



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 0005/2025**

Rio de Janeiro, 15 de janeiro de 2025.

**Processo nº 0967774-77.2024.8.19.0001,  
ajuizado por**

Trata-se de Autora, 61 anos de idade, acompanhada pelo serviço de reumatologia do Hospital Federal dos Servidores do Rio de Janeiro, com diagnóstico de **esclerose sistêmica**, forma cutânea (fenômeno de Raynaud, espessamento cutâneo, dismotilidade esofageana, microstomia e microcicatriz em polpas digitais) associada à **dermatomiosite** (fraqueza muscular proximal, elevação de enzimas musculares, pápulas de Gottron e poiquilodermia) e eletroneuromiografia compatível com **miopatia**. Já utilizou Ciclofosfamida – desenvolvendo reação alérgica, Metorexato – evoluindo com falha terapêutica (piora das lesões de pele e fraqueza muscular) e Azatioprina – não obtendo resposta ao tratamento e presença de efeitos colaterais. Assim, foi solicitado o uso do medicamento **Micofenolato de mofetila 500mg** – 03 comprimidos pela manhã e à tarde (06 ao dia)(Num. 162621321 – Págs. 5 e 6).

A **esclerose sistêmica (ES)** é uma doença sistêmica, imunomedida e crônica que compromete principalmente a pele, os vasos sanguíneos, o trato gastrointestinal, o sistema musculoesquelético, os pulmões, os rins e o coração. A etiologia da ES é desconhecida e sua patogênese é complexa, desafiadora e envolve a tríade: disfunção imune, vasculopatia e fibrose. A ES inclui as seguintes manifestações clínicas: cutâneas: caracterizada por três fases – edematosas (*puffy fingers*), a fase indurativa e a atrófica, na qual a pele se torna seca, descamativa e aderida a planos profundos; leucomelanoderma e calcinoses também são frequentes; vasculares: o fenômeno de Raynaud geralmente é a primeira manifestação da doença; úlceras isquêmicas digitais; telangiectasias; musculoesqueléticas: artrite, tendinite, atrito de tendão e contraturas articulares; gastrointestinais: dismotilidade esofágica e intestinal, refluxo gastroesofágico, síndrome disabsortiva, supercrescimento bacteriano; pulmonares: pneumopatia intersticial, fibrose e hipertensão pulmonar; cardíacas: todos os domínios anatômicos do coração podem ser afetados, incluindo o miocárdio, pericárdio e sistema de condução; renais: crise renal esclerodérmica; neuromuscular: atrofia muscular (sarcopenia), fraqueza muscular e miopatia, estas últimas são cada vez mais reconhecidas como os principais contribuintes para a morbidade da ES e geniturnários<sup>1</sup>.

A **dermatomiosite (DM ou dermatopolimiosite)** é doença do tecido conjuntivo que associa **miopatia** a **manifestações cutâneas** características, cuja causa permanece desconhecida, sendo considerada doença idiopática. Na etiologia, consideram-se as associações com抗ígenos de histocompatibilidade, vírus, drogas e auto-imunidade. Pacientes com DM apresentam manifestações cutâneas e sistêmicas, sendo mais comuns lesões em áreas fotoexpostas, fraqueza muscular proximal, alterações da musculatura respiratória e disfagia. Na forma juvenil, há maior incidência de calcinose cutânea. O diagnóstico é realizado através da história e exame físico, sendo corroborado pelas enzimas

<sup>1</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 16, de 10 de agosto de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Esclerose Sistêmica. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220926\\_pcdt\\_esclerose\\_sistemica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220926_pcdt_esclerose_sistemica.pdf)>. Acesso em: 15 jan. 2025.



musculares, biópsia muscular, biópsia cutânea, eletroneuromiografia (ENMG), ultrassonografia (USG) e ressonância nuclear magnética (RNM)<sup>2</sup>.

