não incorporadas ou ainda desprovidas de validação regulatória plena. A legitimidade da intervenção judicial, portanto, depende também de sua compatibilidade com a racionalidade alocativa e com a coerência do sistema público de saúde.

Dessa forma, a equidade distributiva não se opõe à tutela individual do direito à saúde, mas funciona como critério de sua qualificação. O problema não está em reconhecer judicialmente situações excepcionais, mas em fazê-lo sem qualquer consideração sobre os reflexos sistêmicos da decisão. Wang (2008) observa que a escassez de recursos não elimina direitos, mas exige do Estado e do Judiciário maior responsabilidade na fundamentação de escolhas distributivas. Em outras palavras, proteger o caso concreto continua sendo essencial, mas essa proteção deve ser construída de modo compatível com a preservação do bem comum sanitário e com a justiça na distribuição dos recursos públicos.

Nesse cenário, o desafio não consiste em negar a intervenção judicial, mas em evitar que ela produza soluções isoladas, desconectadas dos critérios técnicos e institucionais que estruturam a política pública de saúde. Por isso, a tensão entre tutela individual e equidade distributiva conduz, necessariamente, à necessidade de decisões mais qualificadas, tecnicamente fundamentadas e institucionalmente responsáveis, tema que se projeta diretamente sobre a discussão a respeito dos critérios técnicos para uma judicialização qualificada.

3.3.2 A necessidade de critérios técnicos para uma judicialização qualificada

A complexidade das demandas envolvendo medicamentos experimentais, tratamentos não incorporados e tecnologias ainda controvertidas demonstra que a atuação judicial em saúde não pode se apoiar exclusivamente na urgência do caso concreto ou na prescrição médica individual. Em matéria sanitária, a decisão jurisdicional precisa ser construída a partir de critérios técnicos capazes de conferir maior segurança, racionalidade e coerência ao reconhecimento judicial de prestações em saúde. Nesse sentido, Leão (2025) sustenta que a judicialização da saúde, embora muitas vezes necessária para a proteção de direitos fundamentais, demanda instrumentos técnico-científicos que reduzam a assimetria informacional do processo e qualifiquem a tomada de decisão judicial.

Nesse cenário, a Medicina Baseada em Evidências ocupa posição central. Como observa Leão (2025), a MBE permite integrar a experiência clínica às melhores evidências científicas disponíveis, oferecendo maior confiabilidade à escolha terapêutica. Sua relevância, contudo, não se restringe à prática médica. Em litígios de saúde, especialmente aqueles que envolvem tratamentos de alto custo, medicamentos experimentais ou terapias fora das políticas públicas, a evidência científica funciona como importante limite à subjetividade decisória, reduzindo o risco de que a prestação jurisdicional se apoie apenas na dramaticidade do caso ou na autoridade isolada da prescrição médica.

A importância desses parâmetros técnicos encontra respaldo no próprio ordenamento jurídico e na jurisprudência recente. Villas-Bôas (2025), ao analisar os Temas 6, 500 e 1234 do STF, destaca que a Corte passou a exigir maior rigor probatório nas demandas de saúde, inclusive com valorização expressa da Medicina Baseada em Evidências e de critérios técnicos mais consistentes para o deferimento judicial de medicamentos não incorporados ou ainda controvertidos. Esse movimento revela uma tentativa de afastar decisões fundadas exclusivamente em documentos particulares e de aproximar a atuação judicial da lógica institucional de avaliação sanitária.

Nesse processo de qualificação, ganham destaque os Núcleos de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NatJus) e o sistema e-NatJus. Leão (2025) demonstra que as notas técnicas elaboradas por essas estruturas constituem instrumentos relevantes para subsidiar a decisão judicial, porque oferecem ao magistrado elementos científicos e sanitários que extrapolam o conteúdo unilateral dos autos. Ao incorporar esse apoio técnico, o processo judicial tende a se

tornar menos dependente da assimetria entre as partes e mais aberto a uma fundamentação consistente, compatível com a complexidade das questões discutidas.

