

## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 1340/2025

Rio de Janeiro, 03 de abril de 2025.

Processo nº 0832804-09.2025.8.19.0001  
ajuizado por

Trata-se de Autora, 65 anos (DN: 16/01/1960), com **esclerose sistêmica** e **fibrose pulmonar**. A doença teve início em 2023. No final de 2023 já apresentava comprometimento pulmonar extenso. Foi realizado tratamento com Ciclofosfamida intravenosa por 1 ano, com estabilização parcial do quadro. Permanece com dispnéia aos moderados esforços e fadiga. O tratamento com Ciclofosfamida já não é mais possível, pois foi administrada a dose cumulativa máxima possível. Assim foi prescrito, em uso contínuo, o medicamento **Micofenolato de Mofetila 500mg** – tomar 03 comprimidos de 12/12 horas. Mencionado o código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **M34.0 – Esclerose sistêmica progressiva** (Num. 179394365 – Págs. 1 a 7).

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado **Micofenolato de Mofetila** possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), contudo não apresenta indicação descrita em bula<sup>1</sup> para o tratamento de **esclerose sistêmica**, quadro clínico apresentado pela Autora, conforme documentos médicos. Assim, **sua indicação, nesse caso, configura uso off label**.

Ainda sem tradução oficial para o português, usa-se o termo *off label* para se referir ao uso diferente do aprovado em bula ou ao uso de produto não registrado no órgão regulatório de vigilância sanitária no País, que, no Brasil, é a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Engloba variadas situações em que o medicamento é usado em não conformidade com as orientações da bula, incluindo a administração de formulações extemporâneas ou de doses elaboradas a partir de especialidades farmacêuticas registradas; indicações e posologias não usuais; administração do medicamento por via diferente da preconizada; administração em faixas etárias para as quais o medicamento não foi testado; e indicação terapêutica diferente da aprovada para o medicamento<sup>2</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>3</sup>. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso *off label* do medicamento **Micofenolato de Mofetila** no tratamento da **esclerose sistêmica**.

<sup>1</sup>Bula do medicamento Micofenolato de Mofetila (CellCept®) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=CELLCEPT>>. Acesso em: 03 abr. 2025.

<sup>2</sup>Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, Ministério da Saúde. *Uso off label: erro ou necessidade?* Informes Técnicos Institucionais. Rev. Saúde Pública 46 (2). Abr. 2012. Disponível em: <

<sup>3</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: 03 abr. 2025.

Informa-se que, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022<sup>4</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, 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>5</sup>.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que atualmente 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<sup>6</sup>)**, aos pacientes que se enquadrem nos critérios de inclusão dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) 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.

- **Micofenolato de Mofetila 500mg** é disponibilizado pelo **CEAF** perfazendo o grupo de financiamento 1A do referido componente: *medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estado e Distrito Federal<sup>7,8</sup>*.

Os medicamentos do CEAF **somente serão autorizados e disponibilizados para as doenças** descritas na Classificação Internacional de Doenças (CID-10) **contempladas**. Assim, a doença do Demandante, a saber: **M34.0 – Esclerose sistêmica progressiva não está dentre as contempladas para a retirada do medicamento através do CEAF, impossibilitando a obtenção do Micofenolato de Mofetila 500mg por via administrativa.**

O medicamento **Micofenolato de Mofetila** até o momento **não foi analisado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)<sup>9</sup> para o tratamento da **esclerose sistêmica**.

Para o tratamento da **Esclerose Sistêmica**, o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)<sup>10</sup>, através da Portaria Conjunta Nº 16, de 10 de

<sup>4</sup>DIÁRIO 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: 03 abr. 2025.

<sup>5</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.fm.usp.br/bitstream/OPI/4420/2/art\\_SAMPAIO-BARROS\\_Recommendations\\_for\\_the\\_management\\_and\\_treatment\\_of\\_systemic\\_2013\\_por.PDF](https://observatorio.fm.usp.br/bitstream/OPI/4420/2/art_SAMPAIO-BARROS_Recommendations_for_the_management_and_treatment_of_systemic_2013_por.PDF)>. Acesso em: 03 abr. 2025.

<sup>6</sup>GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO. Relação de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF disponibilizados pela SES/RJ. Disponível em: <<https://www.saude.rj.gov.br/comum/code/MostrarArquivo.php?C=Njc5NzU%2C>>. Acesso em: 03 abr. 2025.

<sup>7</sup>Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. Portaria nº 1554, de 30 de julho de 2013. Disponível em: <[https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554\\_30\\_07\\_2013.html](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html)>. Acesso em: 03 abr. 2025.

Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME 2024). Disponível em: <[https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao\\_nacional\\_medicamentos\\_2024.pdf](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf)>. Acesso em: 03 abr. 2025.

