Regulação de tratamentos modificadores da doença de Alzheimer: um estudo comparado entre Estados Unidos e Brasil*

Regulación de los tratamientos modificadores de la enfermedad de Alzheimer: un estudio comparado entre Estados Unidos y Brasil

Regulation of disease-modifying treatments for Alzheimer's disease: a comparative study between the United States and Brazil

Regolamentazione dei trattamenti modificanti la malattia di Alzheimer: uno studio comparato tra Stati Uniti e Brasile

Célio Ramos Farias[1]
Mestrando, PPG em Direito da Saúde, Universidade Santa Cecília, Santos, SP, Brasil

Verônica Scriptore Freire e Almeida[2]
Doutora, PPG em Direito da Saúde, Universidade Santa Cecília, Santos, SP, Brasil

Marcelo Lamy[3]
Pós-Doutor, PPG em Direito da Saúde, Universidade Santa Cecília, Santos, SP, Brasil

---

* Esse trabalho foi apresentado originalmente no VII Congresso Internacional de Direito da Saúde, realizado em 23, 24 e 25 de outubro de 2025 na Universidade Santa Cecília (Unisanta). Em função da recomendação de publicação da Comissão Científica do Congresso, fez-se a presente versão.

1 Advogado. Bacharel em Ciências Jurídicas (UNISANTA). Pós-graduado em Direito Digital (UNISANTA). Pós-graduação em Direito Imobiliário (UNISANTA). Pós-graduado em Direito Notarial e Registral (Anhanguera). Pós-graduado em Educação Especial e Inclusiva (Anhanguera). Mestrando no Programa de Pós-Graduação stricto sensu em Direito da Saúde da Universidade Santa Cecília (UNISANTA). CV: http://lattes.cnpq.br/9170852990126359. ORCID: https://orcid.org/0009-0001-9178-4167. E-mail: cf067368@alunos.unisanta.br.

2 Doutora em Direito Econômico pela Faculdade de Direito da Universidade de Coimbra, em Portugal, com reconhecimento e revalidação pela Universidade de São Paulo-USP (2009-2016). Mestre em Direito Econômico pela Faculdade de Direito da Universidade de Coimbra, em Portugal, com reconhecimento e revalidação pela Universidade de São Paulo-USP (2005-2008). Residiu em Washington DC, EUA, em período de Pesquisa Acadêmica Doutoral (2015-2016) e Pós-Doutoral (2016-2017) na Georgetown University (Law Center). Professora Permanente do Programa de Pós-Graduação Stricto Sensu, Mestrado em Direito da Saúde, da Universidade Santa Cecília. Editor-in-Chief da Global Health Law Journal-Unisanta. Coordenadora do Curso de Relações Internacionais da Unisanta. Advogada, atuando, no Brasil e no exterior, nas áreas de Direito Digital, Direito Econômico, Direito Internacional, Direito Empresarial, Health Law, Trust Law e Relações Internacionais. ORCID: https://orcid.org/0000-0001-5811-7779. CV: http://lattes.cnpq.br/4169232054882169. E-mail: veronicafreire@unisanta.br.

3 Advogado. Bacharel em Ciências Jurídicas (UFPR). Mestre em Direito Administrativo (USP). Doutor em Direito Constitucional (PUC-SP). Pós-doutor em Políticas Públicas em Saúde (Fiocruz Brasília). Pós-doutor em Direitos Fundamentais e Acesso a Justiça (UFBA). Professor Permanente e Vice-Coordenador do Programa de Pós-Graduação Stricto Sensu, Mestrado em Direito (UNISANTA). Professor da Master of Science in Legal Studies, Emphasis in International Law (MUST University). Professor no curso Direito e no curso Relações Internacionais (UNISANTA). Líder do Grupo de Pesquisa CNPq\UNISANTA "Direitos Humanos, Desenvolvimento Sustentável e Tutela Jurídica da Saúde". Diretor Geral do Observatório dos Direitos do Migrante (UNISANTA). Coordenador do Laboratório de Políticas Públicas (UNISANTA). Professor da Faculdade de Direito (ESAMC-Santos). ORCID: http://orcid.org/0000-0001-8519-2280. CV: http://lattes.cnpq.br/9347562683746206. E-mail: marcelolamy@unisanta.br.

RESUMO: **Contexto**: A doença de Alzheimer constitui um dos maiores desafios de saúde pública do século XXI, em razão do envelhecimento populacional e do aumento da prevalência de demências em escala global. A chegada de terapias modificadoras, em especial os anticorpos anti-amiloide, reacendeu debates sobre regulação, custo-efetividade e acesso. **Problema:** Embora os resultados clínicos recentes indiquem avanços, ainda existem incertezas quanto à magnitude dos benefícios, aos riscos adversos e, sobretudo, às diferenças nos modelos regulatórios adotados pelos Estados Unidos e pelo Brasil. **Objetivos:** Objetiva-se analisar comparativamente os papéis da FDA e do CMS, de um lado, e da Anvisa, Conitec e ANS, de outro, destacando os tempos e critérios de aprovação, as evidências exigidas, as políticas de cobertura financeira e os desafios de acesso. **Métodos**: A pesquisa utiliza abordagem dedutiva, fundamentada em levantamento bibliográfico, análise de legislação, doutrina e jurisprudência nacionais e internacionais. Trata-se de um estudo de Direito Comparado em saúde regulatória, voltado a identificar convergências e divergências entre os modelos norte-americano e brasileiro. **Resultados:** A análise demonstrou que os Estados Unidos adotam vias de aprovação acelerada pela FDA, seguidas de confirmação clínica, com integração entre regulação e cobertura pública pelo CMS, ainda que condicionada à produção contínua de evidências. Já no Brasil, a Anvisa aprovou recentemente o donanemabe, mas o processo de incorporação pelo SUS e pela ANS permanece em andamento, marcado pela cautela quanto ao custo-efetividade, pela judicialização crescente e por limitações estruturais na rede diagnóstica. **Conclusões:** Conclui-se que o modelo norte-americano assegura maior celeridade e integração entre aprovação e financiamento, enquanto o Brasil apresenta avanços regulatórios, mas ainda enfrenta entraves para garantir acesso amplo e equitativo.

PALAVRAS-CHAVE: Doença de Alzheimer. Tratamentos modificadores de doença. Regulação sanitária. FDA. Anvisa. Direito comparado. Avaliação de tecnologias em saúde.

RESUMEN: ***Contexto:*** *La enfermedad de Alzheimer constituye uno de los mayores desafíos de salud pública del siglo XXI, debido al envejecimiento poblacional y al aumento de la prevalencia de las demencias a escala global. La llegada de terapias modificadoras, en especial los anticuerpos antiamiloide, reavivó los debates sobre regulación, costo-efectividad y acceso.* ***Problema:*** *Aunque los resultados clínicos recientes indiquen avances, aún existen incertidumbres respecto a la magnitud de los beneficios, los riesgos adversos y, sobre todo, las diferencias en los modelos regulatorios adoptados por Estados Unidos y Brasil.* ***Objetivos:*** *El objetivo es analizar comparativamente los roles de la FDA y del CMS, por un lado, y de la Anvisa, la Conitec y la ANS, por otro, destacando los tiempos y criterios de aprobación, las evidencias exigidas, las políticas de cobertura financiera y los desafíos de acceso.* ***Métodos:*** *La investigación utiliza un enfoque deductivo, fundamentado en el levantamiento bibliográfico, el análisis de la legislación, la doctrina y la jurisprudencia nacionales e internacionales. Se trata de un estudio de Derecho Comparado en salud regulatoria, orientado a identificar convergencias y divergencias entre los modelos estadounidense y brasileño.* ***Resultados:*** *El análisis demostró que Estados Unidos adopta vías de aprobación acelerada por parte de la FDA, seguidas de confirmación clínica, con integración entre regulación y cobertura pública por el CMS, aunque condicionada a la producción continua de evidencias. En Brasil, la Anvisa aprobó recientemente el donanemab, pero el proceso de incorporación por el SUS y la ANS sigue en curso, marcado por la cautela en relación con la costo-efectividad, la creciente judicialización y las limitaciones estructurales en la red diagnóstica.* ***Conclusiones:*** *Se concluye que el modelo estadounidense asegura mayor celeridad e integración entre aprobación y financiamiento, mientras que Brasil presenta avances regulatorios, pero todavía enfrenta obstáculos para garantizar un acceso amplio y equitativo.*