Materiais institucionais do CADIP (2024) e do CNJ caminham na mesma direção ao enfatizar a necessidade de apoio técnico e de maior articulação entre magistratura e instâncias especializadas. O uso de pareceres técnicos, a consulta ao NatJus e a consideração das diretrizes administrativas e regulatórias contribuem para reduzir decisões casuísticas e para aproximar a tutela jurisdicional de uma lógica mais uniforme e previsível. Não se trata de afastar o controle judicial, mas de torná-lo mais informado e mais compatível com a natureza técnica das políticas públicas de saúde.

A exigência de critérios técnicos mais consistentes, portanto, não esvazia a tutela judicial do direito à saúde. Ao contrário, fortalece sua legitimidade. Uma judicialização qualificada não é aquela que intervém menos, mas aquela que intervém melhor: com prova adequada, diálogo institucional e consideração séria pelos parâmetros científicos e regulatórios já existentes. É justamente essa perspectiva que permite ao Judiciário atuar de forma protetiva sem romper com a racionalidade sanitária e com a estrutura das políticas públicas, abrindo caminho para a discussão sobre os mecanismos institucionais capazes de reduzir a litigiosidade e fortalecer a regulação da inovação terapêutica.

3.3.3 Caminhos institucionais para reduzir a judicialização e fortalecer a regulação da inovação terapêutica

A redução da judicialização dos medicamentos experimentais não depende da restrição abstrata do acesso ao Poder Judiciário, mas do aperfeiçoamento das estruturas administrativas e regulatórias responsáveis pela avaliação, incorporação e disponibilização de tecnologias em saúde. Em outras palavras, o enfrentamento do problema exige menos a supressão da tutela jurisdicional e mais o fortalecimento de instâncias capazes de oferecer respostas mais céleres, técnicas e transparentes às demandas dos usuários do sistema de saúde. Nesse sentido, Wang (2021) observa que parte significativa da judicialização decorre de falhas estruturais da própria gestão sanitária, como demora administrativa, insuficiência de informação técnica e dificuldades de coordenação entre os diversos atores institucionais.

Um primeiro caminho institucional consiste no fortalecimento da via administrativa. Quanto mais acessíveis, compreensíveis e tecnicamente fundamentadas forem as respostas administrativas aos pedidos de medicamentos e tratamentos, menor será a tendência de deslocamento automático dos conflitos para o processo judicial. Isso é especialmente

importante em casos que envolvem tecnologias novas ou ainda não incorporadas, nos quais a negativa estatal, se mal fundamentada ou excessivamente opaca, tende a estimular a litigiosidade. O aperfeiçoamento do procedimento administrativo, portanto, não apenas racionaliza a gestão, mas também amplia a legitimidade das decisões públicas.

Outro eixo fundamental diz respeito ao fortalecimento da atuação técnica da Anvisa e da Conitec. Villas-Bôas (2025), ao examinar os Temas 6, 500 e 1234, demonstra que a jurisprudência recente do STF tem buscado revalorizar os espaços institucionais de deliberação sanitária, exigindo maior deferência às instâncias regulatórias e maior rigor probatório nas demandas judiciais. Essa orientação revela que a inovação terapêutica não pode ser regulada adequadamente por decisões casuísticas, mas exige instâncias estáveis, técnicas e responsivas de avaliação.

Também se mostra relevante ampliar a transparência e a previsibilidade dos fluxos de análise e incorporação de tecnologias em saúde. O CADIP (2024) destaca a importância de mecanismos institucionais de governança e organização da informação jurídica e sanitária, inclusive como forma de facilitar a tomada de decisões administrativas e reduzir conflitos judiciais. A previsibilidade dos critérios de análise, a publicidade dos fundamentos das decisões e a circulação qualificada de informações entre os órgãos envolvidos contribuem para diminuir a insegurança jurídica e tornar mais racional o acesso a terapias inovadoras.

A utilização mais consistente do NatJus e de pareceres técnicos especializados também integra esse esforço de qualificação institucional. Como já observado, Leão (2025) demonstra que as notas técnicas e o apoio técnico ao Judiciário reduzem a assimetria informacional e oferecem ao magistrado subsídios mais compatíveis com a complexidade das demandas sanitárias. Embora esses instrumentos tenham especial importância no processo judicial, sua lógica também pode irradiar efeitos para a esfera administrativa, estimulando decisões mais fundamentadas, mais homogêneas e mais alinhadas à evidência científica.