<sup>9</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: 03 abr. 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/midias/protocolos/20220926\\_pcdt\\_esclerose\\_sistematica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220926_pcdt_esclerose_sistematica.pdf)>. Acesso em: 03 abr. 2025.

agosto de 2022. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde fornece por meio do **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)** os seguintes medicamentos: Metotrexato 2,5mg (comprimido) e 2,5mg/mL (solução injetável), Azatioprina 50mg (comprimido), Hidroxicloroquina 400mg (comprimido) e Sildenafil 25mg e 50mg (comprimido).

De acordo com o PCDT<sup>10</sup> supracitado, para o tratamento medicamentoso das **manifestações pulmonares, a Ciclofosfamida** é considerada a primeira linha terapêutica nas manifestações pulmonares da ES, **a Azatioprina pode ser uma opção de tratamento para pacientes que apresentam hipersensibilidade à Ciclofosfamida.**

Cabe ressaltar que o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Esclerose Sistêmica faz referência ao **Micofenolato de Mofetila**, justificando a **não recomendação** uma vez que o uso de **Micofenolato** (de sódio ou mofetila) no tratamento das manifestações pulmonares da ES não consta nas indicações aprovadas em bula pela Anvisa no Brasil e, assim, este medicamento **não é preconizado neste PCDT**. Consta ainda que em relação aos derivados do ácido micofenólico, dois estudos avaliaram sua eficácia e segurança no tratamento de manifestações pulmonares em indivíduos com ES. **Os resultados destes estudos indicam que não há diferença significativa entre Micofenolato e placebo na mudança da função pulmonar avaliada pela porcentagem do valor previsto da CVF.** Para este mesmo desfecho, o **Micofenolato** apresentou resultado semelhante à Ciclofosfamida. Nestes estudos, não houve diferença entre os grupos com relação aos eventos adversos<sup>10</sup>.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que a Autora **não está cadastrada** no **CEAF** para recebimento de medicamentos.

Segundo relato médico (Evento 1\_ANEXO2, págs. 15), “.... Foi realizado tratamento com Ciclofosfamida intravenosa por 1 ano, com estabilização parcial do quadro. Permanece com dispneia aos moderados esforços e fadiga. O tratamento com Ciclofosfamida já não é mais possível, pois foi administrada a dose cumulativa máxima possível, sendo prescrito **Micofenolato de Mofetila 500mg**”. Contudo **não houve menção se o medicamento Azatioprina padronizado já foi empregado no plano terapêutico da Autora.**

Deste modo, recomenda-se ao médico assistente que avalie o uso do medicamento **Azatioprina disponibilizado** em alternativa ao **Micofenolato de Mofetila**, **não padronizado para a doença em questão.**

Caso o médico assistente considere **indicado e viável** o uso do medicamento **Azatioprina** disponibilizado no CEAF para o tratamento da **Esclerose Sistêmica**, estando a Autora dentro dos **critérios para dispensação**, e ainda cumprindo **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, a mesma deverá **efetuar cadastro** junto ao CEAF, comparecendo à Rio Farmes – Farmácia Estadual de Medicamentos Especiais Rua Júlio do Carmo, 585 – Cidade Nova (ao lado do metrô da Praça Onze), de 2ª à 6ª das 08:00 às 15:30 horas. Tel.: (21) 98596-6591/ 96943-0302/ 98596-6605/ 99338-6529/ 97983-3535, munida da seguinte documentação: **Documentos pessoais** – Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do CPF, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/SUS e Cópia do comprovante de residência. **Documentos médicos** – Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido há menos de 90 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida há menos de 90 dias. Nesse caso, o **médico assistente deve observar que o laudo médico será substituído pelo Laudo de Solicitação, avaliação e autorização de medicamentos (LME)**, o qual deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os

critérios de inclusão previstos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde, bem como os exames exigidos no PCDT, quando for o caso.

Acrescenta-se ainda que a **esclerose sistêmica** é uma doença rara. A incidência global da ES é de 1,4 novos casos por 100.000/ano enquanto a prevalência estimada é 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>. Assim, 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>. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

Por fim, quanto ao pedido da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Num. 179394363 – Págs. 14 e 15, 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 da Autora ...*”, vale ressaltar que não é recomendado o fornecimento de novos itens sem emissão de laudo que justifique a necessidade dos mesmos, uma vez que o uso irracional e indiscriminado de medicamentos e tecnologias pode implicar em risco à saúde.

**É o parecer.**

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

**CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS**

Farmacêutica  
CRF-RJ 14680  
ID. 4459192-6

**JULIANA DE ASEVEDO BRÜTT**

Farmacêutica  
CRF-RJ 8296  
ID. 5074441-0

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

<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: 03 abr. 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: 03 abr. 2025