PALABRAS CLAVE: *Enfermedad de Alzheimer. Tratamientos modificadores de la enfermedad. Regulación sanitaria. FDA. Anvisa. Derecho comparado. Evaluación de tecnologías sanitarias.*

ABSTRACT: ***Context:*** *Alzheimer's disease is one of the greatest public health challenges of the 21st century, due to population aging and the increasing prevalence of dementia worldwide. The arrival of disease-modifying therapies, especially anti-amyloid antibodies, has reignited debates on regulation, cost-effectiveness, and access.* ***Problem:*** *Although recent clinical results indicate progress, uncertainties remain regarding the magnitude of benefits, potential adverse risks, and, above all, the differences in regulatory models adopted by the United States and Brazil.* ***Objectives:*** *This study aims to comparatively analyze the roles of the FDA and CMS, on the one hand, and Anvisa, Conitec, and ANS, on the other, highlighting approval timelines and criteria, evidentiary requirements, financial coverage policies, and access challenges.* ***Methods:*** *The research adopts a deductive approach, based on a literature review, as well as the analysis of national and international legislation, legal doctrine, and case law. It is a comparative law study in regulatory health, designed to identify convergences and divergences between the U.S. and Brazilian models.* ***Results:*** *The analysis revealed that the United States applies accelerated approval pathways through the FDA, followed by clinical confirmation, with integration between regulatory processes and public coverage by CMS, although conditioned on continuous evidence generation. In Brazil, Anvisa recently approved donanemab, but the incorporation process into the SUS and by ANS is still underway, characterized by caution regarding cost-effectiveness, increasing judicialization, and structural limitations in the diagnostic*

network. ***Conclusions:*** *The U.S. model ensures greater speed and integration between approval and funding, while Brazil shows regulatory progress but still faces barriers to guaranteeing broad and equitable access.*

KEYWORDS: *Alzheimer's disease. Disease-modifying treatments. Health regulation. FDA. Anvisa. Comparative law. Health technology assessment.*

SOMMARIO: ***Contesto:*** *La malattia di Alzheimer rappresenta una delle principali sfide di sanità pubblica del XXI secolo, a causa dell'invecchiamento della popolazione e dell'aumento della prevalenza delle demenze su scala globale. L'arrivo di terapie modificatrici, in particolare degli anticorpi anti-amiloide, ha riacceso il dibattito sulla regolamentazione, sulla costo-efficacia e sull'accesso.* ***Problema:*** *Sebbene i risultati clinici recenti indichino progressi, permangono incertezze riguardo all'entità dei benefici, ai rischi avversi e, soprattutto, alle differenze nei modelli regolatori adottati negli Stati Uniti e in Brasile.* ***Obiettivi:*** *L'obiettivo è analizzare comparativamente i ruoli della FDA e del CMS, da un lato, e dell'Anvisa, Conitec e ANS, dall'altro, evidenziando i tempi e i criteri di approvazione, le evidenze richieste, le politiche di copertura finanziaria e le sfide di accesso.* ***Metodi:*** *La ricerca adotta un approccio deduttivo, basato sulla revisione bibliografica, sull'analisi della legislazione, della dottrina e della giurisprudenza nazionali e internazionali. Si tratta di uno studio di Diritto Comparato in ambito sanitario-regolatorio, volto a identificare convergenze e divergenze tra i modelli statunitense e brasiliano.* ***Risultati:*** *L'analisi ha dimostrato che gli Stati Uniti utilizzano vie di approvazione accelerata della FDA, seguite da conferma clinica, con integrazione tra regolamentazione e copertura pubblica da parte del CMS, sebbene condizionata alla produzione continua di evidenze. In Brasile, l'Anvisa ha recentemente approvato il donanemab, ma il processo di incorporazione nel SUS e nell'ANS è ancora in corso, caratterizzato da cautela in relazione alla costo-efficacia, dalla crescente giuridicizzazione e dalle limitazioni strutturali della rete diagnostica.* ***Conclusioni:*** *Si conclude che il modello statunitense assicura maggiore rapidità e integrazione tra approvazione e finanziamento, mentre il Brasile presenta progressi regolatori, ma affronta ancora ostacoli per garantire un accesso ampio ed equo.*

PAROLE CHIAVE: *Malattia di Alzheimer. Trattamenti modificatori della malattia. Regolamentazione sanitaria. FDA. Anvisa. Diritto comparato. Valutazione delle tecnologie sanitarie.*

Introdução

A doença de Alzheimer configura-se como um dos maiores desafios contemporâneos da saúde pública, resultante do envelhecimento populacional e do aumento progressivo da prevalência das demências em escala global. Esse cenário impõe impactos não apenas clínicos e familiares, mas também econômicos e sociais, comprometendo a sustentabilidade dos sistemas de saúde. Historicamente, as alternativas terapêuticas disponíveis concentravam-se em fármacos de efeito sintomático, voltados ao controle parcial do declínio cognitivo e comportamental, sem alterar a progressão natural da enfermidade.

Com o advento das terapias modificadoras do curso da doença — particularmente os anticorpos monoclonais direcionados à proteína beta-amiloide —, emergem novos desafios de natureza regulatória e ética, relacionados à avaliação da eficácia clínica, custo-efetividade e equidade no acesso.

Conforme destaca Paim (2017), a regulação e a formulação de políticas em saúde devem estar orientadas pelos princípios da integralidade, da racionalidade terapêutica e da justiça social, assegurando que a incorporação tecnológica ocorra de modo a ampliar e não restringir direitos. Nessa perspectiva, o presente estudo busca analisar como diferentes modelos regulatórios, especialmente os adotados pela Food and Drug Administration (FDA) e pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), influenciam os processos de aprovação, incorporação e acesso às terapias inovadoras para Alzheimer, considerando os limites e potencialidades de cada sistema.

A comparação entre os modelos regulatórios dos Estados Unidos e do Brasil revela diferentes arranjos institucionais na gestão de tecnologias em saúde, especialmente no que se refere à avaliação de eficácia, segurança e custo-efetividade. Segundo Viana (2018), as políticas regulatórias em saúde refletem as formas de organização do Estado e a articulação entre ciência,

mercado e interesse público, o que explica as variações nos processos decisórios e nos tempos de incorporação tecnológica.

Nos Estados Unidos, a Food and Drug Administration (FDA) adotou mecanismos de *accelerated approval*, que permitem a antecipação do acesso a terapias inovadoras com base em marcadores substitutos, condicionando a manutenção da autorização à confirmação posterior por ensaios clínicos de fase avançada (FDA, 2021a; FDA, 2021b). Essa estratégia foi acompanhada por decisões rápidas de cobertura pública pelo Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS, 2022; CMS, 2023), evidenciando um modelo regulatório de alto dinamismo e integração entre vigilância e financiamento.

No Brasil, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) realiza a análise de qualidade, segurança e eficácia para fins de registro sanitário, enquanto a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) é responsável pela avaliação de custo-efetividade e impacto orçamentário antes da inclusão no Sistema Único de Saúde (Brasil, 2022). Como observa Ocké-Reis (2018), o modelo regulatório brasileiro busca equilibrar inovação e sustentabilidade, mas tende a apresentar maior lentidão processual em virtude da fragmentação entre as etapas de aprovação, incorporação e cobertura privada pela Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS, 2021). Essa estrutura institucional, embora assegure maior controle técnico, prolonga o intervalo entre a aprovação sanitária e a efetiva disponibilização dos tratamentos à população.

