ISSN:2594-6153

O Acordo de Compartilhamento de Risco do Zolgensma no SUS

Alessandra Feliciano da Silva, Jessica Rollo da Costa Feitosa, Renato Braz Mehanna Khamis

Universidade Santa Cecília (Unisanta), Santos-SP, Brasil

E-mail: alessandrafeliciano@gmail.com

Resumo: Objetivos: analisar o acordo de compartilhamento de risco do Zolgensma no SUS e sua capacidade de conciliar acesso à terapia gênica e sustentabilidade orçamentária. Métodos: pesquisa qualitativa, bibliográfica e documental, com análise de atos do Ministério da Saúde, contrato, Temas 6 e 1.234 do STF e literatura sobre acordos por desempenho. Resultados: o modelo vincula parcelas a desfechos motores e sobrevida, transferindo parte da incerteza clínica ao fabricante. Limitação: ainda não há resultados consolidados de longo prazo. Conclusões: o acordo é promissor, mas sua efetividade depende de monitoramento independente, dados confiáveis e transparência.

Palavras-chave: Compartilhamento de risco; Zolgensma; Sistema Único de Saúde; Terapia gênica; Sustentabilidade orçamentária.

The Zolgensma Risk-Sharing Agreement in Brazil's Unified Health System

Abstract: Objectives: to analyze the Zolgensma risk-sharing agreement in the SUS and its capacity to reconcile access to gene therapy with budgetary sustainability. Methods: qualitative, bibliographic and documentary research analyzing Ministry of Health acts, the contract, STF Themes 6 and 1,234, and literature on performance-based agreements. Results: the model links installments to motor outcomes and survival, transferring part of the clinical uncertainty to the manufacturer. Limitation: long-term results are not yet consolidated. Conclusions: the agreement is promising, but its effectiveness depends on independent monitoring, reliable data and transparency.

Keywords: Risk sharing; Zolgensma; Unified Health System; Gene therapy; Budgetary sustainability.

Introdução

A Constituição Federal reconhece a saúde como direito de todos e dever do Estado, garantido por políticas públicas de acesso universal e igualitário [1]. A incorporação de novas tecnologias ao SUS deve considerar evidências de eficácia, segurança, efetividade e impacto orçamentário, conforme o procedimento dos arts. 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080/1990 [2], regulamentado pelo Decreto nº 7.646/2011 [3].

As terapias gênicas acentuam a tensão entre acesso e sustentabilidade: oferecem benefício potencialmente relevante em administração única, mas chegam ao sistema público com preços elevados e incertezas sobre a duração do efeito. Os acordos de compartilhamento

de risco distribuem entre financiador público e fabricante parte dessas incertezas, por mecanismos financeiros ou vinculados a resultados clínicos [4].

A Portaria SCTIE/MS nº 172/2022 incorporou o onasemnogeno abeparvoveque, comercializado como Zolgensma, para pacientes pediátricos de até 6 meses com Atrofia Muscular Espinhal tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia, condicionando sua oferta a protocolo do Ministério da Saúde e a acordo de compartilhamento de risco [5]. A decisão foi precedida pelo Relatório de Recomendação nº 793 da Conitec, que registrou incertezas sobre benefícios de longo prazo e impacto econômico [6].

O problema desta pesquisa consiste em verificar em que medida o acordo do Zolgensma transfere ao fabricante parte do risco da incorporação e quais condições são necessárias para que o mecanismo amplie o acesso sem comprometer a transparência e o controle do gasto público.

Objetivos

Analisar o desenho do acordo de compartilhamento de risco do Zolgensma no SUS, sua governança e sua relação com a avaliação de tecnologias em saúde e com os Temas 6 e 1.234 do STF.

Material e Métodos

Pesquisa qualitativa, bibliográfica e documental. O *corpus* documental reuniu a legislação e a regulamentação sanitária da incorporação, a Portaria SCTIE/MS nº 172/2022, o Relatório nº 793 da Conitec, o Contrato nº 236/2025, os atos de implementação e monitoramento do acordo, o Relatório nº 1064 e a Portaria SCTIE/MS nº 103/2026 sobre a não ampliação do uso, e os Temas 6 e 1.234 do STF, consultados em fontes oficiais até setembro de 2026. A análise de conteúdo organizou o material em três categorias: estrutura de pagamento e transferência de risco; governança e monitoramento; e repercussões para acesso, sustentabilidade e judicialização. O método hermenêutico-concretizador orientou a análise jurídica dos atos e precedentes.

