

*O projeto “Reconstruindo Laços na Saúde”  
enquanto resolução extrajudicial das  
Promotorias de Saúde de Teresina do  
Ministério Público Estadual do Piauí  
para demandas de saúde pública  
relacionadas a doenças raras*



**ENY MARCOS VIEIRA PONTES**

Promotor de Justiça de Entrância Final, titular da 29ª Promotoria de Justiça de Teresina. Graduado em Direito pela Universidade Federal do Piauí – UFPI. Pós-Graduado Lato Sensu em Processo Penal pela Universidade Federal do Ceará (UFC), com aperfeiçoamento em Saúde Pública pela Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz). Mediador Extrajudicial de Conflitos em formação pelo Centro de Estudos e Aperfeiçoamento Funcional do Ministério Público do Estado do Piauí - CEAFF/MPPI.



**LIA ANDRADE PORTELA**

Assessora de Promotoria de Justiça da 29ª Promotoria de Justiça de Teresina; Graduada em Direito pela Faculdade Estácio de Teresina, Pós-Graduada Lato Sensu em Direito Público pela Universidade Estadual do Piauí – UESPI. Pós-Graduada Lato Sensu em Direito Constitucional e Administrativo pela Escola Superior da Advocacia do Estado do Piauí - ESA/OAB-PI. Pós-Graduada Lato Sensu em Direito Penal e Processual Penal pela Escola Superior da Advocacia do Estado do Piauí - ESA/OAB-PI. Pós-Graduada Lato Sensu em Direito Previdenciário e do Trabalho pela Escola Superior da Advocacia do Estado do Maranhão- ESA/OAB-MA. Mediadora de Conflitos Extrajudiciais em formação pelo Centro de Estudos de Aperfeiçoamento Funcional do Ministério Público do Estado do Piauí - CEAFF/MP-PI.

# O PROJETO “RECONSTRUINDO LAÇOS NA SAÚDE” ENQUANTO RESOLUÇÃO EXTRAJUDICIAL DAS PROMOTORIAS DE SAÚDE DE TERESINA DO MINISTÉRIO PÚBLICO ESTADUAL DO PIAUÍ PARA DEMANDAS DE SAÚDE PÚBLICA RELACIONADAS A DOENÇAS RARAS

## RESUMO

O diagnóstico de pacientes com doenças raras tem forte impacto para toda a família e envolve mudanças no contexto social e cotidiano. O tratamento clínico destas doenças, por representarem, na maioria dos casos, cronicidades, tais como a Atrofia Medular Espinhal – AME, ocasionam o bloqueio de leitos hospitalares e a internação também de seus acompanhantes, que permanecem à beira do leito em dedicação exclusiva, muitas vezes ocasionando a ruptura de vínculos familiares preexistentes. O Ministério Público do Estado do Piauí, enquanto fiscal da atuação estatal e garantidor do direito fundamental à saúde, não poderia ficar alheio a esta situação e, nestes moldes, as Promotorias de Justiça de Teresina especializadas na defesa da saúde pública desenvolveram o projeto “Reconstruindo Laços na Saúde” para buscar a humanização da prestação do serviço de saúde a estes pacientes e a transferência hospitalar ou desospitalização para tratamento *home care* de pacientes de longa permanência hospitalar em Teresina, por meio de acompanhamento mensal dos casos particulares e a realização de Audiências Extrajudiciais Itinerantes, que proporcionam maior diálogo interinstitucional para a colaboração negocial conjunta. Até o momento o projeto conseguiu reaproximar 22 (vinte e duas) crianças de seus domicílios e reconectar os respectivos familiares.

**Palavras-chave:** Doenças Raras. Reconstruindo Laços na Saúde. Transferência Hospitalar. Desospitalização. Audiências Extrajudiciais Itinerantes.

## 1 INTRODUÇÃO

Este trabalho busca realizar a análise acerca dos esforços desempenhados pela 29ª e pela 12ª Promotorias de Justiça de Teresina, especializadas na defesa da saúde pública para o desenvolvimento do projeto “Reconstruindo Laços na Saúde”, que busca a reconexão familiar por meio da desospitalização ou transferência hospitalar para hospitais mais próximos de suas cidades de origem de pacientes diagnosticados com doenças raras e que possuem prolongada internação hospitalar nos hospitais públicos da capital piauiense.

O artigo foi organizado em torno de uma dialética que o dividiu em seis grandes tópicos: primeiro, a introdução; segundo, o tópico relativo ao doenças raras e sua influência no cotidiano

familiar; o terceiro referente à Atrofia Medular Espinhal – AME – suas formas de tratamento e acompanhamento; quarto, destaca o papel do Ministério Público na garantia da prestação do serviço de saúde pública; o quinto apresenta o trabalho desempenhado pelas Promotorias da Saúde de Teresina no projeto “Reconstruindo Laços na Saúde”; e, por último, a conclusão. A subdivisão do artigo é relacionada aos tópicos de seu desenvolvimento.

Para a elaboração deste trabalho, foi escolhida uma abordagem que combina a realização de pesquisa bibliográfica e de campo. A pesquisa bibliográfica incluiu uma análise abrangente de livros, artigos e periódicos relevantes sobre o tema, enquanto a pesquisa de campo concentrou-se na análise dos procedimentos extrajudiciais da 29ª e 12ª Promotorias de Justiça de Teresina. Metodologicamente, a pesquisa adotou tanto abordagens qualitativas, quanto quantitativas.

## **2 DOENÇAS RARAS E SUA INFLUÊNCIA NO COTIDIANO FAMILIAR**

Segundo a Organização Mundial de Saúde doenças raras são aquelas que atingem menos de 65 (sessenta e cinco) pessoas em cada grupo de cem mil, ou seja, 1,3 (um vírgula três) pessoas para cada 2.000 (dois mil) indivíduos (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2023).

O número exato de doenças consideradas raras não é conhecido, contudo, estima-se a existência de 6.000 (seis mil) a 8.000 (oito mil) tipos diferentes e oitenta por cento (80%) destas enfermidades possuem causas genéticas (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2023) e para 95% (noventa e cinco por cento) dos casos já catalogados não existe cura.

São doenças em sua maioria crônicas, de caráter degenerativo e incapacitante e não estimulam grande interesse das autoridades por representarem pequeno quantitativo de pacientes (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2023).

No Brasil, em 2022, estimava-se que 13 (treze) milhões de brasileiros viviam com alguma das enfermidades raras (SENADO FEDERAL, 2022) o que estimulou, inclusive, a criação de Projetos de Lei no Congresso Nacional para disciplinar a matéria em âmbito nacional, tais como: o Projeto de Lei nº 4691 de 2019 (BRASIL, 2019), atualmente em trâmite na Câmara dos Deputados, que visa a inclusão da notificação obrigatória às autoridades sanitárias dos diagnósticos, agravos e eventos em saúde relacionados a doenças raras; o Projeto de Lei nº 682 de 2019 (BRASIL, 2019), atualmente em trâmite para pauta na Comissão, que visa estabelecer benefícios fiscais para o contribuinte do Imposto de Renda da Pessoa Física que possua dependente acometido por doença rara; e o Projeto de Lei 3054/24 (BRASIL, 2024), atualmente em trâmite para pauta na Comissão, que visa alterar a Lei Brasileira de Inclusão da Pessoa com Deficiência para estender o direito de atendimento prioritário em serviços públicos às pessoas com doenças raras.