Conforme destaca Boaventura de Sousa Santos (2002), o conhecimento jurídico e institucional deve ser interpretado a partir de sua função social e dos contextos históricos em que se produz, o que confere à comparação internacional um caráter crítico e emancipatório.

O presente estudo adotou uma abordagem dedutiva e qualitativa, fundamentada em levantamento bibliográfico, de legislação, doutrina e jurisprudência nacionais e norte-americanas, com o intuito de oferecer subsídios teóricos e práticos para o aprimoramento das políticas de regulação sanitária e incorporação tecnológica em saúde.

Diante desse panorama, tem como propósito analisar comparativamente os marcos regulatórios e os desafios de acesso às terapias modificadoras do Alzheimer nos Estados Unidos e no Brasil, ressaltando convergências, divergências e implicações jurídicas e sociais. A pesquisa insere-se na perspectiva da análise comparada de políticas públicas, orientada por fundamentos teóricos que concebem o Direito como um campo de mediação entre ciência, Estado e sociedade.

Método

Trata-se de um estudo documental e exploratório, de abordagem qualitativa e caráter jurídico-comparado, situado no campo do Direito da Saúde e da Regulação Sanitária. Conforme observa Diniz (2019), a pesquisa jurídica de natureza científica envolve a análise sistemática das fontes normativas e doutrinárias, articulando o método dedutivo e a interpretação crítica para compreender o fenômeno jurídico em seu contexto social e institucional. Nesse sentido, a investigação propõe examinar os fundamentos normativos, institucionais e jurisprudenciais que orientam a regulação e o financiamento das terapias modificadoras do curso da doença Alzheimer, a partir da comparação entre os modelos norte-americano e brasileiro.

A metodologia adotada combinou revisão bibliográfica e análise documental, englobando literatura científica especializada, legislação, atos normativos e decisões judiciais pertinentes. A busca de referências foi realizada entre janeiro de 2021 e setembro de 2025, em bases nacionais e internacionais — Biblioteca Virtual em Saúde (BVS), SciELO, Portal de Periódicos CAPES e Google Scholar —, além de relatórios e documentos institucionais dos respectivos órgãos

reguladores. Utilizaram-se descritores em português e inglês, combinados por operadores booleanos, tais como: Alzheimer, anticorpos monoclonais, beta-amiloide, regulação sanitária, coverage, cost-effectiveness, Conitec, FDA, CMS, ANS, Anvisa e judicialização da saúde.

Foram incluídos artigos revisados por pares e documentos técnico-institucionais que abordassem a regulação de tecnologias em saúde, a avaliação econômica e os mecanismos de cobertura e acesso a anticorpos anti-β-amiloide. Também se consideraram atos normativos, pareceres técnicos e relatórios oficiais dos órgãos reguladores relacionados ao tema, além de decisões judiciais com repercussão no acesso ao medicamento. Foram excluídos editoriais, textos opinativos sem base documental, preprints sem revisão por pares, duplicidades e materiais alheios ao escopo temático.

Examinaram-se relatórios e comunicados da Food and Drug Administration (FDA) (2018; 2020; 2021a; 2021b; 2023; 2024) e do Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) (2022; 2023). No contexto brasileiro, analisaram-se atos e publicações da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa, 2022), da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec, 2011; 2025) e da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS, 2021), bem como Resoluções da Diretoria Colegiada (RDCs), protocolos clínicos e diretrizes relacionadas à incorporação de terapias modificadoras. A dimensão jurídica foi complementada pela análise de decisões judiciais recentes sobre o fornecimento de medicamentos sem registro ou com registro restrito na Anvisa, incluindo precedentes do TJDFT (2025) e de cortes superiores, a fim de apreender os efeitos da judicialização da saúde sobre o acesso a terapias inovadoras.

De acordo com Lakatos e Marconi (2021), a análise documental possibilita compreender fenômenos sociais e normativos a partir da interpretação crítica das fontes secundárias, o que é fundamental em estudos jurídicos comparativos. Assim, os dados foram submetidos a procedimentos de análise de conteúdo temática, organizando-se uma matriz comparativa entre Estados Unidos e Brasil, que contemplou: vias e condicionantes regulatórios; mecanismos de cobertura e reembolso (*coverage with evidence development*); evidência clínica e avaliação de custo-efetividade; e impactos sobre o acesso. Os resultados foram sintetizados criticamente, destacando convergências, divergências e lacunas regulatórias. Por se basear exclusivamente em fontes públicas e secundárias, a pesquisa não envolveu participantes humanos nem demandou apreciação por comitê de ética em pesquisa.

Resultados e Discussão

A doença de Alzheimer representa uma das principais causas de demência e um desafio crescente para os sistemas de saúde, em razão de seu impacto clínico, social e econômico. Conforme observa Paim (2017), o enfrentamento de agravos crônicos complexos exige políticas públicas orientadas pelos princípios da integralidade, da equidade e da racionalidade terapêutica, de modo que o avanço científico não se converta em fator de exclusão social. Nesse contexto, o desenvolvimento de terapias modificadoras do curso da doença, especialmente os anticorpos monoclonais direcionados à proteína beta-amiloide, destaca-se como um marco na biomedicina contemporânea. Diferentemente das abordagens sintomáticas tradicionais, essas terapias visam atuar sobre os mecanismos fisiopatológicos subjacentes, buscando retardar a progressão da enfermidade e que redireciona os parâmetros regulatórios e éticos da inovação em saúde.

A discussão sobre essas terapias transcende o campo biomédico e insere-se no domínio da regulação sanitária e das políticas públicas de saúde, abrangendo dimensões jurídicas, econômicas e institucionais relacionadas à incorporação tecnológica e ao acesso equitativo. Nessa perspectiva, o presente estudo analisa os marcos regulatórios aplicáveis às terapias anti-amiloide nos Estados

Unidos e no Brasil, considerando o papel desempenhado por órgãos de regulação e financiamento — Food and Drug Administration (FDA) e Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS), no contexto norte-americano, e Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) e Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS), no contexto brasileiro.

A análise comparativa privilegia aspectos técnico-normativos, tais como prazos e critérios de aprovação, exigências de evidência clínica, mecanismos de cobertura financeira e desafios de equidade no acesso. Os resultados decorrem da revisão bibliográfica, normativa e jurisprudencial, buscando compreender como diferentes arranjos institucionais influenciam a efetividade da regulação e a concretização do direito à saúde em contextos de inovação terapêutica.

Conforme observa Viana (2018), os sistemas regulatórios em saúde configuram arenas de disputa entre inovação científica, sustentabilidade econômica e interesse público, nas quais as decisões técnicas assumem dimensão política e social. Por isso, refletir sobre as diferencias de sistemas regulatórios é refletir, também, sobre as opções políticas de uma sociedade.

1 Sistema regulatório norte-americano

No contexto da doença de Alzheimer, a atuação coordenada da Food and Drug Administration (FDA) e do Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) revelou-se determinante não apenas para a aprovação de novas terapias, mas também para a definição de critérios de acesso e financiamento voltados à população idosa — principal grupo afetado pela enfermidade.

A FDA, vinculada ao Department of Health and Human Services (HHS), desempenha função central na regulação de medicamentos, alimentos e dispositivos médicos nos Estados Unidos. No campo farmacêutico, a agência dispõe de diferentes vias de aprovação — *traditional approval* e *accelerated approval*. Esta última, criada em 1992 em resposta à crise do HIV/AIDS, visa acelerar o acesso a terapias promissoras diante da ausência de alternativas com comprovação absoluta de eficácia (FDA, 2018; Friedman; Califf, 2019).

Aplicando esse mecanismo ao Alzheimer, a FDA concedeu aprovação acelerada aos anticorpos anti-amiloide, utilizando como desfecho substituto a redução das placas beta-amiloides observadas em exames de imagem por tomografia por emissão de pósitrons (PET) (FDA, 2021b). Embora esse marcador biológico tenha sido considerado preditor de benefício clínico, a relação direta entre a remoção da proteína e a melhora cognitiva permanece objeto de debate científico (Cummings et al., 2021).

