

Jorge Ferreira da Silva Junior¹;

Universidade Iguaçu (UNIG), Nova Iguaçu, RJ.

<https://lattes.cnpq.br/4959983057929522>

Ana Beatriz Gagno²;

Universidade Iguaçu (UNIG), Nova Iguaçu, RJ.

<http://lattes.cnpq.br/1136918900968959>

Gabriela Abreu Martins³;

Universidade Iguaçu (UNIG), Nova Iguaçu, RJ.

<http://lattes.cnpq.br/8309574996140896>

Vanney da Silveira Rocha⁴;

Universidade Iguaçu (UNIG), Nova Iguaçu, RJ.

<http://lattes.cnpq.br/1306143535626135>

Manoel Gonçalves Neto⁵;

Universidade Iguaçu (UNIG), Nova Iguaçu, RJ.

<http://lattes.cnpq.br/4818471915978798>

Fernando Silva dos Santos⁶;

Universidade Iguaçu (UNIG), Nova Iguaçu, RJ.

<https://lattes.cnpq.br/7884986484533476>

Adalgiza Mafra Moreno⁷.

Universidade Iguaçu (UNIG), Nova Iguaçu, RJ.

<http://lattes.cnpq.br/0565722195722162>

RESUMO: Este capítulo analisa criticamente os desafios de acesso de usuários a medicamentos de alto custo no Sistema Único de Saúde (SUS). A partir de revisão bibliográfica de 31 documentos nacionais e internacionais, descrevem-se seis eixos centrais: financiamento e sustentabilidade do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF); papel dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) na regulação do uso; desigualdades regionais na disponibilidade de terapias; judicialização da saúde como via paralela de obtenção de medicamentos; impacto dos gastos com medicamentos sobre

o orçamento das famílias; e critérios de incorporação de novas tecnologias no SUS. A discussão evidencia tensões entre universalidade, equidade e restrições orçamentárias, mostrando como decisões fragmentadas de financiamento, processos burocráticos e assimetrias estruturais podem limitar o acesso efetivo, especialmente entre grupos vulneráveis. Apresentam-se, por fim, propostas de aprimoramento da governança federativa, da avaliação de tecnologias em saúde, das estratégias de negociação com a indústria e dos mecanismos de proteção financeira, com vistas a conciliar expansão do acesso a terapias de alto custo e sustentabilidade de longo prazo do sistema.

PALAVRAS-CHAVE: Medicamentos de alto custo. Acesso. Sistema Único de Saúde.

ACCESS CHALLENGES TO HIGH-COST MEDICINES FOR USERS IN THE BRAZILIAN UNIFIED HEALTH SYSTEM

ABSTRACT: This chapter critically examines the challenges faced by users in accessing high-cost medicines in Brazil's Unified Health System (SUS). Based on a narrative review of 31 national and international documents, six core themes are described: financing and sustainability of the Specialized Pharmaceutical Assistance Component (CEAF); the role of Clinical Protocols and Therapeutic Guidelines (PCDT) in regulating use; regional inequalities in the availability of therapies; health-related litigation as a parallel route to obtain medicines; the impact of medicine expenditure on household budgets; and criteria for incorporating new technologies into SUS. The discussion highlights tensions between universality, equity and budget constraints, showing how fragmented financing decisions, bureaucratic processes and structural asymmetries may limit effective access, especially among vulnerable groups. Finally, the chapter presents proposals to improve federal governance, health technology assessment, price and access negotiations with industry and financial protection mechanisms, aiming to reconcile expanded access to high-cost therapies with the long-term sustainability of universal coverage.

KEY-WORDS: High-cost medicines. Access. Universal health coverage.

INTRODUÇÃO

O avanço das doenças crônicas não transmissíveis, o envelhecimento populacional e a rápida inovação tecnológica ampliaram de forma significativa o uso de medicamentos de alto custo no Brasil. No Sistema Único de Saúde (SUS), a resposta institucional predominante foi a criação e a consolidação do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), vinculado à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) e organizado a partir de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT).

Essas estruturas buscaram compatibilizar o direito constitucional à saúde com a necessidade de racionalizar recursos escassos, concentrando o financiamento público em tecnologias de impacto clínico relevante. Na prática, porém, o acesso a medicamentos de alto custo continua marcado por assimetrias: dificuldades de financiamento, desigualdades regionais, barreiras burocráticas, judicialização e exposição financeira de famílias vulneráveis.

Este capítulo discute esses pontos de tensão, tomando como eixo a experiência brasileira recente com o CEAf, a atuação da CONITEC e as evidências de impacto socioeconômico dos gastos com medicamentos, especialmente entre grupos socialmente mais vulneráveis.

OBJETIVO

Analisar, à luz da literatura científica e de documentos de política pública, os principais desafios de acesso de usuários a medicamentos de alto custo no SUS, com foco em financiamento e sustentabilidade do CEAf, papel e limites dos PCDT, desigualdades regionais, judicialização, impacto econômico sobre as famílias e incorporação de novas tecnologias.