Resultados

O acordo por desempenho altera a lógica segundo a qual o Estado paga integralmente pela tecnologia na aquisição e suporta sozinho a incerteza sobre o resultado: parcela do preço passa a depender de eventos clínicos mensuráveis, sem que o instrumento elimine a incerteza científica.

No Zolgensma, o pagamento foi estruturado em 40% do preço no ato da infusão e três parcelas de 20%, condicionadas, respectivamente, ao controle da nuca após 24 meses, ao controle do tronco após 36 meses, definido como sentar por no mínimo 10 segundos sem apoio, e à manutenção dos ganhos motores após 48 meses. As parcelas são canceladas em caso de óbito ou progressão para ventilação mecânica permanente [7].

A estrutura revela compartilhamento real, porém parcial: o SUS desembolsa parcela relevante antes da comprovação dos desfechos, enquanto o fabricante se sujeita à perda dos pagamentos condicionados ao desempenho. O contrato explicita essa alocação ao dispor que o não atingimento do desfecho clínico não caracteriza irregularidade contratual, em conformidade com o Acordo de Compartilhamento de Risco, que o integra [8].

A contratação foi formalizada pelo Contrato nº 236/2025, celebrado entre a União, por intermédio do Departamento de Logística em Saúde do Ministério da Saúde, e a Novartis Biociências S/A, por inexigibilidade de licitação, com vigência de 5 anos prorrogável por até 10 anos e valores estimados de R$ 6.203.205,89 (seis milhões, duzentos e três mil, duzentos e cinco reais e oitenta e nove centavos) por unidade e R$ 2.388.234.267,65 (dois bilhões, trezentos e oitenta e oito milhões, duzentos e trinta e quatro mil, duzentos e sessenta reais e sessenta e cinco centavos) sno quinquênio; serviços acessórios como armazenamento, capacitação e certificação da rede de centros de infusão e suporte ao paciente foram atribuídos à contratada [8]. A implementação conta com instrumentos publicados pelo Ministério da Saúde: habilitação dos serviços de terapia gênica pela Portaria SAES/MS nº 3.080/2025, fluxo de solicitação pela Nota Técnica nº 42/2026 e avaliação da função motora e seguimento pós-infusão pelas Notas Técnicas nº 305/2025 e nº 298/2025 [9].

Em nova avaliação para pacientes menores de 2 anos, a Conitec recomendou não ampliar o uso, diante da falta de evidências robustas para a faixa de 7 a 24 meses, sobretudo quanto à manutenção dos ganhos motores em longo prazo, da razão de custo-efetividade elevada e do impacto orçamentário [10]. A decisão foi formalizada pela Portaria SCTIE/MS nº 103/2026, que ressalva novo exame diante de fatos novos [11].

Discussão

A literatura identifica riscos dos acordos por desempenho relacionados à carga administrativa, à escolha inadequada de desfechos, à falta de padronização e à transparência insuficiente [4]. No caso analisado, os marcos motores são objetivamente verificáveis, mas exigem interpretação contextual: o não alcance de um ganho pode decorrer da evolução da

doença, da idade na infusão ou de intercorrências. Critérios prévios para dados ausentes e perdas de acompanhamento são essenciais.

O compartilhamento de risco também não se confunde com parcelamento. Neste, a obrigação integral permanece devida e apenas se distribui no tempo; no acordo por desempenho, parte do pagamento futuro fica condicionada a resultados clínicos, e a frustração do desfecho não configura inadimplemento.

Não foi identificado precedente do STF ou do STJ que tenha examinado diretamente a validade do acordo. Os Temas 6 e 1.234 funcionam como contexto da governança da assistência farmacêutica, e não como validação judicial. O Tema 6 exige controle da legalidade do processo da Conitec e evidência científica qualificada [12]; o Tema 1.234 disciplina competência, custeio e acompanhamento das demandas judiciais [13].

Embora não regulem o Zolgensma já incorporado, esses precedentes reduzem o espaço para aquisições judiciais fragmentadas quando o paciente se enquadra nos critérios do SUS. Pedidos fora desses critérios permanecem distintos. A intervenção judicial deve observar o controle de legalidade e a prova técnica, sem substituir os critérios pactuados; omissões e atrasos incompatíveis com a janela terapêutica seguem sujeitos a controle.