O marco inicial ocorreu em 2021, com a aprovação do aducanumabe (Aduhelm), uma decisão controversa da FDA, diante de resultados clínicos inconsistentes e do parecer negativo do comitê consultivo independente (FDA, 2021a; Knopman; Perlmutter; Selkoe, 2021). Em 2023, a aprovação tradicional do lecanemabe (Leqembi) consolidou o uso de biomarcadores como critério inicial, mas reforçou a necessidade de comprovação clínica de eficácia (FDA, 2023). No ano seguinte, o donanemabe (Kisunla) foi aprovado sob o mesmo racional regulatório, evidenciando a consolidação dos anticorpos monoclonais como terapias modificadoras do Alzheimer, ainda sob monitoramento rigoroso de segurança (FDA, 2024).

A FDA adota um modelo de transparência e participação pública, que inclui consultas a comitês independentes, divulgação de relatórios técnicos e abertura a contribuições da sociedade civil (FDA, 2020). Embora as decisões nem sempre coincidam com as recomendações dos

especialistas, esse modelo amplia a legitimidade científica e institucional das deliberações, tornando-se referência global de *accountability* regulatória.

Entretanto, a aprovação sanitária não implica automaticamente a disponibilização da terapia. Nos Estados Unidos, a efetivação do acesso depende das decisões do CMS, responsável pela gestão do Medicare, programa público que cobre cerca de 65 milhões de norte-americanos. Após a aprovação do aducanumabe, o CMS adotou política restritiva de cobertura, limitando o reembolso a pacientes inseridos em ensaios clínicos, em razão da incerteza sobre a efetividade e do alto custo da tecnologia (CMS, 2022). Com a aprovação tradicional do lecanemabe, a agência flexibilizou a cobertura, condicionando-a à participação em registros nacionais de monitoramento de segurança e efetividade (*coverage with evidence development*) (CMS, 2023).

Esse modelo expressa a busca por um equilíbrio entre o acesso precoce e a responsabilidade fiscal, articulando regulação sanitária e financiamento público. Contudo, permanecem desafios significativos: o elevado custo das terapias pressiona o orçamento do Medicare (Cubanski; Neuman, 2021), enquanto os riscos de anormalidades de imagem relacionadas à amiloide (ARIA) — incluindo edemas e micro-hemorragias cerebrais — demandam monitoramento complexo e infraestrutura especializada (Salloway et al., 2022).

Por fim, subsistem desigualdades estruturais no acesso, condicionadas por cobertura suplementar, localização geográfica e barreiras socioeconômicas. A necessidade de infraestrutura tecnológica avançada para o diagnóstico e acompanhamento tende a acentuar disparidades regionais, privilegiando grandes centros e reforçando a discussão sobre equidade no acesso a inovações biomédicas.

1.1 Síntese crítica

A experiência regulatória norte-americana evidencia um modelo caracterizado pela flexibilidade procedimental e pela adoção de vias especiais de aprovação, como a *accelerated approval*, associadas à coordenação relativamente ágil entre a análise sanitária da Food and Drug Administration (FDA) e as decisões de cobertura financeira do Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS). Tal arranjo busca conciliar a celeridade no acesso a terapias inovadoras com a responsabilidade regulatória, por meio de mecanismos de monitoramento pós-comercialização. Ainda assim, permanece a controvérsia quanto à suficiência das evidências clínicas apresentadas no momento da autorização inicial.

Essa política expressa a tensão permanente entre inovação biomédica, pressão social por acesso rápido e sustentabilidade financeira. Como observa Ferraz (2009), a judicialização e a incorporação tecnológica sem critérios distributivos podem gerar desequilíbrios sistêmicos e reforçar desigualdades de acesso, desafiando o princípio da justiça sanitária. No contexto estadunidense, o dilema entre avanço científico e equidade manifesta-se de forma emblemática: o sistema busca compatibilizar o direito ao tratamento inovador com a preservação da solvência orçamentária do Medicare, responsável por cobrir a maioria dos pacientes elegíveis.

O episódio do aducanumabe exemplifica as vulnerabilidades do modelo. A aprovação do fármaco com base em evidências limitadas, seguida de resistência clínica e posterior descontinuação comercial (ICER, 2021; Alzheimer Europe, 2024), revelou a importância de processos decisórios transparentes, sustentados em dados robustos e revisáveis. Nesse sentido, a inovação regulatória deve ser acompanhada de vigilância pós-comercialização rigorosa, garantindo que a agilidade procedimental não comprometa a legitimidade e a segurança das decisões.

Os altos custos das terapias modificadoras do Alzheimer aprofundam o debate ético sobre a justiça distributiva e a equidade no acesso. O preço elevado pressiona o orçamento público e impõe barreiras socioeconômicas adicionais, sobretudo para populações vulneráveis que carecem de infraestrutura diagnóstica e acompanhamento contínuo. Assim, o modelo norte-americano se configura como um laboratório institucional de inovação regulatória, mas também evidencia seus limites estruturais ao tentar conciliar celeridade, custo-efetividade e equidade.

No caso brasileiro, marcado por restrições orçamentárias e pela universalidade constitucional do Sistema Único de Saúde (SUS), a experiência dos Estados Unidos oferece lições e advertências: inspira avanços na incorporação de tecnologias emergentes, mas alerta para os riscos de decisões aceleradas que possam comprometer a sustentabilidade e a justiça social.

2 Regulação e judicialização no Brasil

No Brasil, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) exerce papel central na regulação de novos medicamentos, com base em critérios de qualidade, segurança e eficácia. A publicação da Resolução RDC nº 753/2022, que atualizou a RDC nº 200/2017, introduziu instrumentos mais objetivos e transparentes de priorização, permitindo a aceleração da análise de tecnologias inovadoras ou destinadas a doenças raras e graves (Brasil, 2022). Essa mudança normativa, alinhada às melhores práticas internacionais, buscou conferir previsibilidade regulatória e fortalecer a segurança sanitária, em consonância com os princípios da racionalidade e eficiência administrativa.

Em 2025, a Anvisa concedeu registro sanitário ao donanemabe (Kisunla) para o tratamento da doença de Alzheimer em estágios iniciais, com restrição ao grupo genético menos suscetível a eventos adversos graves (Brasil, 2025). A medida representou um marco regulatório, ao inaugurar a primeira aprovação de um anticorpo monoclonal modificador do curso da enfermidade no país. Em contrapartida, o lecanemabe (Leqembi) ainda não obteve registro, e sua ausência tem fundamentado decisões judiciais que negam o fornecimento compulsório de tratamentos sem aprovação sanitária (TJDFT, 2025).

De acordo com Viana (2018), a regulação em saúde é um processo político-institucional que articula ciência, economia e valores sociais, sendo essencial que a incorporação tecnológica seja acompanhada de planejamento sistêmico e critérios distributivos. Assim sendo, o registro sanitário, embora necessário, não é o passo que assegura o acesso universal. No Sistema Único de Saúde (SUS), a efetiva disponibilização de novas terapias depende da análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (Conitec), instituída pelo Decreto nº 7.646/2011, responsável por avaliar eficácia, custo-efetividade e impacto orçamentário (Brasil, 2011).

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de Demência por Alzheimer, atualizado em 2025, ilustra a postura progressiva e prudente da Conitec. A ampliação do uso da donepezila para casos graves (Brasil, 2025) demonstrou o compromisso do SUS com a expansão gradual e responsável da cobertura terapêutica, em alinhamento com as melhores evidências científicas, sem incorrer em riscos financeiros ou sanitários desproporcionais.