Além disso, a atualização mais eficiente de protocolos clínicos e listas de dispensação do SUS representa medida essencial para reduzir o descompasso entre inovação terapêutica e resposta estatal. Quando o sistema demora excessivamente para revisar diretrizes, incorporar tecnologias ou responder a avanços científicos relevantes, cria-se ambiente favorável à judicialização, sobretudo em situações clínicas graves ou de rápida progressão. A aceleração responsável desses fluxos, sem o abandono dos critérios de segurança e eficácia, tende a reduzir a necessidade de intervenção judicial em demandas que, muitas vezes, surgem da lentidão institucional e não apenas da insuficiência normativa.

Por fim, o diálogo institucional entre Judiciário, gestores, órgãos reguladores e instâncias técnicas deve ser compreendido como elemento estruturante de uma política pública mais estável de enfrentamento da judicialização. Gadelha (2019), em texto reproduzido pelo CADIP, adverte que a questão judiciária no SUS tem revelado incorporação acrítica de tecnologias, injustiça no acesso e descontrole financeiro e orçamentário, o que exige maior reflexão institucional e melhor ancoragem das decisões em evidências científicas. Isso indica que a sustentabilidade do sistema não será alcançada por soluções isoladas, mas por mecanismos cooperativos capazes de articular proteção de direitos, regulação sanitária e responsabilidade na gestão pública.

Dessa forma, o fortalecimento da regulação da inovação terapêutica não se opõe à efetivação do direito à saúde. Ao contrário, uma regulação técnica, transparente e eficiente constitui condição para que esse direito seja concretizado com segurança, equidade e sustentabilidade. Reduzir a judicialização, nesse contexto, não significa restringir direitos, mas deslocar a solução dos conflitos para espaços institucionais mais adequados, preservando o Poder Judiciário como instância de controle excepcional e qualificado, e não como via ordinária de acesso a terapias incertas ou ainda não devidamente reguladas.

CONCLUSÃO

A presente pesquisa teve por objetivo analisar a judicialização dos medicamentos experimentais no Brasil, a partir de seus fundamentos jurídicos, de seus limites regulatórios e dos impactos produzidos pela concessão judicial de tratamentos ainda não incorporados ou não registrados no sistema sanitário nacional. Ao longo do trabalho, verificou-se que o direito à saúde ocupa posição central no ordenamento jurídico brasileiro e que sua efetivação, embora constitucionalmente assegurada, depende de uma complexa articulação entre políticas públicas, critérios técnico-científicos e atuação jurisdicional. Nesse cenário, a judicialização da saúde consolidou-se como instrumento relevante de concretização de direitos fundamentais, especialmente quando as vias administrativas se mostram insuficientes para atender necessidades urgentes e legítimas dos pacientes.

Os resultados da pesquisa demonstraram, contudo, que a judicialização dos medicamentos experimentais não pode ser tratada de forma simplificada. Se, por um lado, ela representa mecanismo importante de acesso à justiça e de proteção da vida e da dignidade da pessoa humana, por outro, também produz tensões relevantes com a segurança sanitária, com a autoridade técnico-regulatória da Anvisa e com a racionalidade distributiva que deve orientar o SUS. A análise da jurisprudência dos tribunais superiores, com especial destaque para o Tema 500 do STF, evidenciou que o fornecimento judicial desses medicamentos não deve constituir regra, mas admitir-se apenas em hipóteses excepcionais, cercadas de critérios rigorosos, justamente para evitar a banalização da intervenção judicial em matéria de alta complexidade técnica.

Assim, verificou-se o alcance dos objetivos propostos no início da pesquisa, na medida em que foi possível demonstrar que a judicialização, longe de ser fenômeno ilegítimo, revela-se necessária em um contexto no qual o Estado nem sempre consegue assegurar, por meios administrativos ordinários, o acesso tempestivo a tratamentos de saúde. Ainda assim, a investigação permitiu concluir que sua ampliação não deve significar flexibilização indiscriminada dos controles regulatórios, mas sim o fortalecimento de uma atuação jurisdicional mais qualificada, tecnicamente amparada e institucionalmente responsável. Em outras palavras, a tutela judicial do direito à saúde deve permanecer acessível, porém acompanhada de maior respaldo científico e de mecanismos capazes de reduzir decisões baseadas apenas na urgência individual, sem consideração suficiente pelos riscos sanitários e pelos efeitos coletivos.

