



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 1974/2025.

Rio de Janeiro, 21 de maio de 2025.

Processo nº **0857600-64.2025.8.19.0001**,
ajuizado por

Trata-se de Autor, 39 anos, com **esclerose sistêmica e fibrose pulmonar, com acometimento cutâneo, em progressão**. Os medicamentos dos SUS não podem ser usados, pois não estão recomendados por consensos e por especialidades. Fez uso de ciclofosfamida, contudo sem melhora. Assim foi prescrito, em uso contínuo, o medicamento **Micofenolato de Mofetila 500mg** – tomar 03 comprimidos manhã e noite. Mencionado o código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **M34.0 – Esclerose sistêmica progressiva** (Num. 192358570 - Pág. 1 e 6).

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**¹ 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 medicamento².

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 2013³. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso *off label* do medicamento **Micofenolato de Mofetila** no tratamento da **esclerose sistêmica**.

¹Bula 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: 21 mai. 2025.

²Comissão 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: <[https://www.scielo.br/j/rsp/a/zLdN6Dfg5B6wQvR9XNmnGR/?lang=pt#~:text=Ainda%20sem%20tradu%C3%A7%C3%A3o%20ofi cial%20para,de%20Vigil%C3%A2ncia%20Sanit%C3%A1ria%20\(Anvisa\)>](https://www.scielo.br/j/rsp/a/zLdN6Dfg5B6wQvR9XNmnGR/?lang=pt#~:text=Ainda%20sem%20tradu%C3%A7%C3%A3o%20ofi cial%20para,de%20Vigil%C3%A2ncia%20Sanit%C3%A1ria%20(Anvisa)>). Acesso em: 21 mai. 2025.

³BRASIL. 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>. Acesso em: 21 mai. 2025.

Informa-se que, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022⁴, 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 Metotrexato⁵.

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)**⁶, 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*^{7,8}.

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 entre 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)⁹ para o tratamento da **esclerose sistêmica**.

Para o tratamento da **Esclerose Sistêmica**, o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**¹⁰, através da Portaria Conjunta N° 16, de 10 de

⁴DIÁRIO 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: 21 mai. 2025.

⁵SAMPAIO-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>, Acesso em: 21 mai. 2025.

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.ri.gov.br/comum/code/MostrarArquivo.php?C=Nic5NzU%2C>. Acesso em: 21 mai. 2025.

<https://www.saude.rj.gov.br/comunica/code/MostrarArquivo.php?C=NjC5NZU%2C>. Acesso em: 21 mai. 2025.

7Ministério 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. Acesso em: 21 mai. 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. Acesso em: 21 mai. 2025.

⁹BRASIL. 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: 21 mai. 2025.

¹⁰BRASIL. 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>. Acesso em: 21 mai. 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 PCDT¹⁰ 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 adversos¹⁰.

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

Segundo relato médico (Num. 192358570 - Pág. 1 e 6), “.... *Os medicamentos dos SUS não podem ser usados, pois não estão recomendados por consensos e por especialidades. Fez uso de ciclofosfamida, contudo sem melhora.*”.

Diante disso, não houve menção se dos demais medicamentos padronizados no plano terapêutico da Autora. No entanto, foi informado pelo médico assistente que os medicamentos disponibilizados pelo SUS não deverão ser utilizados para o tratamento da Requerente.

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/ano¹⁰. 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 Raras¹¹ 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,

¹⁰BRASIL. 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>. Acesso em: 21 mai. 2025.



levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras¹². Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)¹³.

Considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)¹⁴, o medicamento mencionado apresenta o seguinte Preço de Venda ao Governo, com alíquota ICMS 0%¹⁵:

- **Micofenolato de mofetila 500mg 30 comprimidos - R\$ 299,91.**

É o parecer.

Ao 1º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

¹²CONITEC. 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_pc当地_2015.pdf>. Acesso em: 03 abr. 2025

¹³BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em 05 mai. 2025.

¹⁴BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 20 mai. 2025.

¹⁵BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em: <<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEylwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVIZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 20 mai. 2025.