Essa postura evidencia o dilema ético e financeiro da incorporação tecnológica no SUS: garantir o acesso à inovação sem comprometer a sustentabilidade orçamentária do sistema. Conforme analisa Barroso (2021), o direito à saúde, quando exercido sem critérios técnicos e distributivos adequados, pode gerar decisões judiciais que desorganizam políticas públicas e acentuam desigualdades regionais. De fato, a judicialização da saúde tornou-se fenômeno central no Brasil. O direito à saúde, previsto no art. 196 da Constituição Federal de 1988, tem sido

amplamente invocado para garantir o fornecimento de medicamentos de alto custo — inclusive os ainda não registrados pela Anvisa ou não incorporados ao SUS e ao rol da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS). Essa tensão entre normatividade e efetividade reflete o desafio de equilibrar a tutela jurisdicional do direito individual com o interesse coletivo e a gestão racional dos recursos públicos (Barroso, 2009).

Além disso, persistem desigualdades estruturais que condicionam o acesso às terapias inovadoras. Os anticorpos monoclonais, como o donanemabe e o lecanemabe, exigem exames de alta complexidade, como PET scan e ressonância magnética seriada, ainda concentrados em grandes centros privados. Segundo Alencar et al. (2024), a distribuição desigual de equipamentos e infraestrutura de saúde compromete a efetividade do princípio da universalidade, aprofundando disparidades regionais e limitando o acesso em áreas periféricas. Nesse contexto, emerge uma questão de justiça distributiva: como assegurar que o avanço biomédico beneficie igualmente pacientes de diferentes regiões e condições socioeconômicas? A resposta, conforme Barroso (2021), está na integração entre regulação técnica, planejamento estruturante e políticas públicas baseadas em evidências, garantindo que a inovação científica se traduza em equidade sanitária e efetividade de direitos.

2.1 Síntese crítica (Brasil)

A análise do cenário brasileiro evidencia um percurso regulatório que combina avanços relevantes com obstáculos persistentes. Entre os progressos, destacam-se a ampliação de terapias sintomáticas — como a incorporação da donepezila para casos graves de Alzheimer pelo SUS em 2025 — e o registro do donanemabe (Kisunla) pela Anvisa no mesmo ano, marco que representou a entrada da primeira terapia modificadora da doença no país (Brasil, 2025). Esses acontecimentos demonstram esforço institucional para alinhar protocolos clínicos à evolução científica internacional e atender à crescente demanda social por inovação terapêutica.

Contudo, a distância entre o registro sanitário e a efetiva disponibilização de medicamentos permanece um desafio estrutural. O processo de incorporação tecnológica conduzido pela Conitec e pela ANS, embora indispensável para assegurar racionalidade orçamentária e custo-efetividade, tende a prolongar significativamente o intervalo até o acesso real pela população. Observa-se, nesse sentido, que a temporalidade das decisões brasileiras contrasta com a experiência norte-americana, marcada por maior agilidade na articulação entre regulação e cobertura financeira (CMS, 2023; FDA, 2024).

Outro aspecto crítico refere-se ao elevado custo dos anticorpos monoclonais anti-amiloide, que impõe forte pressão sobre o financiamento do SUS e dos planos de saúde. Estudos de impacto econômico têm demonstrado que terapias dessa natureza podem comprometer a sustentabilidade orçamentária de sistemas universais, em especial em países de renda média como o Brasil (Friedman; Califf, 2019; Icer, 2021). Constata-se, portanto, que a incorporação dessas tecnologias exige ponderação entre inovação biomédica e responsabilidade fiscal.

Adicionalmente, a exigência de infraestrutura diagnóstica de alta complexidade — como PET-Scan com marcador amiloide e ressonâncias magnéticas seriadas — expõe desigualdades regionais no acesso. Conforme Alencar et al. (2024), a distribuição desses equipamentos no Brasil concentra-se majoritariamente nas regiões Sul e Sudeste, o que reforça um padrão histórico de assimetria. Esse quadro indica que, mesmo quando incorporados, os novos medicamentos tendem a beneficiar sobretudo pacientes atendidos em grandes centros urbanos, restringindo a equidade territorial e social no acesso.

Sob o ponto de vista jurídico, a judicialização da saúde permanece elemento central. Trata-se de um instrumento que, ao mesmo tempo em que assegura a efetivação do direito fundamental previsto no artigo 196 da Constituição, pode gerar distorções sistêmicas ao privilegiar demandas individuais em detrimento de políticas públicas coletivas, tecnicamente fundamentadas (Barroso, 2009). Verifica-se que decisões judiciais oscilam entre garantir acesso imediato a terapias inovadoras e reafirmar a impossibilidade de custeio de medicamentos não registrados, o que gera um campo de tensão entre legalidade sanitária e demandas sociais emergenciais.

Esse dilema evidencia a urgência de um diálogo interinstitucional estruturado entre o Poder Judiciário, as instâncias regulatórias — Anvisa, Conitec e ANS — e os gestores do Sistema Único de Saúde (SUS). Somente a partir dessa integração sistêmica será possível alinhar a proteção dos direitos individuais às exigências de sustentabilidade e racionalidade das políticas públicas, favorecendo a construção de decisões judiciais tecnicamente fundamentadas e socialmente equilibradas.

Em termos analíticos, o contexto brasileiro representa um caso paradigmático da tensão entre inovação científica, responsabilidade fiscal e justiça distributiva. De um lado, observam-se avanços normativos e regulatórios significativos na incorporação de terapias modificadoras do curso da doença de Alzheimer; de outro, persistem obstáculos estruturais que dificultam a tradução dos marcos legais em efetividade social. A superação desse impasse requer o desenvolvimento de políticas públicas integradas, baseadas em avaliações de custo-efetividade, evidências científicas robustas e mecanismos de financiamento progressivo e sustentável. Somente por meio dessa articulação será possível consolidar um modelo de incorporação tecnológica responsável, capaz de promover equidade no acesso, eficiência na gestão dos recursos públicos e a materialização do direito constitucional à saúde de forma ética, racional e socialmente justa.

3 Regulação e Acesso: contrastes entre Estados Unidos e Brasil

Nos Estados Unidos, os prazos de decisão tendem a ser mais curtos, sobretudo pelo uso da *accelerated approval*, mecanismo criado em 1992 em resposta à crise do HIV/AIDS e posteriormente aplicado ao Alzheimer. Esse instrumento permite antecipar a autorização de medicamentos em situações de alta demanda médica, flexibilizando critérios ao aceitar desfechos substitutos, como a redução de placas β-amiloide. Foi por meio desse recurso que a FDA aprovou o aducanumabe em 2021, decisão que se mostrou controversa pela ausência de consenso científico quanto à real associação entre biomarcadores e benefícios clínicos (FDA, 2018; Cummings et al., 2021).

No Brasil, o processo regulatório segue um fluxo mais linear e cauteloso, como demonstrado pelo registro do donanemabe (Kisunla) em 2025. A autorização da Anvisa restringiu-se a perfis genéticos específicos (indivíduos não portadores ou heterozigotos do alelo APOE ε4), em razão da maior vulnerabilidade desse grupo a eventos adversos graves. Tal decisão indica uma postura regulatória mais prudente, que condiciona o acesso à comprovação clínica robusta e à proteção sanitária (Brasil, 2025). Assim, enquanto o modelo norte-americano privilegia rapidez e inovação, o brasileiro valoriza a prudência e a preservação da segurança coletiva.

Outro ponto de contraste refere-se aos critérios de evidência. A FDA admitiu inicialmente a utilização de marcadores biológicos como parâmetro de eficácia, mesmo sem comprovação definitiva de melhora cognitiva. Já no Brasil, a Anvisa optou por não flexibilizar esse requisito, exigindo dados clínicos consistentes como condição para aprovação. Essa diferença reflete não apenas distintas filosofias regulatórias, mas também a pressão exercida pelo modelo de

financiamento público universal brasileiro, em que cada decisão repercute diretamente sobre a sustentabilidade do SUS.