A confidencialidade de condições comerciais pode ampliar a margem de negociação do SUS, mas não deve impedir o controle da execução. No caso, preço unitário, quantitativos e valor global são públicos, enquanto as condições do acordo de desempenho permanecem reservadas: a transparência é seletiva, não ausente. Informações agregadas sobre pacientes tratados, parcelas pagas ou canceladas e impacto orçamentário seguem relevantes para aferir transferência efetiva de risco e acesso equitativo.

A replicação do modelo exige desfechos verificáveis, prazo compatível com a evolução da doença, governança independente, infraestrutura de dados e revisão periódica da incorporação. A própria Conitec cogitou desenho diverso para a faixa etária cuja ampliação foi negada, o que sugere modelo replicável mediante ajuste [10]. A principal limitação desta pesquisa é a ausência de resultados consolidados: avalia-se o desenho institucional do acordo, não seus resultados finais.

Conclusões

O acordo de compartilhamento de risco do Zolgensma constitui mecanismo de acesso gerenciado que vincula 60% do pagamento a desfechos clínicos e qualifica contratualmente a

frustração do desfecho como risco alocado, e não como inadimplemento, transferindo ao fabricante parte, mas não a totalidade, da incerteza da incorporação [8]. O risco público permanece relevante em razão do pagamento inicial, dos custos assistenciais e do monitoramento. Os Temas 6 e 1.234 servem como contexto normativo da judicialização farmacêutica, sem validar o acordo [12,13]. Sua efetividade dependerá de dados de vida real, aplicação rigorosa dos critérios de desfecho, transparência compatível com a confidencialidade comercial e avaliação independente.

Referências

1. Brasil. Constituição (1988). Constituição da República Federativa do Brasil. Brasília, DF: Senado Federal; 1988.
2. Brasil. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para promoção, proteção e recuperação da saúde e a organização dos serviços correspondentes. Diário Oficial da União. 20 set 1990. Arts. 19-Q e 19-R incluídos pela Lei nº 12.401/2011.
3. Brasil. Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Conitec e sobre o processo administrativo de incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo SUS. Diário Oficial da União. 22 dez 2011.
4. Puopolo GR, Rodrigues MLA, Bulgareli JV. Implementação de modelos de compartilhamento de risco (risk sharing) no acesso ao tratamento de doenças raras: uma revisão integrativa. Cien Saude Colet. 2026;31(4):e06642024. doi:10.1590/1413-81232026314.06642024.
5. Brasil. Ministério da Saúde. Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro de 2022. Incorpora o onasemnogeno abeparvoveque para pacientes pediátricos até 6 meses com AME tipo I fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. Diário Oficial da União. 7 dez 2022; nº 229, Seção 1:191.
6. Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação nº 793: onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal. Brasília, DF: Ministério da Saúde; 2022.
7. Brasil. Ministério da Saúde. Acordo vai viabilizar oferta do Zolgensma para pacientes com AME no SUS. Brasília, DF: Ministério da Saúde; 2025.
8. Brasil. Ministério da Saúde. Contrato nº 236/2025: Processo nº 25000.060857/2025-76. Brasília, DF: Ministério da Saúde; 2025.
9. Brasil. Ministério da Saúde. Zolgensma: orientações, notas técnicas e instrumentos de monitoramento. Brasília, DF: Ministério da Saúde; 2026.
10. Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação nº 1064: onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de AME. Brasília, DF: Ministério da Saúde; 2026.
11. Brasil. Ministério da Saúde. Portaria SCTIE/MS nº 103, de 8 de janeiro de 2026. Não amplia o uso, no SUS, de onasemnogeno abeparvoveque para AME 5q em menores de dois anos. Diário Oficial da União. 12 jan 2026; nº 7, Seção 1:66.
12. Brasil. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário 566.471/RN. Tema 6 da repercussão geral. Relator: Min. Marco Aurélio; redator para o acórdão: Min. Luís Roberto

Barroso. Tribunal Pleno. Julgado em 26 set 2024. DJe 28 nov 2024. Trânsito em julgado em 4 out 2025.

13. Brasil. Supremo Tribunal Federal. Recurso Extraordinário 1.366.243/SC. Tema 1.234 da repercussão geral. Relator: Min. Gilmar Mendes. Tribunal Pleno. Julgado em setembro de 2024; acórdão de mérito publicado no DJe de 11 out 2024; embargos de declaração julgados em 16 dez 2024.