O mês de fevereiro é considerado o mês de conscientização sobre doenças raras para divulgar e incentivar a realização de pesquisas científicas, apoiar pacientes e familiares e mobilizar políticas públicas, sendo o dia 28 de fevereiro considerado o Dia Mundial das Doenças Raras, data implantada em 2018 pela Organização Europeia de Doenças Raras, posteriormente alterado em 2023 pela Lei nº 14.593 (BRASIL, 2023) que passou a instituir que a última semana do mês de fevereiro de cada ano seria denominada como a Semana Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras (SENADO FEDERAL, 2022).

Apesar de grande descaso das autoridades e por serem relativamente raras, são doenças que, considerando a gravidade dos casos e o fato de acometerem um percentual relevante da população, deveriam ser reconhecidas como um problema de saúde a ser acompanhado de forma significativa (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2023).

Válido destacar, ainda, que em sua maioria são doenças que acometem crianças e muitas destas enfermidades ocasionam a morte dos pacientes com poucos anos de vida. Importante frisar também que em muitos casos o diagnóstico é delicado, o que também pode atrasar o tratamento, uma vez que as condições sintomáticas podem se assemelhar bastante com enfermidades comuns (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2024).

Atrelado a tal fato, somam-se às dificuldades analisadas, a inexistência de qualificação e treinamento de muitos profissionais da saúde que tem raro contato com estes casos para aferição de diagnósticos precisos, à exceção de algumas especialidades, o que torna estas doenças um desafio para o Sistema Único de Saúde - SUS (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2024).

A grande maioria das doenças raras indicam tratamentos para a manutenção da qualidade de vida dos pacientes, redução de sinais e sintomas, e demandam um acompanhamento multiprofissional que envolve médicos, enfermeiros, técnicos, fisioterapeutas, nutricionistas, odontólogos, psicólogos, assistentes sociais, terapeutas ocupacionais e fonoaudiólogos (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2024).

Além do atendimento multiprofissional, estas doenças ocasionam um grande impacto no cotidiano familiar daqueles que acompanham estes pacientes, propiciando, em sua maioria, grande sofrimento no pós diagnóstico e mudanças drásticas na configuração da rede de suporte, demandando maior atenção e sacrifício dos envolvidos.

Para o melhor atendimento dos pacientes diagnosticados com doenças raras no Brasil, o Ministério da Saúde criou em 2014 as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde – SUS, disciplinada na Portaria GM/MS nº 199 de 30/01/2014.

Segundo as Diretrizes para Atenção Integral aos Indivíduos com Doenças Raras ou com Risco de Desenvolvê-las, a atenção especializada deve ser vista de forma ampla e a atenção aos familiares dos pacientes com doenças raras deverá garantir:

- a) Estruturação da atenção de forma integrada e coordenada em todos os níveis, desde a prevenção, acolhimento, diagnóstico, tratamento (baseado em protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas), apoio até a resolução, seguimento e reabilitação;
- b) Acesso a recursos diagnósticos e terapêuticos;
- c) Acesso à informação e ao cuidado;
- d) Aconselhamento Genético (AG), quando indicado. (BRASIL, 2014, p.07-08).

Destaca também o documento a necessidade de acompanhamento dos casos a serem prestados por equipes multiprofissionais e interdisciplinares que serão responsáveis por ações preventivas, diagnósticas e terapêuticas aos pacientes e seus familiares (BRASIL, 2014).

No que tange à Atenção Básica as Diretrizes, reforçam a sua importância crucial na prevenção e detecção prematura de doenças raras, por ser a porta de entrada da população que busca o socorro do SUS. Um tratamento pré-natal bem realizado pode prevenir, segundo o texto, “anomalias congênitas, deficiência intelectual, erros inatos do metabolismo, doenças raras não genéticas e também ao reconhecimento do indivíduo com necessidade de atendimento em doenças raras” (BRASIL, 2014, p. 08).

O treinamento contínuo dos profissionais da Atenção Básica à Saúde também contribui para a identificação de enfermidades e o encaminhamento regulado adequado para os casos que surgem no atendimento primário (BRASIL, 2014).

Ademais, é detalhado que antes e após o diagnóstico a Atenção Primária deverá acompanhar os pacientes com doenças raras de seu território, tais como o Projeto Terapêutico Singular (PTS), proporcionando, ainda, a análise e conscientização acerca das situações ambientais favoráveis ao surgimento de enfermidades, grau de parentesco e convivência com outros afetados (BRASIL, 2014).

No que se refere à atenção domiciliar, as diretrizes não especificam um tratamento uniforme, pois cada situação depende do grau de incapacidade do paciente diagnosticado com doença rara. Consubstancia, contudo, que a Portaria GM/MS nº 963, de 27 de maio de 2013, que redefine a Atenção Domiciliar no âmbito do SUS visa “à humanização da atenção, à redução da demanda por atendimento hospitalar e/ou redução do período de permanência de usuários internados, à desinstitucionalização, ao apoio à rede de serviços (principalmente à Atenção Básica) e à ampliação da autonomia dos usuários” (BRASIL, 2014, p. 10).

Envolve, assim, uma atuação multiprofissional que promove a articulação entre pacientes, família, cuidador, comunidade e serviços de saúde, buscando promover a independência e a

inclusão dos pacientes com a comunidade, visando a minimização de incapacidades e a autonomia das famílias (BRASIL, 2014).

Em relação à atenção especializada ambulatorial e hospitalar, as diretrizes afirmam que esta deverá oferecer aos pacientes diagnosticados com doenças raras (BRASIL, 2014):

- a) Acesso a recursos diagnósticos e terapêuticos, mediante protocolos e diretrizes;
- b) Acesso à informação;
- c) Aconselhamento Genético, quando indicado;
- d) Estruturação do cuidado de forma integrada e coordenada, desde o acolhimento, apoio, reabilitação e prevenção;
- e) Apoio matricial à Atenção Básica;
- f) Apoio matricial à atenção básica pós Aconselhamento Genético (p. 12).

Nota-se a necessidade de atuação da saúde pública de forma ampla, com assistência multiprofissional especializada para a identificação, acompanhamento e garantia de maior autonomia e independência dos pacientes e seus familiares, privilegiando, sempre que possível a atenção domiciliar.

O cumprimento correto de tais protocolos é de extrema importância tanto para o desenvolvimento dos pacientes, quanto para o cotidiano familiar, uma vez que a descoberta de um diagnóstico de doença rara, segundo Alves (2020), citando estudo realizado Luz, Silva e Demontigny (2015), inicia um itinerário de resiliência das famílias daqueles pacientes:

Itinerários que começam pela (i) busca de obtenção do diagnóstico correto e que prosseguem pelos (ii) da compreensão ativa da enfermidade e como tratá-la; (iii) do acesso a medicamentos pouco disponíveis (“medicamentos órfãos”) ou muito caros; (iv) da rigorosa manutenção terapêutica e, ainda, (v) o da maior mitigação de danos possíveis aos enfermos (ALVES, 2020, online).

Ademais, além do paciente, é necessária a abordagem terapêutica dos familiares que acompanham estes pacientes, pois o diagnóstico de um filho com doença rara modifica todo o contexto emocional e físico do ambiente familiar, trazendo muita dor, insegurança e modificação dos papéis cotidianos (DUARTE, 2021).

### **3 ATROFIA MEDULAR ESPINHAL – AME E SEU TRATAMENTO**

Dentre as doenças raras existentes a Atrofia Medular Espinhal – AME – que é uma enfermidade degenerativa, geneticamente transmissível, que interfere na capacidade do corpo para a produção de uma proteína essencial para a sobrevivência de neurônios motores (BRASIL, 2024).