De acordo com Ferreira e Magalhães (2020), a judicialização do acesso a medicamentos no Brasil evidencia lacunas entre a regulação sanitária e a formulação de políticas públicas, revelando a ausência de integração entre o campo técnico-científico e o jurídico. Para os autores, a atuação isolada desses setores favorece decisões fragmentadas e reativas, comprometendo a efetividade das políticas de acesso e a racionalidade na incorporação tecnológica. Sob essa ótica, a postura cautelosa da Anvisa representa não apenas uma escolha técnica, mas uma resposta estruturante à necessidade de garantir segurança terapêutica e justiça distributiva em um sistema público de saúde.

No tocante ao financiamento, as divergências entre os sistemas tornam-se ainda mais evidentes. Nos Estados Unidos, o Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) implementou a política de *coverage with evidence development*, que viabiliza a cobertura condicional de medicamentos mediante a coleta sistemática de dados em registros nacionais, articulando o acesso precoce a terapias inovadoras com o monitoramento contínuo de sua efetividade e segurança (CMS, 2023; Health Affairs, 2023). No Brasil, o custeio é condicionado às análises de custo-efetividade conduzidas pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) e, no setor suplementar, pela Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS). Esses processos, embora fundamentais para garantir o uso racional dos recursos, caracterizam-se por maior complexidade e temporalidade estendida, o que pode resultar na busca do Poder Judiciário como via alternativa de acesso a medicamentos e terapias não incorporadas.

Apesar das diferenças estruturais e regulatórias, ambos os países enfrentam desafios convergentes em relação à sustentabilidade financeira e à infraestrutura assistencial. Nos Estados Unidos, o custo anual elevado dos anticorpos monoclonais impõe pressão significativa sobre o orçamento do Medicare, limitando a adoção generalizada dessas terapias (Cubanski; Neuman, 2021). No Brasil, os entraves são ainda mais expressivos: além do impacto econômico, a efetividade dos tratamentos é comprometida pela insuficiência de infraestrutura diagnóstica, especialmente quanto à disponibilidade de exames de alta complexidade, como PET scan e ressonâncias magnéticas seriadas. Esses recursos permanecem concentrados nas regiões Sul e Sudeste, configurando um cenário de desigualdade territorial e socioeconômica no acesso à atenção especializada (Alencar et al., 2024).

De forma sintética, a análise comparativa dos modelos regulatórios e financeiros evidencia que o sistema norte-americano privilegia a celeridade na incorporação tecnológica, ainda que com maior grau de incerteza regulatória, enquanto o modelo brasileiro enfatiza a prudência decisória e a segurança sanitária, condicionadas por limitações estruturais e orçamentárias. Em ambos os contextos, contudo, persiste o mesmo desafio paradigmático: compatibilizar a incorporação de terapias biomédicas inovadoras com a sustentabilidade financeira dos sistemas de saúde e com a concretização do princípio da justiça distributiva, fundamento essencial do direito sanitário contemporâneo.

4 Análise comparada dos marcos regulatórios (EUA e Brasil)

A análise desenvolvida nos tópicos anteriores evidencia que tanto o modelo norte-americano quanto o brasileiro dispõem de mecanismos próprios para a regulação e a incorporação de novas terapias voltadas ao tratamento da doença de Alzheimer. Cada sistema, entretanto, reflete as particularidades de seu contexto institucional, econômico e jurídico, resultando em trajetórias distintas de aprovação, financiamento e acesso.

Segundo Caetano et al. (2021), "a regulação e a incorporação tecnológica em saúde constituem processos complexos e dinâmicos, nos quais se articulam dimensões científicas, econômicas e sociais" (p. 5428). Essa perspectiva ressalta que comparações entre modelos regulatórios devem considerar não apenas os dispositivos normativos, mas também a cultura institucional e os condicionantes estruturais de cada país.

Com o intuito de tornar essa comparação mais clara e objetiva, apresenta-se, a seguir, uma síntese dos principais pontos de convergência e divergência entre os dois países, considerando aspectos regulatórios, processos de incorporação tecnológica e condições práticas de acesso pelos pacientes (Tabela 1).

Tabela 1 – Comparação entre os processos regulatórios de terapias para Alzheimer nos Estados Unidos e no Brasil

Aspecto	EUA	Brasil
Autoridade sanitária	FDA (CDER) com vias acelerada e tradicional; decisões recentes: Leqembi (tradicional 2023), Kisunla (2024).	Anvisa com RDC 753/2022 (rev. RDC 200/2017); Kisunla aprovado em 22/4/2025; Leqembi sem registro oficial.
Cobertura pública	Medicare/CMS expandiu cobertura do Leqembi após aprovação tradicional, com requisito de registro de dados.	Conitec avalia custo-efetividade e impacto orçamentário antes da oferta no SUS (Decreto 7.646/2011). Donepezila (grave) incorporada em 2025; anti-amiloide ainda sem decisão de incorporação.
Risco/monitoramento	Protocolos de RM seriada por ARIA e manejo por APOE ε4; bulas e diretrizes clínicas refletem esses riscos.	A bula brasileira do Kisunla traz recorte por APOE ε4 e exigências de monitoramento, implicando necessidade de capacidade diagnóstica no sistema.
Velocidade de acesso	Via acelerada permite entrada mais precoce, com posterior confirmação; alinhamento FDA–CMS acelera adoção.	Após o registro, acesso depende de múltiplas instâncias (Anvisa - Conitec/SUS e ANS), o que pode alongar prazos e incentivar judicialização. (base legal geral).

Fonte: Elaboração própria

A análise comparativa entre os modelos regulatórios dos Estados Unidos e do Brasil evidencia implicações jurídicas e de políticas públicas de alta relevância para o campo da saúde coletiva e do direito sanitário. O episódio envolvendo o aducanumabe (Aduhelm), aprovado pela FDA em 2021, constitui um caso paradigmático sobre os riscos inerentes à adoção de desfechos substitutos como critério de aprovação terapêutica, sem a devida confirmação de benefício clínico robusto. Embora a autorização inicial tenha despertado expectativas entre pacientes e familiares, a fragilidade das evidências científicas resultou na restrição de cobertura pelo Medicare e na posterior descontinuação comercial do medicamento. Tal trajetória evidencia a necessidade de prudência regulatória e rigor epistêmico nas decisões que antecipam o acesso a tecnologias sem respaldo empírico consolidado (Alzheimer's Association, 2024).

Outro aspecto relevante refere-se à integração entre regulação sanitária e cobertura financeira. No modelo norte-americano, observa-se uma articulação institucional entre a FDA e o Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS), o que possibilita que a aprovação regulatória seja acompanhada, em curto prazo, por mecanismos de reembolso público condicionados à coleta adicional de evidências (*coverage with evidence development*). Em contrapartida, o sistema brasileiro

caracteriza-se por uma segmentação entre registro sanitário e incorporação tecnológica, sendo o primeiro conduzido pela Anvisa e o segundo pela Conitec e ANS. Essa dissociação implica maior temporalidade processual e favorece a judicialização do acesso, quando pacientes recorrem ao Poder Judiciário como via alternativa para obtenção de terapias ainda não incorporadas (BRASIL, 2011; CMS, 2023). Nesse contexto, o dilema jurídico central reside na necessidade de equilibrar a proteção coletiva e a sustentabilidade fiscal com a efetividade imediata do direito individual à saúde.

Além das dimensões normativas, subsistem desafios estruturais e logísticos relacionados à infraestrutura assistencial necessária para a implementação das terapias modificadoras do curso do Alzheimer. A dependência de exames de alta complexidade, como PET scan e ressonância magnética seriada, para fins de diagnóstico e monitoramento de efeitos adversos (amyloid-related imaging abnormalities – ARIA), cria barreiras de acesso tanto nos Estados Unidos quanto no Brasil. No contexto norte-americano, essas restrições refletem disparidades socioeconômicas e geográficas, enquanto, no cenário brasileiro, estão associadas à concentração de equipamentos de alta tecnologia nas regiões Sul e Sudeste e à escassez de profissionais especializados em áreas periféricas (Alencar et al., 2024).