O **Micofenolato de mofetila (MMF)** é um inibidor potente, seletivo, não-competitivo e reversível da enzima inosina monofosfato desidrogenase (IMPDH). Em associação com ciclosporina A e corticosteroide está indicado para: profilaxia da rejeição aguda de órgãos e para o tratamento da primeira rejeição ou da rejeição refratária de órgãos em pacientes adultos receptores de transplantes renais alógénicos; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante cardíaco alógénico; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante hepático alógénico. Está indicado para terapia de indução e manutenção de pacientes adultos com nefrite lúpica classe III à V, diagnosticados de acordo com a classificação da Sociedade Internacional de Nefrologia/Sociedade de Patologia Renal<sup>3</sup>.

Assim, cumpre informar que o medicamento **Micofenolato de mofetila 500mg não apresenta indicação descrita em bula**<sup>2</sup> para o tratamento da **esclerose sistêmica ou dermatomiosite**, quadro clínico da Autora, conforme relato médico (Num. 162621321 – Págs. 5 e 6). Assim, sua indicação, nesse caso, configura uso *off label*.

O uso *off label* do medicamento, ou seja, o uso não aprovado, que não consta da bula. Quando um medicamento é aprovado para uma determinada indicação isso não implica que esta seja a única possível, e que o medicamento só possa ser usado para ela. Outras indicações podem estar sendo, ou vir a ser estudadas, as quais, submetidas à Anvisa quando terminados os estudos, poderão vir ser aprovadas e passar a constar da bula. Estudos concluídos ou realizados após a aprovação inicial podem, por exemplo, ampliar o uso do medicamento para outra faixa etária, para uma fase diferente da mesma doença para a qual a indicação foi aprovada, ou para uma outra doença, assim como o uso pode se tornar mais restrito do que inicialmente se aprovou<sup>4</sup>.

Excepcionalmente a ANVISA pode autorizar o uso de um medicamento para uma indicação que não conste em bula, conforme previsto no Artigo 21 do Decreto 8.077, de 14 de agosto de 2013<sup>5</sup>. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso *off label* do medicamento **Micofenolato de mofetila** no tratamento **esclerose sistêmica ou dermatomiosite**.

Todavia, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022<sup>6</sup>, autoriza o uso *off label* de medicamento em que a indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro na Anvisa, desde que seu uso tenha sido recomendado pela CONITEC, demonstradas as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança, e esteja padronizado em protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde.

De acordo com literatura consultada, diversos imunossupressores têm sido utilizados como agentes poupadões de glicocorticoides em **miopatias inflamatórias idiopáticas (MII)**. Em um

<sup>2</sup> ORTIGOSA, L.C.M., REIS, V.M.S. Dermatomiosite. An. Bras. Dermatol. v.83, n.3, Rio de Janeiro, mai/jun 2008. Disponível em: <[http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci\\_arttext&pid=S0365-05962008000300010](http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0365-05962008000300010)>. Acesso em: 15 jan. 2025.

<sup>3</sup> Bula do medicamento Micofenolato de Mofetila por Farma Vision Importação e Exportação de Medicamentos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000539>>. Acesso em: Acesso em: 15 jan. 2025.

<sup>4</sup>ANVISA. Agência Nacional de vigilância Sanitária. Como a Anvisa vê o uso off label de medicamentos. Disponível em: <[http://antigo.anvisa.gov.br/en\\_US/resultado-de-busca?p\\_p\\_id=101&p\\_p\\_lifecycle=0&p\\_p\\_state=maximized&p\\_p\\_mode=view&p\\_p\\_col\\_id=column-1&p\\_p\\_col\\_count=1&\\_101\\_struts\\_action=%2Fasset\\_publisher%2Fview\\_content&\\_101\\_assetEntryId=352702&\\_101\\_type=content&\\_101\\_group#:~:text=Quando%20o%20medicamento%20%C3%A9%20empregado,que%20n%C3%A3o%20consta%20da%20bula.](http://antigo.anvisa.gov.br/en_US/resultado-de-busca?p_p_id=101&p_p_lifecycle=0&p_p_state=maximized&p_p_mode=view&p_p_col_id=column-1&p_p_col_count=1&_101_struts_action=%2Fasset_publisher%2Fview_content&_101_assetEntryId=352702&_101_type=content&_101_group#:~:text=Quando%20o%20medicamento%20%C3%A9%20empregado,que%20n%C3%A3o%20consta%20da%20bula.)>. Acesso em 15 jan. 2025.