Nesse sentido, a principal contribuição deste trabalho consiste em sustentar que a proteção do direito à saúde exige um modelo de equilíbrio entre a garantia individual do tratamento e a preservação da regulação sanitária e da sustentabilidade das políticas públicas. A efetivação desse equilíbrio passa, necessariamente, pela ampliação de medidas administrativas mais céleres e acessíveis ao cidadão, aptas a reduzir a necessidade de judicialização, bem como pelo fortalecimento do Poder Judiciário com suporte técnico especializado, a exemplo dos núcleos de apoio técnico, de modo a conferir maior consistência, segurança e legitimidade às decisões judiciais em matéria de saúde. Desse modo, conclui-se que o enfrentamento da judicialização dos medicamentos experimentais não demanda a restrição do acesso à justiça, mas o aperfeiçoamento das vias institucionais (administrativas e judiciais) para que a tutela do direito à saúde ocorra de forma mais eficiente, responsável e compatível com os valores constitucionais que regem a matéria.

Por fim, a pesquisa evidencia que o tema permanece aberto a aprofundamentos futuros em frentes mais específicas. Entre elas, destacam-se a necessidade de investigações empíricas sobre o perfil das demandas judiciais envolvendo medicamentos experimentais e não registrados no Brasil, a análise dos impactos concretos dessas decisões sobre o orçamento da assistência farmacêutica e sobre a equidade no acesso à saúde, bem como o exame da efetividade dos mecanismos de apoio técnico ao Poder Judiciário, especialmente os núcleos de apoio técnico e as notas técnicas em saúde.

Também se mostram relevantes estudos voltados à atuação comparada da Anvisa e da Conitec na regulação e na incorporação de terapias inovadoras, além de pesquisas que examinem, em perspectiva clínica e institucional, os resultados dos tratamentos concedidos judicialmente em caráter excepcional. Trata-se, portanto, de campo de investigação ainda em desenvolvimento, cuja complexidade jurídica, sanitária e ética exige aprofundamento contínuo diante dos desafios contemporâneos da saúde pública no Brasil.

REFERÊNCIAS

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (Anvisa). Conceitos e definições — Medicamento inovador. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/acessoainformacao/perguntasfrequentes/medicamentos/conceitos-e-definicoes/conceitos-e-definicoes> Acesso em: 14 de junho de 2025.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Conheça as formas de acesso a medicamentos em estudo. Brasília, DF: Anvisa, 2018. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2018/conheca-as-formas-de-acesso-a-medicamentos-em-estudo>. Acesso em: 8 abr. 2026.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Resolução da Diretoria Colegiada - RDC nº 38, de 12 de agosto de 2013. Aprova o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. *Diário Oficial da União*: seção 1, Brasília, DF, 13 ago. 2013. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2013/rdc0038_12_08_2013.html. Acesso em: 09 de abril de 2026.

BERTOLLI FILHO, Claudio. *História da saúde pública no Brasil*. 4ª ed. São Paulo, SP: Ática, 2008. 71 p. (História em movimento). ISBN 9788508058013.

BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Resolução RDC nº 205, de 28 de dezembro de 2017: estabelece procedimento especial para anuência de ensaios clínicos, certificação de boas práticas de fabricação e registro de novos medicamentos para doenças raras. Brasília, DF: Anvisa, 28 dez. 2017. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2017/rdc0205_28_12_2017.pdf. Acesso em: 14 de junho de 2025.

BRASIL. Decreto nº 10.966, de 11 de fevereiro de 2022. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. *Diário Oficial da União*: seção 1, Brasília, DF, 14 fev. 2022. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2022/decreto/d10966.htm. Acesso em: 8 abr. 2026.