Nessa perspectiva, mesmo diante do registro e eventual incorporação de fármacos como o donanemabe, persiste o risco de que o acesso efetivo permaneça restrito a grandes centros urbanos, reproduzindo padrões históricos de desigualdade territorial e exclusão socioespacial (PMC, 2023). Assim, a inovação terapêutica pode, paradoxalmente, ampliar as iniquidades que o sistema público de saúde busca mitigar.

Em síntese, as implicações jurídicas e de políticas públicas associadas à regulação das terapias para Alzheimer demonstram que o debate ultrapassa a dimensão da aprovação sanitária. O desafio contemporâneo consiste em conciliar a incorporação responsável de inovações biomédicas com a racionalidade orçamentária e a equidade distributiva, assegurando que o direito constitucional à saúde se concretize de maneira universal, segura e socialmente justa.

Considerações Finais

A análise comparada entre os Estados Unidos e o Brasil no campo da regulação das terapias modificadoras do curso do Alzheimer evidencia avanços significativos, mas também dilemas estruturais persistentes. O modelo norte-americano, caracterizado pela celeridade dos mecanismos de aprovação da FDA e pela integração institucional com o Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS), demonstra elevada capacidade de introduzir precocemente inovações terapêuticas. Entretanto, esse mesmo dinamismo regulatório revela riscos epistêmicos e econômicos, sobretudo quando decisões são baseadas em evidências clínicas ainda incipientes, como se observou no caso do aducanumabe, cuja aprovação precoce gerou controvérsias quanto à efetividade e à sustentabilidade do modelo de cobertura pública.

No contexto brasileiro, registram-se progressos regulatórios com o registro do donanemabe pela Anvisa e a atualização de protocolos clínicos voltados às terapias sintomáticas. Todavia, a morosidade dos processos de incorporação tecnológica, os custos elevados e as desigualdades estruturais e regionais continuam a limitar a efetividade e a equidade no acesso. Esses elementos indicam que o principal desafio não reside apenas na aprovação formal de novas terapias, mas na construção de políticas públicas capazes de garantir efetividade social, sustentabilidade financeira e justiça distributiva.

Do ponto de vista jurídico, constata-se que ambos os modelos expressam dilemas convergentes, relacionados à necessidade de conciliar o direito à saúde com as tensões entre

inovação biomédica, responsabilidade fiscal e justiça social. Nos Estados Unidos, as críticas concentram-se na celeridade das aprovações e em seus efeitos orçamentários sobre o Medicare; no Brasil, no ritmo lento de incorporação e na judicialização recorrente como via de acesso a tecnologias ainda não incorporadas. Em ambos os contextos, a regulação sanitária revela-se insuficiente quando desvinculada de políticas integradas de financiamento, planejamento e infraestrutura assistencial, o que reafirma a necessidade de governança interinstitucional e coordenação federativa no campo da saúde.

Conclui-se, portanto, que o desafio contemporâneo da regulação sanitária ultrapassa o binômio "aprovar ou rejeitar" medicamentos, demandando condições institucionais, econômicas e sociais que convertam os avanços regulatórios em acesso efetivo, seguro e equitativo. No caso brasileiro, essa transformação requer a combinação de regulação técnica responsável, expansão da capacidade diagnóstica, mecanismos de precificação justos e o fortalecimento do Sistema Único de Saúde (SUS) enquanto política pública universal e redistributiva.

Sob a ótica do Direito Comparado, as experiências dos Estados Unidos e do Brasil demonstram que nenhum modelo é isento de limitações, mas ambos oferecem lições complementares para o aprimoramento das políticas de saúde em face das inovações biomédicas. O sistema norte-americano destaca-se pela agilidade e inovação regulatória, ainda que associado a incertezas clínicas e pressões econômicas expressivas, ao passo que o modelo brasileiro se orienta por gradualismo, prudência e busca por equidade, embora condicionado por entraves estruturais e desigualdades regionais persistentes.

Em última instância, a comparação entre esses dois contextos reafirma que o verdadeiro desafio não se restringe ao ato regulatório em si, mas à efetivação concreta do direito à saúde. O futuro das políticas públicas voltadas ao Alzheimer dependerá da capacidade de articular inovação científica, responsabilidade fiscal e justiça social, assegurando que os avanços biomédicos se traduzam em benefícios tangíveis e universais, e não em privilégios restritos a determinados segmentos populacionais.

Referências

ALENCAR, A. P. et al. Tomografia computadorizada e ressonância magnética no Brasil: estudo epidemiológico sobre a distribuição dos equipamentos em relação à população usuária do Sistema Único de Saúde. Radiologia Brasileira, São Paulo, v. 57, n. 3, p. 139–144, 2024. Disponível em: https://rb.org.br/export-pdf/3561/e20230094.pdf. Acesso em: 22 set. 2025.

ALZHEIMER EUROPE. Biogen discontinues development and sales of aducanumab for Alzheimer's disease. Alzheimer Europe. Disponível em: https://www.alzheimer-europe.org/news/biogen-discontinues-development-and-sales-aducanumab-ad. Acesso em: 22 set. 2025.
ALZHEIMER'S ASSOCIATION. Aducanumab (Aduhelm) Discontinued as Alzheimer's Treatment. Alzheimer's Association, 2024. Disponível em: https://www.alz.org/alzheimers-dementia/treatments/aducanumab. Acesso em: 16 ago. 2025.

BARROSO, Luís Roberto. Da falta de efetividade à judicialização excessiva: direito à saúde, fornecimento gratuito de medicamentos e parâmetros para a atuação judicial. Revista de Direito Administrativo, Rio de Janeiro, v. 249, p. 197-234, 2009. Disponível em: https://bd.tjmg.jus.br/handle/tjmg/8536. Acesso em: 22 set. 2025.

BRASIL. Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 22 dez. 2011. Disponível em:

https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/decreto/d7646.htm. Acesso em: 22 set. 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Resolução RDC nº 753, de 28 de setembro de 2022. Dispõe sobre os critérios e procedimentos para o registro de medicamentos novos. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 5 out. 2022. Disponível em: https://anvisalegis.datalegis.net/action/ActionDatalegis.php?acao=abrirTextoAto&codTipo=&cod_menu=1696&cod_modulo=134&desItem=&desItemFim=&numeroAto=00000753&orgao=RDC%2FDC%2FANVISA%2FMS&pesquisa=true&seqAto=000&tipo=RDC&valorAno=2022. Acesso em: 22 set. 2025.

BRASIL. Ministério da Saúde. Conitec recomenda a ampliação do uso de donepezila para Alzheimer grave. Brasília: Ministério da Saúde, 2025. Disponível em: https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/2025/maio/sus-amplia-tratamento-para-casos-graves-de-alzheimer. Acesso em: 16 ago. 2025.

CAETANO, R.; SILVA, R. M.; PEDRO, E. M.; OSORIO-DE-CASTRO, C. G. S. Regulação e incorporação de tecnologias em saúde: desafios contemporâneos para sistemas universais. Ciência & Saúde Coletiva, v. 26, n. 11, p. 5427-5440, 2021.
Disponível em: https://www.scielosp.org/article/csc/2021.v26n11/5427-5440/. Acesso em: 8 out. 2025.

CENTERS FOR MEDICARE & MEDICAID SERVICES (CMS). CMS announces broader Medicare coverage of Leqembi following FDA traditional approval. Baltimore: CMS, 2023. Disponível em: https://www.cms.gov/newsroom/press-releases/statement-broader-medicare-coverage-leqembi-available-following-fda-traditional-approval. Acesso em: 16 ago. 2025.

CUBANSKI, J.; NEUMAN, T. FDA's approval of Biogen's new Alzheimer's drug has huge cost implications for Medicare and beneficiaries. Kaiser Family Foundation (KFF), 2021. Disponível em: https://www.kff.org/medicare/fdas-approval-of-biogens-new-alzheimers-drug-has-huge-cost-implications-for-medicare-and-beneficiaries/. Acesso em: 22 set. 2025.

