

## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 1030/2025

Rio de Janeiro, 21 de março de 2025.

Processo nº 0954021-53.2024.8.19.0001,  
ajuizado por

Trata-se de Autora, com diagnóstico de **hepatite autoimune, colangite esclerosante e cirrose hepática**, com recomendação de uso do **ácido ursodesoxicólico** para o tratamento de colangite esclerosante. Consta solicitação do medicamento **ácido ursodesoxicólico 300mg**, 02 comprimidos pela manhã e um à noite. Foi mencionado o código da seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **K83.0 – Colangite esclerosante** (Num. 156496494 – Pág. 1; Num. 156496495 – Pág. 1).

Cumpra esclarecer que o medicamento **ácido ursodesoxicólico** não apresenta indicação em bula<sup>1</sup> para o tratamento da **colangite esclerosante**, quadro clínico apresentado pela Autora. Seu uso, nesta situação, configura uso *off label*.

O uso *off label* de um medicamento significa que o mesmo ainda não foi autorizado por uma agência reguladora, para o tratamento de determinada patologia. Entretanto, isso não implica que seja incorreto. Pode ainda estar sendo estudado, ou em fase de aprovação pela agência reguladora. Em geral, esse tipo de prescrição é motivado por uma analogia da patologia do indivíduo com outra semelhante, ou por base fisiopatológica, que o médico acredite que possa vir a beneficiar o paciente. O uso *off label* é feito por conta e risco do médico que o prescreve<sup>2</sup>.

A Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022, que dispõe sobre os processos de incorporação de tecnologias ao SUS e sobre a utilização pelo SUS de medicamentos cuja indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro da ANVISA, desde que seu uso tenha sido recomendado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (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.

O estudo de Wunsch *et al.* avaliou a retirada de **ácido ursodesoxicólico** em pacientes com **colangite esclerosante** primária e observou uma deterioração significativa na bioquímica hepática após a interrupção do tratamento, embora não tenha havido impacto significativo na qualidade de vida a curto prazo<sup>3</sup>. Isso sugere que o **ácido ursodesoxicólico** pode ter um efeito benéfico na bioquímica hepática, mas não necessariamente melhora os desfechos clínicos.

Por outro lado, o estudo de Arizumi *et al.* indicou que o tratamento com **ácido ursodesoxicólico** está associado a uma melhora na sobrevivência livre de transplante hepático em uma coorte japonesa de pacientes com colangite esclerosante primária<sup>4</sup>. Este estudo utilizou

<sup>1</sup>Bula do Medicamento Ácido Ursodesoxicólico por EMS S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/2476766?numeroProcesso=25351143014202109>>. Acesso em: 21 mar. 2025.

<sup>2</sup> PAULA, C.S. e al. Centro de informações sobre medicamentos e o uso *off label*. Rev. Bras. Farm., vol. 91, nº 1, p.3-8, 2010. Disponível em: <[https://crf-pr.org.br/uploads/noticia/14133/CIM\\_e\\_uso\\_off\\_label.pdf](https://crf-pr.org.br/uploads/noticia/14133/CIM_e_uso_off_label.pdf)>. Acesso em: 21 mar. 2025.

<sup>3</sup> Wunsch E, Trotter J, Milkiewicz M, Raszeja-Wyszomirska J, Hirschfield GM, Barbier O, Milkiewicz P. Prospective evaluation of ursodeoxycholic acid withdrawal in patients with primary sclerosing cholangitis. Hepatology. 2014 Sep;60(3):931-40. doi: 10.1002/hep.27074. Epub 2014 Jul 30. PMID: 24519384.

<sup>4</sup> Arizumi T, Tazuma S, Isayama H, Nakazawa T, Tsuyuguchi T, Takikawa H, Tanaka A; Japan PSC Study Group (JPSCSG). Ursodeoxycholic acid is associated with improved long-term outcome in patients with primary sclerosing cholangitis. J Gastroenterol. 2022 Nov;57(11):902-912. doi: 10.1007/s00535-022-01914-3. Epub 2022 Sep 6. PMID: 36068441.

modelos de regressão de Cox ajustados por covariáveis, sugerindo um benefício potencial do **ácido ursodesoxicólico** em termos de sobrevivência.

A revisão sistemática da Cochrane por Saffioti *et al.* não encontrou evidências suficientes para demonstrar diferenças significativas em benefícios clínicos importantes, como redução na mortalidade ou melhora na qualidade de vida, entre o **ácido ursodesoxicólico** e outras intervenções farmacológicas<sup>5</sup>. Isso destaca a necessidade de mais ensaios clínicos bem desenhados para determinar a eficácia do **ácido ursodesoxicólico** na **colangite esclerosante primária**.

O **ácido ursodesoxicólico 300mg** pertence ao **grupo 1B** de financiamento do **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica**<sup>6</sup> (CEAF), sendo disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), no âmbito do CEAF, aos pacientes que perfazem os critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da colangite biliar primária – CBP, conforme Portaria Conjunta nº 11, de 09 de setembro de 2019<sup>7</sup>, somente para a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10) – K74.3 Cirrose biliar primária.

Cabe ressaltar que o quadro clínico apresentado pela Autora corresponde à **colangite esclerosante (CID-10: K83.0)**. Dessa forma, considerando as informações descritas nos documentos médicos, verifica-se que a CID-10 informada não está contemplada nos critérios de elegibilidade para o recebimento do medicamento pela via administrativa.

Acrescenta-se que o medicamento **ácido ursodesoxicólico** não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC<sup>8</sup> para tratamento de **colangite esclerosante**, bem como, não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)<sup>9</sup> publicado para o manejo da referida doença, e, portanto, não há lista oficial de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

O medicamento pleiteado apresenta registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

**É o parecer.**

**Ao 2º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**ALINE PEREIRA DA SILVA**  
Farmacêutica  
CRF- RJ 13065  
ID. 4.391.364-4

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**  
Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

**JULIANA DE ASEVEDO BRÜTT**  
Farmacêutica  
CRF- RJ 8296  
ID. 5074441-0

<sup>5</sup> Saffioti F, Gurusamy KS, Hawkins N, Toon CD, Tsochatzis E, Davidson BR, Thorburn D. Pharmacological interventions for primary sclerosing cholangitis: an attempted network meta-analysis. *Cochrane Database Syst Rev.* 2017 Mar 28;3(3):CD011343. doi: 10.1002/14651858.CD011343.pub2. PMID: 28417463; PMCID: PMC6464655.

<sup>6</sup> **Grupo 1B:** medicamentos financiados pelo Ministério da Saúde mediante transferência de recursos financeiros para aquisição pelas Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal, sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica.

<sup>7</sup> Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Colangite Biliar Primária. Portaria conjunta nº 11, de 09 de setembro de 2019. Disponível em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/portaria-conjunta-pcdt-colangite-biliar-saes.pdf> >. Acesso em: 21 mar. 2025.

<sup>8</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em:

<<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 21 mar. 2025.

<sup>9</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 21 mar. 2025.