Do ponto de vista técnico, a sigla AME compreende, em verdade, um grupo de doenças caracterizadas por degeneração progressiva dos neurônios motores localizados no corno anterior da medula e nos núcleos de nervos cranianos e, segundo Lefebvre et al (1995) e Russman (2007), em

mais de 95% (noventa e cinco por cento) dos casos, a forma mais comum de AME é causada por mutações homozigóticas no gene 1 de sobrevivência do motoneurônio SMN1 (survival motor neuron 1), responsável pela codificação da proteína SMN e localizado NA região telomérica do cromossomo 5q13.

Depois da fibrose cística, a AME é considerada a principal desordem fatal de caráter genético (1:6.000), com uma incidência de 1:6.000 a 1:10.000 nascimentos, ou seja, uma frequência de nascimentos de um a cada 40 (quarenta) a 60 (sessenta) indivíduos (PRIOR, 2007).

Os principais sintomas da AME incluem fraqueza e atrofia muscular, que pioram com o tempo (INAME, 2021), sintomas estes que muito se assemelham com diversas outras enfermidades e necessitam de uma análise técnica de profissionais capacitados para melhor aferição.

Em outubro de 2022, o Ministério da Saúde registrou cerca de 1.509 pacientes com AME no Brasil, sendo que deste total 511 (quinhentos e onze) pacientes tinham o Tipo I da doença, 508 (quinhentos e oito) o Tipo II e 367 (trezentos e sessenta e sete) o Tipo III. (CÂMARA DOS DEPUTADOS, 2022).

No estado do Piauí o Hospital Infantil Lucídio Portella – HILP, segundo documentos que instruem o Procedimento Administrativo 29ª PJ nº 10/2024, SIMP nº 000046-030/2024, registrou de 2017 a 2024 o atendimento e o diagnóstico de 24 (vinte e quatro) crianças piauienses, 05 (cinco) crianças maranhenses, uma criança manauara e uma criança originária do Rio Grande do Norte.

A Lei nº 14.154, de 26 de maio de 2021, que visa o aperfeiçoamento do Programa Nacional de Triagem Neonatal – PNTN (Teste do Pezinho) previu a detecção da Atrofia Muscular Espinhal por meio deste, contudo, tal detecção deverá ser implementada apenas na Etapa 05 (última etapa) da implementação escalonada da triagem ampliada pelo SUS. Atualmente, apenas no estado de Minas Gerais (UFMG, 2024) e no Distrito Federal (Lei Distrital nº 6.925/2021) realizam a detecção da AME por meio do Teste do Pezinho realizado pelo SUS.

A classificação da AME é realizada de acordo com a idade de aparecimento dos sintomas e da máxima capacidade motora do paciente, podendo ser classificada em AME Tipo I, também denominada como AME severa, aguda ou doença de Werdnig-Hoffmann; AME Tipo II, também chamada de intermediária ou AME crônica; AME Tipo III, também conhecida como branda, juvenil ou doença de Kugelberg-Welander; e AME Tipo IV, conhecida em outros termos como AME adulta (RUSSMAN, 2007). Para outros autores, contudo, existiriam apenas três classificações: severa, intermediária e branda (CHANG et al, 2001).

A AME Tipo I é caracterizada pelo seu início precoce dos sintomas de dificuldade de desenvolvimento da mobilidade, entre 0 (zero) a 6 (seis) meses de idade e possui cura expectativa de vida (menor que dois anos). As crianças têm pouco controle da cabeça e apresentam choro e

tosse fracos e antes de completarem um ano de idade perdem a capacidade de engolir e se alimentarem por conta própria. Com a fraqueza do tronco, geralmente afetam os músculos intercostais e conseqüentemente a capacidade respiratória, necessitando de aparelhos para auxiliar a respiração (OSKOUI et al, 2007).

No caso da AME Tipo II os sintomas surgem por volta dos 6 (seis) a 18 (dezoito) meses de vida e os pacientes melhores desenvolvidos conseguem ficar em pé quando apoiados, ainda que não consigam andar independentemente, podem apresentar dificuldade para tossir e limpar secreções da traqueia, além de poderem apresentar tremores finos e desenvolver escolioses, com uma expectativa de vida que varia entre 10 (dez) a 40 (quarenta) anos. (WANG et al, 2007).

Para a AME Tipo III os primeiros sintomas surgem após os 18 (dezoito) meses e segundo classificação de Wirth et al (2006) ela pode ser subclassificada em AME tipo IIIa, quando a doença surge antes dos três anos de idade, casos nos quais os indivíduos mantém a capacidade de andar até os vinte anos de idade, e AME tipo IIIb, quando a doença surge após os três anos de vida e em cujos casos os pacientes conseguem andar por toda a vida. Os pacientes de AME Tipo III podem apresentar dificuldades de engolir e tossir e hipoventilação, mas com menor frequência quando comparado aos tipos anteriores e também podem apresentar escoliose. Sua expectativa de vida é indefinida. (RUSSMAN, 2007).

No caso da AME Tipo IV não existe consenso quanto à idade de surgimento dos sintomas, mas para Russman (2007) seus sintomas surgem após os 10 (dez) anos de idade. Os prejuízos motores desta modalidade são suaves e não ocorrem problemas de deglutição e respiração, apresentando expectativa de vida normal. (WANG ET AL, 2007).

Além do tratamento clínico, o diagnóstico precoce da AME pode proporcionar uma melhoria significativa dos sintomas por meio da utilização de drogas inibidoras da enzima histona desacetilase, elas ativam o gene para a produção da proteína SMN. (SUMNER, 2003).

No Brasil, existem medicamentos registrados no SUS para o tratamento da AME, são eles o Spinraza (nusinersena), o Zolgensma (Onasemnogeno abeparvoveq) e o Evrysdi (Risdiplam). O Spinraza é um oligonucleotídeo anti-sense aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA com forma de administração intratecal (acontece dentro das membranas ou meninges que envolvem a medula espinhal) e é utilizado nos protocolos de atendimento SUS da AME Tipo I e Tipo II (INAME, 2024).

Através da Portaria do Ministério da Saúde nº 24 de 24 de abril de 2019 foi aprovada a utilização do Spinraza pelo SUS para o tratamento da AME Tipo I e por meio da Portaria do Ministério da Saúde nº 1.297 de 11 de junho de 2019 foi aprovada a utilização do mesmo medicamento para o tratamento da AME Tipo II e Tipo III.

Para os pacientes de AME Tipo I a incorporação do Spinraza pelo SUS foi realizada pelos moldes tradicionais e para os pacientes do Tipo II e Tipo III foi realizada na modalidade de compartilhamento de riscos (a aplicação desse tratamento seria remunerada somente se houvesse comprovação de resultados clínicos benéficos ao paciente em cada caso concreto).

A aplicação do Spinraza por ser realizada na modalidade da via intratecal, por punção lombar, deve ser realizada por profissional da saúde qualificado especificamente para tal e em ambiente adequado (ROSA, 2022).

Os pacientes elegíveis para o uso da medicação Spinraza são aqueles não acometidos por insuficiência respiratória que necessitem de suporte ventilatório invasivo permanente (ventilação mecânica), consoante recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), e depende também da idade de início dos sintomas, conforme a maioria das agências de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) (ROSA, 2022).

O preço do medicamento Spinraza no mercado é de aproximadamente R\$ 420.000,00 (quatrocentos e vinte mil reais), sendo que todo o tratamento ultrapassaria a margem de um milhão de reais. (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2017).

Já o medicamento Risdiplam foi incorporado em 2022 para o tratamento de AME Tipo I e Tipo II pelo SUS, pela Portaria SCTIE/MS nº 19, de 11 de março de 2022, tomando por base os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q tipos I e II que indicam o uso da medicação para crianças com até três cópias de SMN<sub>2</sub>.