METODOLOGIA

Trata-se de pesquisa qualitativa, de natureza aplicada, com objetivos descritivo explicativos, baseada em revisão bibliográfica e documental.

Foram analisados 31 documentos previamente selecionados, incluindo artigos originais e revisões sobre Assistência Farmacêutica, CEAf, judicialização e proteção financeira; dissertações e teses sobre medicamentos de alto custo no SUS; e documentos oficiais, como a RENAME 2022, portarias ministeriais e relatórios da CONITEC.

Os estudos contemplam, em geral, o período de 2000 a 2025, com ênfase na estruturação do CEAf e no histórico dos chamados ‘medicamentos excepcionais’; em séries temporais de gasto público e perfil de utilização por doença e por estado; em análises sobre mortalidade, vulnerabilidade social e acesso a medicamentos; em estudos de gasto catastrófico e empobrecimento por despesas com saúde; e na produção sobre judicialização da saúde, especialmente envolvendo medicamentos de alto custo.

A análise foi temática, com leitura exaustiva do material, identificação de categorias centrais (financiamento, protocolos, desigualdades regionais, judicialização, impacto financeiro e incorporação tecnológica) e síntese crítica dos achados, confrontando resultados empíricos com a formulação normativa da política de medicamentos no SUS.

RESULTADOS E DISCUSSÃO

1. Organização da Assistência Farmacêutica e papel do CEAF

A Assistência Farmacêutica no SUS organiza-se em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) concentra os medicamentos de maior custo unitário ou uso prolongado, destinados a condições de maior complexidade clínica, como doenças reumatológicas, neurológicas, oncológicas, doenças raras e pós-transplante. Sua oferta está vinculada à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) e aos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), que definem critérios de diagnóstico, inclusão, exclusão e monitoramento de pacientes.

Do ponto de vista dos usuários e profissionais, estudos qualitativos apontam percepção ambivalente: o CEAF é reconhecido como avanço do SUS por garantir acesso a terapias antes restritas a poucos, mas também é visto como serviço burocrático e concentrado em grandes centros, exigindo múltiplas idas a unidades de referência, exames específicos e renovação frequente de laudos, o que pode dificultar a continuidade do tratamento, sobretudo em contextos de maior vulnerabilidade social e territorial.

2. Financiamento tripartite e sustentabilidade

O financiamento do CEAF é compartilhado entre União, estados e, em alguns casos, municípios, por meio de diferentes grupos de medicamentos. Apesar desse arranjo federativo, a literatura mostra crescimento acelerado da despesa com medicamentos de alto custo, em ritmo superior ao do orçamento global da saúde. A incorporação de novos fármacos, a ampliação de indicações e o envelhecimento populacional aumentam o número de usuários e a pressão sobre os recursos disponíveis.

Sem planejamento de médio e longo prazo, esse crescimento tende a gerar conflitos entre a necessidade de ampliar o acesso e a obrigação de manter a sustentabilidade fiscal. Estratégias como compras centralizadas, negociação de preços com a indústria, uso de biossimilares quando disponíveis e avaliação econômica prévia de novas tecnologias são apontadas como essenciais para que o CEAF continue cumprindo seu papel sem comprometer outros níveis de atenção.

3. Protocolos clínicos, burocracia e uso racional

Os PCDT funcionam como instrumento central de regulação do uso de medicamentos de alto custo, orientando a escolha terapêutica com base em evidências científicas e custo-efetividade. Ao estabelecer critérios nacionais de indicação e seguimento, os protocolos contribuem para reduzir variações injustificadas de conduta e para proteger tanto o usuário quanto o sistema contra usos inapropriados ou de baixo benefício clínico.

Na prática, entretanto, a aplicação desses critérios pode transformar-se em barreira quando a rede não dispõe de exames, especialistas ou estrutura administrativa suficientes para cumprir todas as exigências. Ademora na atualização de alguns PCDT frente à inovação terapêutica também alimenta frustrações e judicialização. A literatura sugere a necessidade de simplificar fluxos, investir em sistemas eletrônicos de autorização e priorizar a revisão dos protocolos em situações de maior impacto clínico e social.

4. Desigualdades regionais no acesso

Os estudos sobre utilização de medicamentos de alto custo no Brasil apontam forte concentração de usuários e de gastos em estados das regiões Sudeste e Sul, em contraste com menor participação relativa de Norte e Nordeste. Essa assimetria reflete a distribuição desigual de serviços especializados, de profissionais qualificados e de infraestrutura diagnóstica, além de diferenças na capacidade de gestão das secretarias de saúde estaduais.

Como consequência, pacientes com a mesma condição de saúde podem ter oportunidades distintas de acesso dependendo do território em que vivem. A redução dessas desigualdades passa pelo fortalecimento da rede de atenção especializada em regiões vulneráveis, pela interiorização de polos de dispensação, pelo apoio técnico e financeiro diferenciado a estados com menor capacidade instalada e pelo uso de sistemas de informação para identificar e corrigir padrões de suboferta.