<sup>5</sup>BRASIL. Decreto Nº 8.077, de 14 de agosto de 2013. Regulamenta as condições para o funcionamento de empresas sujeitas ao licenciamento sanitário, e o registro, controle e monitoramento, no âmbito da vigilância sanitária, dos produtos de que trata a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e dá outras providências. Disponível em: <[http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/\\_Ato2011-2014/2013/Decreto/D8077.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2013/Decreto/D8077.htm)>. Acesso em: 15 jan. 2025.

<sup>6</sup>DÍARIO OFICIAL DA UNIÃO. Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022. Disponível em: <<https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/lei-n-14.313-de-21-de-marco-de-2022-387356896>> Acesso em: 15 jan. 2025.



estudo retrospectivo, período de 2011 a 2016, no qual 21 pacientes adultos consecutivos com MII (**dermatomiosite**, dermatomiosite clinicamente amiopática, síndrome antissintetase ou polimiosite) foram avaliados por 06 meses consecutivos após o início de **Micofenolato de mofetila**. O **Micofenolato de mofetila** foi relativamente bem tolerado, seguro e eficaz em pacientes com MII refratária<sup>7</sup>.

Ressalta-se que, segundo estudo, o **Micofenolato de Mofetila** tem sido utilizado na **esclerose sistêmica** tanto em pacientes com acometimento cutâneo quanto pulmonar. O Metotrexato é a primeira opção terapêutica para o espessamento cutâneo progressivo nos pacientes com esclerose sistêmica. A Ciclofosfamida, o Micofenolato de Mofetila e o Rituximabe podem representar opções terapêuticas nos casos não responsivos ao tratamento com Metotrexato<sup>8</sup>.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que **Micofenolato de Mofetila 500mg** é disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas elaborados pelo Ministério da Saúde, e conforme o disposto na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS. Para o caso em tela – **esclerose sistêmica e dermatomiosite** – doenças apresentadas pela Autora, o **Micofenolato de Mofetila** não é padronizado no SUS, tornando o seu acesso inviável por via administrativa.

Considerando a doença do Requerente, informa-se que para o tratamento da **dermatomiosite**, o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Dermatomiosite e Polimiosite**<sup>9</sup>. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) atualmente disponibiliza, através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) e conforme o disposto nas Portarias de Consolidação nº 2/GM/MS e nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS, os medicamentos: Azatioprina 50mg (comprimido), Metotrexato 2,5mg (comprimido) e 25mg/mL (solução injetável), Ciclosporina 25mg, 50mg e 100mg (cápsulas) e 100mg/mL (solução oral), Hidroxicloroquina 400mg (comprimido) e Imunoglobulina humana 5g (solução injetável).

Já para o tratamento da **esclerose sistêmica**, o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da referida doença**<sup>10</sup>, por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) atualmente disponibiliza, através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) e conforme o disposto nas Portarias de Consolidação nº 2/GM/MS e nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS, os medicamentos: Sildenafil 25mg e 50mg (comprimido), Azatioprina 50mg (comprimido) e Metotrexato 2,5mg (comprimido) e 25mg/mL (solução injetável – ampola de 2mL).

<sup>7</sup>SHINJO,S.K. et al. Segurança e eficácia do Micofenolato de Mofetila em miopatias inflamatórias idiopáticas. Rev Bras Reumatol 2017; 57 (S 1): S209-S235. Disponível em: <<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0482500417305624?via%3Dihub>>. Acesso em: 15 jan. 2025.