A medicação Risdiplam é administrada pela via oral ou por uma sonda de alimentação todos os dias e ajuda o corpo a produzir e manter a proteína SMN, o que pode reduzir a perda de células nervosas e melhorar a força muscular. (SECRETARIA DE SAÚDE DO ESTADO DE SANTA CATARINA, 2024).

O custo médio do valor de comercialização de mercado da medicação Risdiplam é em torno de R\$ 70.000,00 (setenta mil reais), sendo também considerado como medicamento de alto custo, apesar de ser bem mais acessível que o Spinraza e o Zolgensma (ACADEMIA MÉDICA, 2024).

No caso do medicamento Zolgensma, a Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro de 2022, incorporou o medicamento para o tratamento da AME Tipo I, sendo este indicado para crianças com até seis meses de idade e que também não estejam fazendo uso de ventilação invasiva por mais de dezesseis horas por dia.

Apesar, contudo, da portaria determinar a limitação de idade de seis meses para a administração da medicação via SUS, judicialmente, diversos tribunais, incluindo o Supremo Tribunal Federal - STF – em variados julgados já determinaram a condenação da União e dos Estados Federados ao fornecimento do Zolgensma para pacientes além desta idade.

Na análise da Suspensão de Tutela Provisória (STP) 790, em agosto de 2021, o STF, por meio do Ministro Luiz Fux, determinou que o Estado de São Paulo fornecesse Zolgensma para uma criança diagnosticada com AME Tipo II e considerou que apesar da ANVISA recomendar o uso para crianças com idade inferior a dois anos, há aprovação de agências renomadas no exterior para uso em crianças mais velhas (STF, 2021).

Em setembro de 2023, nos autos da Reclamação (RCL) 62049, o ministro Cristiano Zanin determinou que a União fornecesse o Zolgensma a uma menina de 2 anos com AME. O ministro entendeu que não existem mais dúvidas acerca da eficácia do medicamento e que a idade da criança não deveria ser um impedimento para o tratamento (STF, 2023).

O valor de mercado da medicação Zolgensma é de cerca de R\$ 6.000.000,00 (seis milhões de reais) e ingressou também no rol de medicamentos e procedimentos que possuem cobertura dos planos de saúde no Brasil por decisão da Agência Nacional de Saúde Suplementar – ANS.

No âmbito do Estado do Piauí, o Hospital Infantil Lucídio Portella – HILP – tornou-se referência no tratamento de pacientes com AME no Norte e Nordeste do Brasil, tornando-se também a primeira unidade de saúde pública habilitada no SUS a aplicar o medicamento Zolgensma (PORTAL DA SAÚDE, 2024).

Importante ressaltar, contudo, que a manipulação medicamentosa não é a única forma de tratamento da AME e como bem afirma o Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal: “além da família e do tratamento medicamentoso, o cuidado multidisciplinar é parte fundamental desse processo. Somente com esses três pilares é possível potencializar os resultados e obter melhor qualidade de vida para o paciente” (INAME, 2021, p. 38).

Destaca o INAME (2021) a importância dos cuidados respiratórios, sendo os problemas desta natureza a maior causa de morte dos pacientes de AME Tipo I e II e reúne a importância da realização de fisioterapia respiratória, a utilização de ventilação mecânica quando necessária, o gerenciamento de secreções, técnicas de empilhamento de ar e insuflação passiva com Ambu e a utilização de equipamentos como BiPAP (ventilador com suporte pressórico em modo binível), máquina de tosse (Insuflador-Exsuflador mecânico- Cough-Assist), Ambu, Oxímetro de pulso, aspirador e nebulizador.

Dentre os cuidados motores e ortopédicos, o INAME (2021) assevera a necessidade de controle de deformidades e controle de funcionalidades com o emprego de técnicas de alongamento, posicionamento, uso de órteses e exercícios, além do uso de equipamentos e dispositivos auxiliares, tais como: headpods; parapodium e mesa ortostática; sistema de assento e mobilidade; sistema de suporte de braço móvel para auxiliar a função da extremidade superior;

dispositivos de rastreamento ocular para computadores e comunicação; carrinhos que reclinem e tenham a função de deitar-se; cadeiras que tenham reclinção/inclinação; e andadores adaptados.

Quanto aos cuidados nutricionais, o INAME (2021) enumera como benefícios de uma boa nutrição: crescimento adequado e dentro do esperado; melhora da imunidade e menos riscos de adoecimento; suporte energético para a otimização da função motora; e melhora na qualidade de vida. Cataloga as estratégias nutricionais de ingestão calórica e intervalos de jejum, alimentação por via oral, alimentação por sonda, gastrostomia e funduplicatura de Nissen e os tipos de dieta.

Como cuidados fonoterápicos, o INAME (2021) relaciona que com o bom desempenho da fonoterapia é possível avaliar a mímica facial; padrões de comunicação verbal e não verbal; capacidade e intenção comunicativa; linguagem e fala; comunicação suplementar e alternativa; sensibilidade e mobilidade dos órgãos fonoarticulatórios para alimentação e fala; coordenação pneumofonoarticulatória e padrão respiratório para as funções neurovegetativas de sucção, mastigação, deglutição e fonação; e controle e gerenciamento da deglutição.

Ressalta, por fim, o INAME (2021) a necessidade de cuidados odontológicos e ortodônticos dos pacientes com AME que geralmente possuem problemas como: o arco superior estreito e profundo; incisivos superiores protruídos (avançados para frente); mordida cruzada posterior; mordida aberta anterior; apinhamento dentário (dentes tortos); aumento da altura facial anteroinferior; ausência de selamento labial (fechamento dos lábios); retrognatismo (queixo que se desenvolve menos e fica para trás em relação ao terço médio da face); e postura baixa de língua.

Dentro da dinâmica dos cuidados com a AME a longo prazo, o INAME (2021) salienta a importância da estruturação do home care para os casos que sejam viáveis clinicamente e afirma que:

O home care é vantajoso para o paciente e sua família, porque possibilita que todos os cuidados necessários sejam conduzidos em casa, favorecendo o convívio familiar, além da redução do risco de contrair infecção hospitalar e de sofrer complicações. Também é vantajoso para os provedores de saúde públicos e privados, porque a manutenção do paciente em sistema de home care é mais econômica do que manter o paciente internado continuamente. Por fim, é vantajoso para a sociedade, à medida que possibilita o rodízio dos leitos hospitalares, que caso contrário ficam “presos” com um paciente vivendo por anos dentro de um hospital (INAME, 2021, p. 110).

O tratamento *home care* deve ser acompanhado de equipe multidisciplinar e, conforme a Resolução RDC nº 11, de 26 de janeiro de 2009, que dispõe sobre o Regulamento Técnico de Funcionamento de Serviços que prestam Atenção Domiciliar. Estas equipes deverão ser implementadas nos municípios como Equipes Multiprofissionais de Atenção Domiciliar – EMAD.

As Equipes Multiprofissionais de Atenção Domiciliar – EMAD – fazem parte do Programa Melhor em Casa do Governo Federal, caracterizada por diversas ações e um corpo de profissionais

(médicos, enfermeiros, técnicos de enfermagem, fisioterapeutas e assistentes sociais) que garantem a continuidade do cuidado integrado à Rede de Atenção à Saúde (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2024).

Acompanham ainda as equipes EMAD, nos termos do que dispõe a Portaria GM/MS nº 963 de 27 de maio de 2013 em seu artigo 9º, as Equipes Multiprofissionais de Apoio – EMAP – compostas de, no mínimo, 3 (três) profissionais de saúde de nível superior, com carga horária semanal mínima de 30 horas, eleitos entre as seguintes categorias: assistente social, fisioterapeuta, fonoaudiólogo, nutricionista, odontólogo, psicólogo, farmacêutico e terapeuta ocupacional.