BRASIL. Decreto nº 12.651, de 6 de agosto de 2025. Regulamenta a Lei nº 14.874, de 28 de maio de 2024, que dispõe sobre a pesquisa com seres humanos e institui o Sistema Nacional de Ética em Pesquisa com Seres Humanos. *Diário Oficial da União*: seção 1, Brasília, DF, 7 ago. 2025. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2023-2026/2025/decreto/d12651.htm. Acesso em: 8 abr. 2026.

BRASIL. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências. 1990. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm. Acesso em: 14 de junho de 2025.

BRASIL. Lei nº 14.874, de 28 de maio de 2024. Dispõe sobre princípios, diretrizes e regras para a condução de pesquisas com seres humanos por instituições públicas ou privadas. *Diário Oficial da União*: seção 1, Brasília, DF, 29 maio 2024. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2023-2026/2024/lei/l14874.htm. Acesso em: 8 abr. 2026.

BRASIL. Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999. Define o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária, cria a Agência Nacional de Vigilância Sanitária, e dá outras providências. *Diário Oficial da União*: seção 1, Brasília, DF, 27 jan. 1999. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l9782.htm. Acesso em: 14 de junho de 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec). Perguntas frequentes. Brasília, DF: Conitec, [s.d.]. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/aceso-a-informacao/perguntas-frequentes>. Acesso em: 8 abr. 2026.

BRASIL. Superior Tribunal de Justiça (Segunda Seção). Recurso Especial n. 2.108.440/GO. Ementa: Recurso especial. Ausência de prequestionamento. Súmula 211/STJ. Ação de obrigação de fazer. Prescrição de terapias multidisciplinares para tratamento de beneficiário portador de microcefalia, paralisia cerebral e epilepsia. Pediasuit. [...] Recurso especial conhecido em parte e, nessa extensão, provido. Partes litigantes: D.L.M.B representado por T.M.C. *versus* PLAMHEG - Plano de Assistência Médica e Hospitalar do Estado de Goiás S/A. Relatora: Ministra Nancy Andrighi. Julgado em: 3 abr. 2025. Diário de Justiça Eletrônico Nacional, Brasília, DF, 23 abr. 2025.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal (Primeira Turma). Agravo em Recurso Extraordinário n. 1490639 ED-ED-AgR. Ementa: Direito da saúde. Agravo regimental nos embargos de declaração nos embargos de declaração no recurso extraordinário com agravo. Fornecimento de medicamento sem registro na ANVISA pelo Estado. Tema 1.161/RG. Responsabilidade solidária dos entes federados. Reexame de fatos e provas. [...] Agravo interno conhecido e não provido. Partes litigantes: Estado do Espírito Santo *versus* Rafael Santana Freitas Paixão representado por Flavio Luiz Freitas Paixão. Relator: Ministro Flávio Dino. Julgado em: 16 dez. 2025. Diário da Justiça eletrônico, Brasília, DF, 19 dez. 2025.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal (Primeira Turma). Reclamação n. 72876 AgR. Ementa: Agravo interno na reclamação. Direito à saúde. Fornecimento do Elevidys, como terapia gênica da distrofia muscular de Duchenne. Medicamento órfão recomendado para doença rara. Possibilidade excepcional de fornecimento pelo poder público. [...] Reclamação julgada procedente. Agravo a que se nega provimento. Partes litigantes: Goiás *versus* B.B.J.S. representado por K.B.J. Relator: Ministro Luiz Fux. Julgado em: 25 abr. 2025. Diário da Justiça eletrônico, Brasília, DF, 30 abr. 2025.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal (Primeira Turma). Reclamação n. 73160 AgR. Ementa: Constitucional. Agravo interno na reclamação. Violação ao que decidido no julgamento do Tema 500-RG. Inocorrência. Fornecimento de medicamento não incorporado. Medicamento sem registro na Anvisa. Competência. Necessidade de observação da modulação fixada no julgamento do Tema 1.234-RG. [...] Agravo interno a que se nega provimento. Partes litigantes:

São Paulo *versus* Tribunal de Justiça do Estado De São Paulo. Relator: Ministro Alexandre de Moraes. Julgado em: 7 maio 2025. Diário da Justiça eletrônico, Brasília, DF, 13 maio 2025.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal (Primeira Turma). Recurso Extraordinário n. 1493040 AgR. Ementa: Direito Constitucional. Direito à saúde. Agravo regimental no recurso extraordinário. Fornecimento de medicamento sem registro na Anvisa. Litisconsórcio passivo com a União. Acórdão recorrido não alinhado à jurisprudência da Suprema Corte. [...] Agravo não provido. Partes litigantes: Distrito Federal *versus* Rubens Alves dos Santos. Relator: Ministro Flávio Dino. Julgado em: 19 ago. 2025. Diário da Justiça eletrônico, Brasília, DF, 25 ago. 2025.