CUMMINGS, J. et al. Aducanumab: Appropriate Use Recommendations. Journal of Prevention of Alzheimer's Disease, v. 8, n. 4, p. 398-410, 2021. Disponível em: https://doi.org/10.14283/jpad.2021.41. Acesso em: 22 set. 2025.

DINIZ, Maria Helena. Compêndio de Introdução à Ciência do Direito. 32. ed. São Paulo: Saraiva Educação, 2019.
EISAI. Eisai and Biogen announce approval of LEQEMBI® in additional countries. Eisai Global, 2025. Disponível em: https://www.eisai.com/news/2025/news202559.html. Acesso em: 22 set. 2025.

FDA. Accelerated Approval Program. U.S. Food and Drug Administration (FDA), 2018. Disponível em: https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/accelerated-approval-program. Acesso em: 22 set. 2025.

FDA. Aduhelm (aducanumab) – Full Prescribing Information. U.S. Food and Drug Administration, 2021. Disponível em: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2021/761178s000lbl.pdf. Acesso em: 22 set. 2025. (citado como: FDA, 2021b)

FDA. Aduhelm (aducanumab-avwa) – Approval Letter. U.S. Food and Drug Administration, 7 jun. 2021. Disponível em:
https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2021/761178Orig1s000ltr.pdf. Acesso em: 22 set. 2025. (citado como: FDA, 2021a)

FDA. Advisory Committees. U.S. Food and Drug Administration (FDA), 2020. Disponível em: https://www.fda.gov/advisory-committees. Acesso em: 22 set. 2025.

FDA. FDA approves treatment for adults with Alzheimer's disease. U.S. Food and Drug Administration (FDA), 2024. Disponível em: https://www.fda.gov/drugs/news-events-human-drugs/fda-approves-treatment-adults-alzheimers-disease. Acesso em: 22 set. 2025.

FDA. FDA converts novel Alzheimer's disease treatment to traditional approval. U.S. Food and Drug Administration (FDA), 2023. Disponível em: https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-converts-novel-alzheimers-disease-treatment-traditional-approval. Acesso em: 22 set. 2025.

FERRAZ, Octávio Luiz Motta. Direito à saúde, escassez de recursos e equidade: os riscos da interpretação judicial dominante no Brasil. Dados – Revista de Ciências Sociais, Rio de Janeiro, v. 52, n. 4, p. 223–251, 2009. DOI: https://doi.org/10.1590/S0011-52582009000400001. Disponível em: https://www.scielo.br/j/dados/a/Mb6v3F5kTNgVWX6xrkrF3pd/?format=pdf&lang=pt. Acesso em: 8 out. 2025.

FERREIRA, M. A.; MAGALHÃES, M. L. Judicialização do acesso a medicamentos no Brasil: revisão integrativa da literatura. Revista Eletrônica de Comunicação, Informação e Inovação em Saúde, v. 14, n. 2, p. 1-17, 2020.

FRIEDMAN, L. M.; CALIFF, R. M. Expedited drug approval and postmarketing surveillance: balancing speed and safety. JAMA, v. 321, n. 2, p. 145-146, 2019. DOI: 10.1001/jama.2018.20755. Disponível em: https://jamanetwork.com/journals/jama/fullarticle/2720011. Acesso em: 22 set. 2025.

HEALTH AFFAIRS. Medicare coverage with evidence development leaps into spotlight with CMS draft national coverage. Health Affairs, [s.d.]. Disponível em: https://www.healthaffairs.org/content/forefront/medicare-coverage-evidence-development-leaps-into-spotlight-cms-draft-national-coverage. Acesso em: 22 set. 2025.

ICER. ICER issues statement on the FDA's approval of Aducanumab for Alzheimer's Disease. Institute for Clinical and Economic Review (ICER), 2021. Disponível em: https://icer.org/news-insights/press-releases/icer-issues-statement-on-the-fdas-approval-of-aducanumab-for-alzheimers-disease/. Acesso em: 22 set. 2025.

KNOPMAN, D. S.; PERLMUTTER, J. S.; SELKOE, D. J. Aducanumab and the FDA — where do we stand now? New England Journal of Medicine, v. 385, n. 9, p. 769-771, 2021. Disponível em: https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMp2110468. Acesso em: 22 set. 2025.

LAKATOS, Eva Maria; MARCONI, Marina de Andrade. Fundamentos de metodologia científica. 9. ed. São Paulo: Atlas, 2021.

OCKÉ-REIS, Carlos Octávio. SUS: o desafio de ser único. Rio de Janeiro: Fiocruz, 2018. Disponível em: https://fiocruz.br/livro/sus-o-desafio-de-ser-unico. Acesso em: 8 out. 2025.

PAIM, Jairnilson Silva; autores. O Que É o SUS: e-book interativo. Rio de Janeiro: Fiocruz, 2017. Disponível em: https://fiocruz.br/livro/que-e-o-sus-e-book-interativo-o. Acesso em: 8 out. 2025.

SALLOWAY, S. et al. Amyloid-Related Imaging Abnormalities in 2 Phase 3 Studies Evaluating Aducanumab in Patients With Early Alzheimer Disease. JAMA Neurology, v. 79, n. 1, p. 13-21, 2022. Disponível em: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8609465/. Acesso em: 22 set. 2025.

SANTOS, Boaventura de Sousa. Para um novo senso comum: a ciência, o direito e a política na transição paradigmática. 6. ed. São Paulo: Cortez, 2002.

TAMPI, R. R. et al. Aducanumab: evidence from clinical trial data and clinical perspectives. Therapeutic Advances in Neurological Disorders, v. 14, p. 1-12, 2021. DOI: 10.1177/17562864211059943. Disponível em: https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8491638/. Acesso em: 22 set. 2025.

TJDFT. Apelação Cível. Ação de obrigação de fazer c/c indenização por danos morais e materiais. Carcinoma medular de tireoide. Prescrição de selpercatinibe. Medicamento não registrado na Anvisa. Liberação de importação pela agência reguladora. Obrigatoriedade de custeio pelo plano de saúde. Danos morais configurados. Acórdão unânime. Julgado em 2025. Disponível em: https://www.jusbrasil.com.br/jurisprudencia/tj-df/1685709334. Acesso em: 16 ago. 2025.

U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS). Broader Medicare coverage of Leqembi available following FDA traditional approval. Baltimore: CMS, 2023. Disponível em: https://www.cms.gov/newsroom/press-releases/statement-broader-medicare-coverage-leqembi-available-following-fda-traditional-approval. Acesso em: 22 set. 2025.

U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS). Monoclonal antibodies directed against amyloid for the treatment of Alzheimer's disease: Medicare final coverage policy (National Coverage Determination, NCD). Baltimore: CMS, 2022. Disponível em: https://www.cms.gov/medicare/coverage/coverage-evidence-development/monoclonal-antibodies-directed-against-amyloid-treatment-alzheimers-disease-ad. Acesso em: 22 set. 2025.

WITHINGTON, D. J. et al. Amyloid-Related Imaging Abnormalities With Anti-Amyloid Antibody Treatment. Practical Neurology, 2022. Disponível em: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8985815/. Acesso em: 16 ago. 2025.

Informação bibliográfica deste texto, conforme a NBR 6023:2018 da Associação Brasileira de Normas Técnicas (ABNT):

FARIAS, Célio Ramos; ALMEIDA, Verônica Scriptore Freire e; LAMY, Marcelo. Regulação de tratamentos modificadores da doença de Alzheimer: um estudo comparado entre Estados Unidos e Brasil. **Revista Brasileira de Direito Constitucional**, vol. 25, jan./dez. 2025), pp. 401-417. São Paulo: ESDC, 2025. ISSN: 1983-2303 (eletrônica).

Recebido em 03/10/2025

Aprovado em 25/10/2025

https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/deed.pt-br