Para a criação de Serviço de Atenção Domiciliar – SAD – no município, segundo o que também prescreve a referida portaria em seu artigo 6º, é necessário:

I - apresentar, isoladamente ou por meio de agrupamento de Municípios, conforme pactuação prévia na Comissão Intergestores Bipartite (CIB) e, se houver, na Comissão Intergestores Regional (CIR), população igual ou superior a 20.000 (vinte mil) habitantes, com base na população estimada pela Fundação Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística (IBGE);

II - estar coberto por Serviço de Atendimento Móvel de Urgência (SAMU 192); e

III - possuir hospital de referência no Município ou região a qual integra.

Parágrafo único. Nos Municípios com população superior a 40.000 (quarenta mil) habitantes, a cobertura por serviço móvel local de atenção às urgências diferente do SAMU 192 será, também, considerada requisito para a implantação de um SAD. (MINISTÉRIO DA SAÚDE, online).

Quando o paciente necessitar de visitas com menor frequência, tais como acompanhamento mensal de profissionais, estas podem ser realizadas por equipes da Atenção Básica de Saúde como as Equipes de Saúde da Família de sua referência (MINISTÉRIO DA SAÚDE, 2024).

#### **4 O PAPEL DO MINISTÉRIO PÚBLICO NA GARANTIA DA PRESTAÇÃO DO SERVIÇO DE SAÚDE PÚBLICA**

O artigo 127 da Constituição da República Federativa do Brasil de 1988 - CRFB/88 conceitua o Ministério Público como instituição permanente e essencial à função jurisdicional do Estado, incumbindo-lhe a defesa da ordem jurídica, do regime democrático e dos interesses sociais e individuais indisponíveis.

Quanto a suas atribuições, segundo Guimarães Jr. (1993) a Constituição atribuiu ao Ministério Público um papel primordialmente de agente, ressaltando também que o artigo 129 da Carta Magna emprega em seus quatro primeiros incisos o verbo “promover”, demonstrando o papel de promoção e garantia da justiça a ser desempenhado pelo órgão ministerial.

Para Goulart (1998) a CRFB/88 consolidou uma nova visão do Ministério Público enquanto uma instituição que não se direcionaria apenas ao protagonismo da Ação Penal, mas também como

propiciador do respeito aos Direitos Fundamentais da sociedade, um verdadeiro garantidor dos interesses sociais e dos valores democráticos:

Ao projetar um Estado social dirigido à promoção do bem comum, não foi difícil ao constituinte reconhecer no Ministério Público um dos canais que a sociedade poderia dispor para a consecução do objetivo estratégico da República, qual seja a construção de uma democracia econômica e social. A trajetória traçada historicamente pela instituição habilitou-a a representação dos interesses sociais e dos valores democráticos. Nessa perspectiva, a Constituição de 1988 consolidou o novo perfil político-institucional do Ministério Público, definindo o papel essencial que deve desempenhar numa sociedade complexa, no regime democrático, da ordem jurídica e dos interesses sociais e individuais indisponíveis, instrumentalizando-o para tais fins (GOULART, 1988, p. 78).

Neste mesmo sentido, Almeida (2014), diante do atual paradigma, entende que o Ministério Público deixou de ser entendido como mero Guardiã da Lei (*custus legis*) para passar a figurar como o Guardiã da Sociedade (*custus societatis*) cuja atuação está associada aos objetivos constitucionais da República prescritos no artigo 3º da CRFB/88 para a construção de uma sociedade livre, justa e solidária.

Goulart (2013) também afirma que, dentro deste contexto, a atuação do Ministério Público é classificada em duas categorias: uma demandista e uma resolutive; sendo que na primeira modalidade o membro do Ministério Público prestigia a resolução de demandas por meio de decisões que partiriam do Poder Judiciário e na segunda modalidade assumiria as técnicas alternativas de resolução dos conflitos por meio de seu viés extrajudicial.

O Conselho Nacional do Ministério Público – CNMP – formulou em 2017 a Recomendação nº 54 de 28 de março, que dispõe sobre a Política Nacional de Fomento à Atuação Resolutive do Ministério Público brasileiro e no § 1º, de seu artigo 1º, conceitua a atuação resolutive do Ministério Público como sendo aquela que “contribui decisivamente para prevenir ou solucionar, de modo efetivo, o conflito, problema ou a controvérsia envolvendo a concretização de direitos ou interesses para cuja defesa e proteção é legitimado o Ministério Público” (CNMP, 2017, online).

Aduz ainda o Conselho Nacional na Resolução citada que sempre que possível, e conforme a situação concreta, será priorizada a resolução extrajudicial do conflito, especialmente se este caminho puder trazer maior celeridade e efetividade para a satisfação das questões que surgem para a intervenção ministerial (CNMP, 2017).

De forma a melhor esclarecer estes termos, Goulart (2013) preceitua os termos nos quais deverá se desenvolver a melhor atuação resolutive e extrajudicial dos membros do Ministério Público:

De forma reflexiva (obtida com o conhecimento pelos agentes ministeriais da realidade social da adstrição territorial em que atuam), proativa (antecipadamente às situações de crise, visando ao atuar preventivo-profilático) e dialógica (como

verdadeira Instituição de articulação e negociação com os demais sujeitos políticos para discussão de estratégias consensuais e democráticas de enfrentamento de crises), o Membro do Ministério Público na atualidade encerra em si o múnus da resolução das questões e impasses que lhes são postos preferencialmente de maneira direta e independente, a partir dos procedimentos extrajudiciais próprios da Instituição, levando-se às últimas conseqüências o princípio da autonomia funcional e a efetiva tutela dos interesses coletivos (GOULART, 2013, p. 122).

Atrelado a tudo que já foi exposto, tem-se, enquanto indispensável direito fundamental de segunda dimensão previsto na Constituição Federal, o direito à saúde, que conforme seu artigo 196, é um 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).

A Constituição Federal realça em seu artigo 6º o direito à saúde como um direito social fundamental, tratando-se a competência comum de seu exercício à União, Estados, Distrito Federal e Municípios (art. 23, II), reiterando ainda em seu artigo 30, VII ser competência do ente municipal prestar, com a cooperação técnica e financeira da União e do Estado, serviços de atendimento à saúde da população (BRASIL, 1988).

Válido destacar, ainda, que o direito à saúde está diretamente relacionado com o direito fundamental à vida, previsto no caput do art. 5º da atual Carta Política brasileira, como pressuposto essencial da qualidade da pessoa, representando o fim último do Estado e da sociedade pela Constituição Federal de 1988, documento este de natureza, por excelência, antropocêntrico (BRASIL, 1988).

Ademais, a legislação infraconstitucional, com destaque especial à Lei nº 8.080 de 19 de setembro de 1990, Lei Orgânica do Sistema Único de Saúde – SUS, reafirma o dever do estado na garantia e prestação do serviço de saúde pública (BRASIL, 1990).

No artigo 7º da Lei 8.080/90 são descritos os princípios e as diretrizes do SUS, podendo ser destacados a universalidade de acesso aos serviços de saúde em todos os níveis de assistência; a integralidade de assistência; a preservação da autonomia das pessoas na defesa de sua integridade física e moral; a igualdade de assistência à saúde, entre outros (BRASIL, 1990).

Clarividente, pois, que um direito de tamanha magnitude como o direito à saúde necessite da fiscalização e atuação do Ministério Público na busca da garantia do mínimo existencial e para o melhor desenvolvimento das políticas públicas em prol de sua assistência (FERNANDES, 2016).