BRASIL. Supremo Tribunal Federal (Tribunal Pleno). Reclamação n. 68709 MC-Ref-terceiro. Ementa: Referendo na cautelar na reclamação. Cabimento. Direito à saúde. Elevidys. Distrofia Muscular de Duchenne. Requisitos do Tema 500 da repercussão geral preenchidos. [...] Medida liminar deferida para determinar à União que forneça o medicamento Elevidys em benefício da parte reclamante [...] Liminar referendada. Partes litigantes: A.G.P.I. representado por G.C.C.P *versus* Juiz Federal da 21ª Vara Federal Cível Da Seção Judiciária do Distrito Federal. Relator: Ministro Gilmar Mendes. Julgado em: 24 fev. 2025. Diário da Justiça eletrônico, Brasília, DF, 6 mar. 2025.

CAMPOS, Adriana; OLIVEIRA, Daniela Rezende de. Direito à Saúde Pública no Brasil: Excurso Histórico ao Processo de Desenvolvimento, Reconhecimento e Efetivação de Um Direito Fundamental. **Prisma Jurídico**, [S. l.], v. 13, n. 1, p. 213–241, 2014. DOI: [10.5585/prismaj.v13n1.4807](https://doi.org/10.5585/prismaj.v13n1.4807). Disponível em: <https://periodicos.uninove.br/prisma/article/view/4807>. Acesso em: 10 de junho de 2025.

CARVALHO, Heitor Humberto do Nascimento; PINTO, Márcio Alexandre da Silva. **A evolução do direito à saúde pública da cidadania brasileira**. 2011. Disponível em: <https://seer.ufu.br/index.php/horizontecientifico/article/view/4402>. Acesso em: 14 de junho de 2025.

FAGUNDES, Priscila Oliveira; CHIAPPA, Ricardo. Avaliação do uso de medicamentos não registrados no Brasil demandados por meio de ações judiciais no estado de Minas Gerais. In: AITH, Fernando; SATURNINO, Luciana Tarbes Mattana; DINIZ, Maria Gabriela Araújo; MONTEIRO, Tammy Claret (org.). *Direito sanitário: saúde e direito, um diálogo possível*. Belo Horizonte: Escola de Saúde Pública do Estado de Minas Gerais, 2010. p. 353-372.

GODRI, Luciana; MARCELINO, Carolina Wunsch. **Embates institucionais para além da judicialização da saúde: sobreposições de poderes no caso da pílula do câncer**. In: ENCONTRO DE ADMINISTRAÇÃO DA JUSTIÇA (ENAJUS), 3., 2020, [S. 1.]. *Anais EnAJUS 2020*. [S. 1.]: EnAJUS, 2020. ISSN 2674-8401. Disponível em: <https://www.enajus.org.br/anais/assets/papers/2020/sessao-09/3-embates-institucionais-para-ale-m-da-judicializac-a-o-da-sau-de-sobreposic-o-es-de-poderes-no-caso-da-pi-lula-do-ca-ncer.pdf>. Acesso em: 03 de junho de 2026.

GONÇALVES, Márcio Augusto. **Organização e funcionamento do SUS** / Márcio Augusto Gonçalves – Florianópolis: Departamento de Ciências da Administração / UFSC; [Brasília]: CAPES: UAB, 132p. 2014.

LESSA, Moyana Mariano Robles; DADALTO, Luciana. O direito à vida e a judicialização da saúde. **Civilistica.com**. Rio de Janeiro, a. 10, n. 1, 2021. Disponível em: <https://civilistica.emnuvens.com.br/redc/article/view/522>. Acesso em: 01 de março de 2025.