<sup>8</sup> SAMPAIO-BARROS, P.D. et al. Recomendações sobre diagnóstico e tratamento da esclerose sistêmica. Revista Brasileira de Reumatologia. 2013;53 (3): 258-275. Disponível em: <[https://observatorio.fim.usp.br/bitstream/OPI/4420/2/art\\_SAMPAIO-BARROS\\_Recommendations\\_for\\_the\\_management\\_and\\_treatment\\_of\\_systemic\\_2013\\_por.PDF](https://observatorio.fim.usp.br/bitstream/OPI/4420/2/art_SAMPAIO-BARROS_Recommendations_for_the_management_and_treatment_of_systemic_2013_por.PDF)>. Acesso em: 15 jan. 2024.

<sup>9</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria SAS/MS nº 1692, de 22 de novembro de 2016. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Dermatomiosite e Polimiosite. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/protocolos/pcdt\\_dermatomiosite\\_polimiosite-1.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/protocolos/pcdt_dermatomiosite_polimiosite-1.pdf)>. Acesso em: 15 jan. 2025.

<sup>10</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 16, de 10 de agosto de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Esclerose Sistêmica. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/protocolos/20220926\\_pcdt\\_esclerose\\_sistemica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/protocolos/20220926_pcdt_esclerose_sistemica.pdf)>. Acesso em: 15 jan. 2025.



Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que a Autora **possui cadastro** no CEAF para recebimento do medicamento padronizado Hidroxicloroquina 400mg – período de vigência: 02/12/2024 à 28/02/2025 – com solicitação autorizada. Apesar de solicitado no CEAF, não foi possível observar em documento médico acostado qualquer menção quanto ao uso da Hidroxicloroquina tampouco quanto da Ciclosporina, padronizadas no SUS, no plano terapêutico da Autora. Nessa linha intelectiva, não é possível afirmar que **as opções terapêuticas padronizadas no SUS foram esgotadas**.

Acrescenta-se que a **esclerose sistêmica** (ES) e a **dermatomiosite** são doenças raras. A incidência global anual da dermatomiosite é estimada em menos de 10 casos por milhão de indivíduos<sup>2</sup>, enquanto da ES é de 1,4 novos casos por 100.000/ano, com prevalência estimada de 17,6 por 100.000 habitantes. No Brasil, o único estudo de prevalência e incidência disponível foi realizado no Mato Grosso do Sul e demonstrou uma taxa de prevalência estimada de 10,56 casos por 100 mil habitantes, e de incidência de 1,19 novos casos por 100 mil habitantes/ano<sup>10</sup>. Nesse sentido, cumpre salientar que o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras<sup>11</sup> tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras<sup>12</sup>. Tais PCDTs foram descritos acima.

O medicamento pleiteado **possui registro ativo** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Contudo ainda **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para o tratamento de **esclerose sistêmica** ou **dermatomiosite**<sup>13</sup>.

Ademais, em caráter informativo, ressalta-se que, conforme observado em consulta ao sítio eletrônico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), atualmente encontra-se em atualização o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para tratamento da **Dermatomiosite e Polimiosite** em vigor<sup>14</sup>.

Quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Num. 162621320 – Pág. 14, item “*VII – Do Pedido*”, subitens “*b*” e “*e*”) referente ao fornecimento de “... outros medicamentos e produtos complementares e acessórios que, no curso da demanda, se façam necessários ao tratamento da moléstia...” vale ressaltar que não é recomendado o provimento de novos itens sem emissão de laudo que justifique a necessidade destes, uma vez que o uso irracional e indiscriminado de tecnologias pode implicar em risco à saúde.

<sup>11</sup>BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<[http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 15 jan. 2025

<sup>12</sup>CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio\\_pcdt\\_doenasraras\\_cp\\_final\\_142\\_2015.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf)>. Acesso em: 15 jan. 2025

<sup>13</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 15 jan. 2025

<sup>14</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 15 jan. 2025.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**É o parecer.**

**Ao 3º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado  
Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**JULIANA DE ASEVEDO BRÜTT**

Farmacêutica

CRF-RJ 8296

ID. 5074441-0

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02