Considerando-se, desta forma, a atuação resolutiva extrajudicial do Ministério Público na resolução de conflitos relacionados à prestação do serviço de saúde pública, é possível a colaboração do *Parquet* para negociar com o Poder Público e juntos construir um diálogo que origine protocolos de atuação para as demandas presentes e futuras (FERNANDES, 2016).

## 5 PROJETO RECONSTRUINDO LAÇOS NA SAÚDE

O Ministério Público do Estado do Piauí, por meio da 29ª e 12ª Promotorias de Justiça - PJ de Teresina, especializadas na defesa da saúde pública, depararam-se no ano de 2018 com uma difícil realidade: o bloqueio e a superlotação de leitos de enfermaria pediátrica do Hospital de Urgência de Teresina – HUT – e do Hospital Infantil Lucídio Portella – HILP – em decorrência da internação prolongada de crianças diagnosticadas com doenças raras e crônicas, sendo em sua maioria a AME.

Observou-se que a maioria desses pacientes internados nos referidos hospitais, localizados em Teresina-PI, não eram originários da capital piauiense, cujas famílias, inclusive, distavam muitos quilômetros, fator que provocava a migração e a internação nos hospitais também de seus acompanhantes, rompendo assim vínculos familiares preexistentes.

Em razão de tal fato, foi instaurado Inquérito Civil Público – ICP – que posteriormente originou três Procedimentos Administrativos – PA – nestas PJs (PA nº 10/2024, SIMP nº 000046-030/2024; PA nº 11/2024, SIMP nº 000047-030/2024; e PA nº 12/2024, SIMP nº 000048-030/2024) que visam acompanhar mensalmente cada um destes pacientes de longa internação duradoura e avaliar a possibilidade de transferência para uma unidade hospitalar mais próxima de suas cidades de origem ou a desospitalização, com consequente tratamento *home care*.

As atividades acontecem com a análise dos relatórios clínicos e sociais enviados pelas equipes daqueles hospitais às duas Promotorias de Saúde e por meio de Audiências Extrajudiciais Itinerantes, que acontecem mensalmente dentro das unidades hospitalares e servem para discutir a melhor resolução extrajudicial dos casos, com a posterior inspeção hospitalar e visita aos pacientes internados.

É realizada ainda escuta ativa dos pais de cada paciente, com análise da viabilidade clínica e social, respeitada, inclusive, a vontade daqueles responsáveis para a avaliação de cada caso de transferência ou desospitalização.

A partir desta atuação prática, diante da sensível condição dos aspectos tratados e pela construção programada e consciente de protocolos padronizados para a resolução de casos futuros, surgiu em 2022 o Projeto Reconstruindo Laços na Saúde que visa a reconexão de laços familiares e a humanização na prestação de serviço de saúde a pacientes de longa permanência hospitalar.

Esse projeto já conseguiu como resultados a redução da taxa de ocupação de leitos de UTI infantil do HILP que caiu de um percentual de 96% em fevereiro de 2018 (antes do início da prática) para um percentual de 72% em novembro de 2023, após cinco anos de prática, correspondendo a uma queda de 24%.

Conseguiu também a desocupação quase completa dos leitos de enfermaria infantil do HUT, que atualmente conta com apenas um paciente que está em vias de conclusão de seu processo de desospitalização.

Já foram realizadas 24 (vinte e quatro) audiências extrajudiciais e itinerantes, nas quais foram dialogadas diversas medidas para soluções das problemáticas apresentadas, bem como, através do diálogo proporcionado nas sessões, foi possível a regulação de diversos bebês das maternidades da capital para realização de procedimentos cirúrgicos nos hospitais da cidade, procedimentos estes que viabilizaram a alta hospitalar destes pacientes.

Conseguiu-se a desospitalização de 19 (dezenove) crianças para cumprirem tratamento domiciliar e três regulações para hospitais da rede pública localizados no interior do estado (02 para Piri-piri e 01 para Elesbão Veloso).

Em meio ao desenvolvimento do Projeto, o Hospital Infantil Lucídio Portella – HILP - tornou-se hospital de referência no norte e nordeste do Brasil para o tratamento da AME e além de realizar a aplicação medicamentosa de Spinraza e Zolgensma em diversos pacientes, também contribuiu com a formação de parcerias com a iniciativa privada para a capacitação de médicos e enfermeiros no diagnóstico precoce dessa doença.

Além da parceria firmada com o Poder Público e com os profissionais da saúde para o desenvolvimento do projeto, também foram firmadas parcerias com diversos conselhos de classe e associações, sendo que, por meio da parceria firmada com o Conselho Regional de Fisioterapia e Terapia Ocupacional da 14ª Região – CREFITO 14 – foi possível o treinamento de fisioterapeutas para atuação específica junto a pacientes com AME.

Ademais, por meio de compromisso firmado pelos hospitais teresinenses são realizados os treinamentos das equipes hospitalares dos hospitais de destino dos pacientes antes da realização das transferências, além de ser garantido o atendimento porta aberta para caso de intercorrências futuras.

Com a visibilidade dos casos e acompanhamento monitorado foi possível o direcionamento de recursos públicos para a realização de reformas hospitalares diversas, sendo que apenas no HILP aconteceu ampla reforma, além da criação de Unidade de Cuidados Especiais – UCE, uma semi UTI que é dedicada exclusivamente para pacientes com diagnóstico de doenças raras, além da disponibilização de outros dez novos leitos de UTI infantil, totalizando um acréscimo de 18 (dezoito) leitos.

Além disso, os hospitais do interior do estado, para os quais foram transferidos pacientes ou estão em vias de transferência, também puderam ser beneficiados com reformas estruturais e equipagem para o recebimento daquelas crianças, tais como as reformas realizadas no Hospital

Regional Chagas Rodrigues – Piripiri-PI, no Hospital Estadual Norberto Moura – Elesbão Veloso-PI e no Hospital Regional José da Rocha Furtado – União-PI.

O trabalho realizado pelo projeto é contínuo e a transferência ou desospitalização de cada paciente conta com um longo e minucioso processo de avaliação e negociação, para que futuramente, com a padronização das práticas, seja garantida melhor qualidade de vida aos pacientes e seus familiares e não seja mais necessária a diáspora familiar e o rompimento de laços que ocasionem também o bloqueio de leitos hospitalares por tempo indefinido.

## 6 CONCLUSÃO

Desenvolver políticas públicas em saúde e saber como melhor direcionar a distribuição dos recursos públicos nesta área não é tarefa simples e cabe ao Ministério Público, especialmente quando na figura de Promotorias de Justiça dotadas de atribuição específica em saúde pública, acompanhar e orientar os gestores públicos para um melhor desenvolvimento destas políticas que tanto podem contribuir para a sociedade.

As doenças raras, apesar de afetarem um número reduzido de indivíduos, necessitam de grande atenção do Poder Público, pois a definição adequada do tratamento e do direcionamento dos pacientes pode evitar o bloqueio de leitos e proporcionar grande economia aos cofres públicos.

Além do viés político, existe também forte impacto social dos temas acompanhados pelo projeto “Reconstruindo Laços na Saúde”, pois a reconexão dos laços familiares anteriormente desgastados contribui também com o tratamento destes pacientes, proporcionando melhorias na sua qualidade de vida e de seus acompanhantes.

Cada caso acompanhado é de extrema relevância e demonstra o quanto o Ministério Público pode contribuir com a sociedade quando adota uma postura acessível, negociando as particularidades de cada demanda em audiências itinerantes, fora de seu gabinete, e mais próximo das unidades de saúde, dos profissionais de saúde, dos pais e mães de pacientes internados, que se sentem mais amparados que simplesmente com a resolução fria de um magistrado que sequer acompanhou a sua realidade ou avaliou os riscos e implicação prática de uma decisão judicial imposta à Fazenda Pública e que não garante o cumprimento de demandas futuras.