LYRA, Denise; DELDUQUE, Maria Célia. O ato administrativo de concessão de registro de medicamentos na Agência Nacional de Vigilância Sanitária. **Revista de Direito Sanitário, São Paulo**, v. 10, n. 3, p. 11-26, nov./fev. 2009/2010. Disponível em: <https://api.arca.fiocruz.br/api/core/bitstreams/fb679379-5e6a-4f29-9290-459263daea1b/content>. Acesso em: 02 de março de 2026.

MOREIRA, Henrique Maciel dos Santos; CAPANEMA, Itália Viviani de Lacerda; RABELLO, Vânia Farmean. O tratamento experimental e os riscos à saúde do cidadão. In: AITH, Fernando;

SATURNINO, Luciana Tarbes Mattana; DINIZ, Maria Gabriela Araújo; MONTEIRO, Tammy Claret (org.). Direito sanitário: saúde e direito, um diálogo possível. **Revista de Direito Sanitário**, São Paulo, Brasil, v. 12, n. 1, p. 401-428, 2011. Disponível em: https://www.mpsp.mp.br/portal/page/portal/documentacao_e_divulgacao/doc_biblioteca/bibli_servicos_produtos/BibliotecaDigital/BibDigitalLivros/TodosOsLivros/Direito-Sanitario=Saude-e-Direito-um-Dialogo-Possivel.pdf. Acesso em: 08 de abril de 2026.

NOGUEIRA, Marco Aurélio; REIS JÚNIOR, Ari Timóteo dos. A teoria da reserva do possível e o reconhecimento pelo Estado de prestações positivas. **Revista da Faculdade de Direito de Uberlândia (Online)**, v. 35, p. 317-337, 2007. DOI: doi.org/10.14393/RFADIR. Disponível em: <https://seer.ufu.br/index.php/revistafadir/article/viewFile/18438/9870>. Acesso em: 22 de março de 2026.

OLIVEIRA, Ana Claiz Pontes. **Os medicamentos experimentais e a judicialização do direito à saúde: um estudo sobre a oferta de produtos à base de canabidiol para pessoas com TEA pelo Sistema Público de Saúde**. 2023. 118 f. Trabalho de Conclusão de Curso (Graduação em Direito) – Universidade Federal do Ceará, Faculdade de Direito, Fortaleza, 2023.

RIBEIRO, Luiz Gustavo Gonçalves; SENA TEIXEIRA COLEN, Suzana Beatriz. Direito à esperança como mínimo existencial e a judicialização de políticas públicas voltadas ao fornecimento de medicamentos. **Revista de Política Judiciária, Gestão e Administração da Justiça**, Florianópolis, Brasil, v. 4, n. 2, p. 1-16, 2018. DOI: 10.26668/IndexLawJournals/2525-9822/2018.v4i2.4753. Disponível em: <https://indexlaw.org/index.php/revistapoliticiajudiciaria/article/view/4753>. Acesso em: 22 de março de 2026.

SANTOS, Ana Paula Ferreira dos. O fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa pelo poder público por força de decisão judicial após o julgamento do tema 500 pelo Supremo Tribunal Federal. **Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário**, Brasília, v. 8, n. 4, p. 27-44, out./dez. 2019. Disponível em: <https://api.arca.fiocruz.br/api/core/bitstreams/fd1cf276-20a4-4f1e-bed5-cffebfa616a5/content>. Acesso em: 20 de março 2026.

SARLET, Ingo Wolfgang e FIGUEIREDO, Mariana Filchtner. Reserva do possível, mínimo existencial e direito à saúde: algumas aproximações. **Revista de Doutrina da 4ª Região**, Porto Alegre, n. 24, jul. 2008. Disponível em: https://revistadoutrina.trf4.jus.br/artigos/edicao024/ingo_mariana.html Acesso em: 04 de março de 2026.

SCHWARTZ, Germano; BORTOLOTO, Franciane Woutheres. A dimensão prestacional do direito à saúde e o controle judicial de políticas públicas sanitárias. **Revista de Informação Legislativa**, Brasília, v. 45, n. 177, p. 81–100, jan./mar. 2008. Disponível em: https://www2.senado.leg.br/bdsf/bitstream/handle/id/160191/Dimens%C3%A3o_prestacional_direito_saude_177.pdf. Acesso em: 07 de junho de 2025.