5. Judicialização da saúde

A judicialização da saúde tornou-se um traço marcante do acesso a medicamentos de alto custo no Brasil. Ações judiciais individuais frequentemente buscam medicamentos não incorporados, indicações não previstas em protocolo ou fornecimento imediato em situações em que o fluxo administrativo é percebido como lento ou ineficaz. Decisões favoráveis garantem acesso em casos concretos, mas tendem a gerar compras emergenciais, fragmentadas e com menor poder de barganha do que aquisições planejadas.

Além do impacto financeiro, a judicialização pode aprofundar iniquidades, na medida em que favorece quem tem maior acesso a informação e assessoria jurídica. A literatura defende a necessidade de fortalecer a avaliação de tecnologias em saúde, ampliar a transparência nas decisões da CONITEC, criar canais de diálogo com o Poder Judiciário e estruturar respostas administrativas céleres para demandas recorrentes, reduzindo a dependência da via judicial como porta de entrada para terapias de alto custo.

6. Impacto econômico e incorporação de novas tecnologias

Quando o SUS falha em fornecer medicamentos de alto custo de forma contínua, o ônus financeiro recai sobre as famílias. Estudos nacionais mostram que os gastos com medicamentos são o principal componente das despesas de saúde domiciliares e que uma parcela importante dos domicílios experimenta gasto catastrófico, com empobrecimento associado ao tratamento de doenças crônicas. Em muitos casos, a resposta dos usuários é interromper ou racionar o uso dos medicamentos prescritos.

A incorporação de novas tecnologias no SUS, mediada pela CONITEC, precisa considerar esse contexto. Além de avaliar eficácia e segurança, é fundamental analisar custo-efetividade e impacto orçamentário, negociar preços e, quando necessário, estabelecer critérios restritivos de uso para garantir sustentabilidade. Ao mesmo tempo, o atraso excessivo na oferta de terapias comprovadamente superiores pode cristalizar um ‘apartheid terapêutico’ entre quem depende exclusivamente do SUS e quem pode financiar tratamentos no setor privado, o que exige decisões transparentes e socialmente pactuadas.

CONSIDERAÇÕES FINAIS

A análise dos estudos revisados mostra que o acesso a medicamentos de alto custo no SUS é resultado de um equilíbrio delicado entre direito à saúde, capacidade fiscal do Estado e dinâmica de inovação farmacêutica. O CEARF, articulado à RENAME e aos PCDT, representa um avanço importante na busca de maior racionalidade e equidade, mas ainda convive com problemas de financiamento, desigualdades territoriais, burocracia excessiva, judicialização e frágil proteção financeira para famílias vulneráveis.

Superar esses desafios requer fortalecer a governança federativa da Assistência Farmacêutica, aprimorar permanentemente os protocolos clínicos, qualificar a avaliação e a negociação de tecnologias, reduzir desigualdades regionais na oferta e monitorar sistematicamente o impacto dos gastos com medicamentos sobre o orçamento das famílias. Somente com decisões baseadas em evidências, transparência e participação social será possível ampliar o acesso a terapias de alto custo sem comprometer a sustentabilidade de longo prazo do SUS.

Em síntese, a agenda de medicamentos de alto custo no Brasil não deve ser tratada apenas como problema de despesa, mas como oportunidade de aperfeiçoar o pacto social em torno do direito à saúde, definindo de forma explícita quais tecnologias serão garantidas coletivamente, em quais condições e com que prioridades, tendo como horizonte a redução das iniquidades em saúde.

REFERÊNCIAS

- BRASIL. Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME 2022. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2022.
- BOING, A. C. et al. The influence of health expenditures on household impoverishment in Brazil. *Revista de Saúde Pública*, v. 48, n. 5, p. 797-807, 2014.
- BERMUDEZ, J. A. Z. et al. Acesso a medicamentos: impasse entre a saúde e o comércio. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 33, n. 8, e00123117, 2017.
- DINIZ, D.; MEDEIROS, M.; SCHWARTZ, I. V. D. Consequências da judicialização das políticas de saúde: custos de medicamentos para as mucopolissacaridoses. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 28, n. 3, p. 479-489, 2012.
- LIBANORE, A. C. Medicamentos de alto custo segundo a perspectiva do SUS. 2020. Dissertação (Mestrado em Fármacos e Medicamentos) – Faculdade de Ciências Farmacêuticas, Universidade de São Paulo, São Paulo, 2020.
- LUIZA, V. L. et al. Gasto catastrófico com medicamentos no Brasil. *Revista de Saúde Pública*, v. 50, supl. 2, p. 15s, 2016.
- ROVER, M. R. M. et al. Acceso a medicamentos de alto precio en Brasil: la perspectiva de médicos, farmacéuticos y usuarios. *Gaceta Sanitaria*, v. 30, n. 2, p. 110-116, 2016.
- SILVA, G. D. et al. Medicamentos excepcionais para doença renal crônica: gastos e perfil de utilização em Minas Gerais, Brasil. *Cadernos de Saúde Pública*, v. 27, n. 2, p. 357-368, 2011.