As negociações demandam certo tempo, pois dependem da robustez da certeza de absoluta segurança para cada paciente e para seus familiares. Mas ainda que demandem um tempo considerável, este tempo é infinitamente menor se comparado à falta de resolução prática da situação que se anunciava no ano de 2018, quando o relato comovente de uma mãe que pedia pela

transferência de sua filha para um hospital mais próximo de seu município de origem comoveu a equipe das 29ª e 12ª Promotorias de Justiça de Teresina para a elaboração deste projeto que reconstrói laços e encurta distâncias, humanizando a prestação do serviço de saúde pública.

## REFERÊNCIAS

ACADEMIA MÉDICA. Risdiplam, medicamento para Atrofia Muscular Espinhal que custa em média R\$ 70 mil, será incorporado ao SUS. 2024. Disponível em: <https://academiamedica.com.br/blog/risdiplam-medicamento-para-atrofia-muscular-espinhal-que-custa-em-media-rdollar70-mil-sera-incorporado-ao-sus> . Acesso em: 31/10/2024.

ALMEIDA, Gregório Assagra de. **O Ministério Público no Neoconstitucionalismo: perfil constitucional e alguns fatores de sua legitimação social**. In: Revista do Ministério Público do Rio de Janeiro, Rio de Janeiro, n. 53, p. 79-98, jul./ set. 2014.

ALVES, Jones Figueirêdo. **As famílias raras e os itinerários resilientes**. IBDFAM, 2020. Disponível em: <https://ibdfam.org.br/artigos/1585/As+fam%C3%ADias+raras+e+os+seus+itiner%C3%A1rios+resilientes+> . Acesso em: 31/10/2024.

ARAÚJO, AP, RAMOS, VG, CABELLO, PH. **Dificuldades diagnósticas na atrofia muscular espinhal**. Arq Neuropsiquiatr, 2005.

BRASIL. **Constituição da República Federativa do Brasil de 1988**. Disponível em: [https://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/constituicao/constituicao.htm](https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/constituicao/constituicao.htm) . Acesso em: 05/11/2024.

BRASIL. **Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990**. Disponível em: [https://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/leis/l8080.htm](https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm). Acesso em: 05/11/2024.

BRASIL. **Lei nº 14.154, de 26 de maio de 2021**. Disponível em: [https://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/\\_ato2019-2022/2021/lei/L14154.htm](https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2021/lei/L14154.htm) . Acesso em: 05/11/2024.

BRASIL. **Lei nº 14.593, de 02 de junho de 2023**. Disponível em: [https://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/\\_ato2023-2026/2023/lei/114593.htm#:~:text=LEI%20N%C2%BA%2014.593%2C%20DE%2022,Dia%20Nacional%20de%20Doen%C3%A7as%20Raras.&text=NR\)-,Art.,na%20data%20de%20sua%20publica%C3%A7%C3%A3o](https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2023-2026/2023/lei/114593.htm#:~:text=LEI%20N%C2%BA%2014.593%2C%20DE%2022,Dia%20Nacional%20de%20Doen%C3%A7as%20Raras.&text=NR)-,Art.,na%20data%20de%20sua%20publica%C3%A7%C3%A3o). Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Portaria nº 963, de 27 de maio de 2013**. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt0963\\_27\\_05\\_2013.html](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt0963_27_05_2013.html). Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Portaria GM/MS nº 24, de 24 de abril de 2019**. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/sctie/2019/prt0024\\_25\\_04\\_2019.html](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/sctie/2019/prt0024_25_04_2019.html) . Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Portaria GM/MS nº 1297, de 11 de junho de 2019**. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2019/prt1297\\_12\\_06\\_2019.html](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2019/prt1297_12_06_2019.html) . Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Projeto de Lei nº 682, de 2019**. Disponível em: <https://www25.senado.leg.br/web/atividade/materias/-/materia/135338#:~:text=Projeto%20de%20Lei%20n%C2%B0%20682%2C%20de%202019&text=Estabelece%20benef%C3%ADcios>

%20fiscais%20para%20o,sejam%20portadores%20de%20doen%C3%A7as%20raras. Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Projeto de Lei nº 3054, de 2020**. Disponível em: <https://www25.senado.leg.br/web/atividade/materias/-/materia/142265>. Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Projeto de Lei nº 4691, de 2019**. Disponível em: <https://25.senado.leg.br/web/atividade/materias/-/materia/13826>. Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Resolução RDC nº 11, de 26 de janeiro de 2006**. Disponível em: [https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2006/res0011\\_26\\_01\\_2006.html](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2006/res0011_26_01_2006.html) . Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Portaria SCITIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022**. Disponível em: [https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/ctie/2022/prt0017\\_14\\_03\\_2022.html](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/ctie/2022/prt0017_14_03_2022.html) . Acesso em: 31/10/2024.

BRASIL. **Portaria SCTIE/MS nº 172, de 06 de dezembro de 2022**. Disponível em: <https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/portaria-sctie/ms-n-172-de-6-de-dezembro-de-2022-448592328> . Acesso em: 31/10/2024.

CÂMARA DOS DEPUTADOS. **Queiroga diz que inclusão de remédio para AME no SUS depende da sustentabilidade do sistema**. 2022. Disponível em: <https://www.camara.leg.br/noticias/915918-queiroga-diz-que-inclusao-de-remedio-para-ame-no-sus-depender-da-sustentabilidade-do-sistema/#:~:text=Diretora%20nacional%20do%20Instituto%20Nacional,e%20367%20do%20tipo%203>. Acesso em: 31/10/2024.

CHANG, JG, HSIEH-LI, HM, JONG, YJ, WANG, NM, TSAI, CH, LI, H. **Treatment of spinal muscular atrophy by sodium butyrate**. Proc Natl Acad Sci U S A, 2001.

CNMP. **Recomendação nº 54, de 28 de março de 2017**. Disponível em: <https://www.cnmp.mp.br/portal/images/Recomendacoes/Recomenda%C3%A7%C3%A3o-054.pdf> . Acesso em: 05/11/2024.

DISTRITO FEDERAL. **Lei Distrital nº 6.925, de 02 de agosto de 2021**. Disponível em: <https://www.cl.df.gov.br/-/agora-c3-a9-lei-diagn-c3-b3stico-de-ame-ser-c3-a1-inclu-c3-addo-no-teste-do-pezinho#:~:text=Sa%C3%BAde-,%5BAgora%20%C3%A9%20Lei%5D%20Diagn%C3%B3stico%20de%20AME%20ser%C3%A1,inclu%C3%ADdo%20no%20teste%20do%20pezinho&text=O%20diagn%C3%B3stico%20de%20Atrofia%20Muscular,no%20Di%C3%A1rio%20Oficial%20do%20DF.&text=Diagn%C3%B3stico%20de%20AME%2C%20na%20modalidade,idade%20na%20forma%20mais%20grave>. Acesso em: 05/11/2024.

DUARTE, André Felipe Pinto. **Doenças raras: um olhar para toda a família**. Veja Saúde: São Paulo, 2021. Disponível em: <https://saude.abril.com.br/coluna/com-a-palavra/doencas-raras-um-olhar-para-toda-a-familia> . Acesso em: 31/10/2024.

FERNANDES, Antonio Joaquim Schellenberger Fernandes. **Direito à Saúde: Tutela Coletiva e Mediação Sanitária**. Belo Horizonte: Editora D'Plácido, 2016.

GOULART, Marcelo Pedroso. **Elementos para a teoria geral do Ministério Público**. Belo Horizonte: Arraes, 2013.

GOULART, Marcelo Pedroso. **Ministério Público e Democracia: teoria e práxis**. São Paulo: Editora de Direito, 1998.