STURZA, Janaína Machado; BENDER, Marciana. O dever constitucional do Estado em garantir a saúde: o uso de medicamentos experimentais. **Revista Jurídica**, Curitiba, v. 3, n. 44, p. 790-817, 2016. DOI: <http://dx.doi.org/10.26668/revistajur.2316-753X.v3i44.1898> Disponível em: <https://revista.unicuritiba.edu.br/index.php/RevJur/issue/view/97>. Acesso em 02 de março de 2026.

TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO (TJSP); CENTRO DE APOIO AO DIREITO PÚBLICO (CADIP). Judicialização da saúde: fornecimento de medicamentos pelo poder público. 3. ed. São Paulo: TJSP, 2024. Disponível em: <https://www.tjsp.jus.br/Download/SecaoDireitoPublico/Pdf/Cadip/Esp-CADIP-Jud-Saude-3ed-2024-11-14.pdf>. Acesso em: 25 de março de 2026.

VIEIRA, Fabíola Sulpino. **Direito à saúde no Brasil: seus contornos, judicialização e a necessidade da macrojustiça**. Texto para Discussão n. 2547. Brasília: Instituto de Pesquisa Econômica Aplicada (IPEA), 2020. Disponível em: <https://repositorio.ipea.gov.br/handle/11058/9714>. Acesso em: 02 de março de 2026

VIEIRA, Fabiola Sulpino et al. Pesquisa Assistência Farmacêutica no SUS: uma síntese dos principais resultados para gestores de saúde (2019-2023). Brasília, DF: CONASS: Ipea, 2025. 70 p. Disponível em: <https://repositorio.ipea.gov.br/handle/11058/17242>. Acesso em: 11 abr. 2026.

VILLAS-BÔAS, M. E. A Lei 14.874/24, a judicialização da saúde e os Temas de Repercussão Geral n.º 6, 500 e 1234 no fornecimento de fármacos não incorporados no Brasil: um olhar da Defensoria Pública. **Revista da Defensoria Pública da União**, v. 24, n. 24, p. 267-297, 19 dez. 2025. DOI: <https://doi.org/10.46901/revistadadpu.i24.p267-297>. Acesso em 02 de março de 2026.

VILLAS-BÔAS, Maria Elisa. Justiça distributiva, critérios de alocação de recursos escassos em saúde e suas críticas. **Revista Redbioética/UNESCO**, ano 1, n. 1, p. 73-84, 2010. Disponível em: <https://unesdoc.unesco.org/ark:/48223/pf0000193220>. Acesso em 09 de março de 2026.

WANG, Daniel Wei Liang, *IN* CONSELHO NACIONAL DE SECRETARIAS MUNICIPAIS DE SAÚDE (CONASEMS). **Judicialização da saúde: como responder**. Brasília: CONASEMS, 2021. Disponível em: https://conasems-ava-prod.s3.sa-east-1.amazonaws.com/institucional/wpcontent/2021/07/Cartilha_2_PROVA-3-1.pdf. Acesso em: 22 mar. 2026.

WANG, Daniel Wei Liang. **Poder Judiciário e participação democrática nas políticas públicas de saúde**. 2009. 104p. Dissertação (Mestrado em Direito do Estado) - Faculdade de Direito, Universidade de São Paulo, São Paulo, 2009. Disponível em: <https://doi.org/10.11606/D.2.2009.tde-21062011-134507>. Acesso em: 07 de junho de 2025.

WANG, Daniel Wei. Liang. Escassez de recursos, custos dos direitos e reserva do possível na jurisprudência do STF. **Revista Direito GV**, v. 4, n. 2, p. 539-568, jul. 2008. DOI: <https://doi.org/10.1590/S1808-24322008000200009>. Disponível em:

<https://www.scielo.br/j/rdgv/a/5ScHqNs657gS9gsNhYcmFbg/?format=pdf&lang=pt>. Acesso em: 22 de março de 2026.