GUIMARÃES JR., João Lopes. **Ministério Público: proposta para uma nova postura no processo civil**. *Justitia*, São Paulo, v. 55, n. 161, p. 29-39, jan./mar. 1993.

INAME. **Atrofia Muscular Espinhal: entender, cuidar e viver**. São Paulo: Editora Longarina, 2021.

INAME. **Tratamentos Aprovados**. 2024. Disponível em: <https://iname.org.br/tratamentos-da-ame/tratamentos-aprovados/> . Acesso em: 31/10/2024.

LEFEBVRE, S, BÜRGLIN, L, REBOULLET, S, CLERMONT, O, BURLET, P, VIOLLET, L, et al. **Identification and characterization of a spinal muscular atrophy-determining gene**. *Cell*, 1995.

LUZ, Geisa Dos Santos. SILVA, Maria Regina Santos da, DEMONTIGNY, Francine. **Doenças raras: itinerário diagnóstico e terapêutico das famílias de pessoas afetadas**. *Acta paul. enferm.* 2015, vol.28, n.5, pp.395-400. ISSN 1982-0194. Disponível em: [https://acta-ape.org/wp-content/uploads/articles\\_xml/1982-0194-ape-28-05-0395/1982-0194-ape-28-05-0395.x45416.pdf](https://acta-ape.org/wp-content/uploads/articles_xml/1982-0194-ape-28-05-0395/1982-0194-ape-28-05-0395.x45416.pdf) . Acesso em: 31/10/2024.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Atenção Domiciliar**. 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/saes/dahu/atencao-domiciliar> . Acesso em: 31/10/2024.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Atrofia Muscular Espinhal (AME)**. Gov.br: Brasília, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/a/ame> . Acesso em: 31/10/2024.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **28/02: Dia das doenças raras**. Biblioteca Virtual em Saúde: Brasília, 2023. Disponível em: <https://bvsmms.saude.gov.br/28-02-dia-das-doencas-raras/#:~:text=Segundo%20a%20Organiza%C3%A7%C3%A3o%20Mundial%20da,pessoas%20para%20cada%202.000%20indiv%C3%ADduos>. Acesso em: 28/10/2024.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde – SUS**. Brasília, 2014. Disponível em: [https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes\\_atencao\\_integral\\_pessoa\\_doencas\\_raras\\_SUS.pdf](https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes_atencao_integral_pessoa_doencas_raras_SUS.pdf) . Acesso em: 28/10/2024.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Doenças raras conhecer, acolher e cuidar**. Gov.br: Brasília, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/saes/doencas-raras> . Acesso em: 28/10/2024.

MINISTÉRIO DA SAÚDE. **Ministério da Saúde comprará medicamento Spinraza para atender ações judiciais**. 2017. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/2017/dezembro/ministerio-da-saude-comprara>

medicamento-spinraza-pela-metade-do-preco#:~:text=%E2%80%9CO%20pre%C3%A7o%20do%20medicamento%20oferecido,R%24%20420%20mil%20por%20ampola. Acesso em: 31/10/2024.

OSKOU, M, LEVY G, GARLAND, CJ, GRAY, JM, O'HAGEN, J, DE VIVO, DC, et al. **The changing natural history of spinal muscular atrophy type 1.** *Neurology*, 2007.

PRIOR, TW. **Spinal muscular atrophy diagnostics.** *J Child Neurol*, 2007.

PORTAL DA SAÚDE. **Hospital Infantil Lucídio Portella realiza ação de conscientização sobre a AME nesta sexta-feira (9).** 2024. Disponível em: <https://www.saude.pi.gov.br/noticias/2024-08-08/13018/hospital-infantil-lucidio-portella-realiza-acao-de-conscientizacao-sobre-a-ame-nesta-sexta-feira-9.html> Acesso em: 31/10/2024.

ROSA, Helena Villela. **Vamos falar sobre o medicamento spinraza – nusinersena?** Migalhas, 2022. Disponível em: <https://www.migalhas.com.br/depeso/363531/vamos-falar-sobre-o-medicamento-spinraza--nusinersena> . Acesso em: 28/10/2024.

RUSSMAN, BS. **Spinal muscular atrophy: clinical classifications and disease heterogeneity.** *J Child Neurol*, 2007.

SECRETARIA DE SAÚDE DO ESTADO DE SANTA CATARINA. **Guia de Orientação ao usuário do Risdiplam.** Disponível em: <https://www.saude.sc.gov.br/index.php/componente-especializado-da-assistencia-farmaceutica-ceaf/protocolos-clinicos-ter-resumos-e-formularios/atrofia-muscular-espinhal-5q-ame-tipo-i-e-ii/22000-guia-de-orientacao-ao-paciente-sobre-o-medicamento-risdiplam/file#:~:text=O%20Risdiplam%20funciona%20ajudando%20o,nos%20pacientes%20com%20a%20doen%C3%A7a>. Acesso em: 31/10/2024.

SENADO FEDERAL. **Doenças raras atingem cerca de 13 milhões de brasileiros.** Rádio Senado: Brasília, 2022. Disponível em: <https://www12.senado.leg.br/radio/1/noticia/2022/02/02/doencas-raras-atingem-cerca-de-13-milhoes-de-brasileiros#:~:text=Acromegalia%2C%20Diabetes%20Ins%2C%20ADpida%2C%20Esclerose%20Lateral,em%20cada%2010%20mil%20indiv%C3%ADduos>. Acesso em: 28/10/2024.

STF. **Presidente do STF determina fornecimento de medicamento a criança com doença rara.** 2021. Disponível em: <https://portal.stf.jus.br/noticias/verNoticiaDetalhe.asp?idConteudo=471876&ori=> . Acesso em: 31/10/2024.

STF. **União deve fornecer medicamento para tratamento de criança com doença rara.** 2023. Disponível em: [https://portal.stf.jus.br/noticias/verNoticiaDetalhe.asp?idConteudo=513478&ori=1#:~:text=Uni%C3%A3o%20deve%20fornecer%20medicamento%20para,rem%C3%A9dio%20mais%20caro%20do%20mundo.&text=O%20ministro%20Cristiano%20Zanin%2C%20do,na%20Reclama%C3%A7%C3%A3o%20\(RCL\)%2062049](https://portal.stf.jus.br/noticias/verNoticiaDetalhe.asp?idConteudo=513478&ori=1#:~:text=Uni%C3%A3o%20deve%20fornecer%20medicamento%20para,rem%C3%A9dio%20mais%20caro%20do%20mundo.&text=O%20ministro%20Cristiano%20Zanin%2C%20do,na%20Reclama%C3%A7%C3%A3o%20(RCL)%2062049). Acesso em: 31/10/2024.

SUMNER, CJ, HUYNH, TN, MARKOWITZ, JA, PERHAC, JS, HILL, B, COOVET, DD, et al. **Valproic acid increases SMN levels in spinal muscular atrophy patient cells.** *Ann Neurol*. 2003.

UFMG. **Teste do pezinho em Minas Gerais amplia número de doenças triadas no nascimento.** 2024. Disponível em: <https://www.medicina.ufmg.br/teste-do-pezinho-em-minas-gerais-amplia-numero-de-doencas-triadas-no-nascimento/> . Acesso em: 05/11/2024.

WANG, CH, FINKEL, RS, BERTINI, ES, SCHROTH, M, SIMONDS, A, WONG, B, et al. **Consensus statement for standard of care in spinal muscular atrophy.** *J Child Neurol*, 2007.

WIRTH, B, BRICHTA, L, HAHNEN, E. **Spinal muscular atrophy: from gene to therapy.** *Semin Pediatr Neurol*. 2006.