

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2521/2025.

Rio de Janeiro, 30 de janeiro de 2025.

Processo nº **0876403-95.2025.8.19.0001**,
ajuizado por

Trata-se de Autora, 40 anos de idade, com diagnóstico de **neuromielite óptica** (CID-10: G36.0). Fez pulsoterapia e plasmeférese, com recuperação total dos surtos com mielite, em especial hemiplegia. Iniciou tratamento com azatioprina e posteriormente com micofenolato, até 2023. Em 2025, após um parto de natimorto por pré-eclâmpsia grave, apresentando perda visual do olho direito, tetraplegia com parestesia difusa e sem possibilidade de deambulação. Foi realizado novamente pulsoterapia sem melhora e resposta parcial a plasmáfereze. Neste momento, apresenta falha terapêutica e pouca resposta a pulsoterapia e micofenolato. Solicitado **rituximabe 500mg/mL**, 1g em bomba infusora, 1 g após 15 dias e 1 g a cada 6 meses. (Num. 200354826 - Pág. 1 a 7).

Deste modo, informa-se que o medicamento pleiteado **rituximabe possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), contudo **não apresenta indicação descrita em bula**¹ para o tratamento de **neuromielite óptica**, quadro clínico apresentado pela Autora, conforme documento médico. 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 **rituximabe** no tratamento do **neuromielite óptica**.

¹Bula do medicamento rituximabe por Fundação Oswaldo Cruz - Fiocruz Instituto de Tecnologia em Imunobiológicos – Bio-Manguinhos. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=BIO-MANGUINHOS%20RITUXIMABE>>. Acesso em: 30 jun. 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/rsp/a/zLdN6Dfgf5B6wQvR9XNmnGR/?lang=pt#:~:text=Ainda%20sem%20tradu%C3%A7%C3%A3o%20oficial%20para,de%20Vigil%C3%A2ncia%20Sanit%C3%A1ria%20\(Anvisa\)](https://www.scielo.br/rsp/a/zLdN6Dfgf5B6wQvR9XNmnGR/?lang=pt#:~:text=Ainda%20sem%20tradu%C3%A7%C3%A3o%20oficial%20para,de%20Vigil%C3%A2ncia%20Sanit%C3%A1ria%20(Anvisa)>)>. Acesso em: 30 jun. 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: 30 jun. 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, em relação ao tratamento do distúrbio do espectro da **neuromielite óptica (NMOSD)**, divide-se em fase aguda e fase crônica, sendo em fase aguda recomendado tratamento mais precoce possível a fim de possibilitar maior redução de déficits permanentes. Como tratamento de fase aguda, recomenda-se o uso de pulsoterapia com altas doses de corticoterapia endovenosa (Metilprednisolona) realizando desmame progressivo após, e por via oral com corticóides durante cerca de 6 (seis) meses. Em caso de pacientes refratários a corticoterapia endovenosa, é recomendada segunda linha de tratamento pelo uso de Plasmaferese (PLEX). Em pacientes ainda refratários ao uso de PLEX, sugere-se, então, a possibilidade de uso de Imunoglobulina Humana endovenosa. Para o tratamento de fase crônica, mais uma vez se faz necessário diferenciar de quadro de esclerose múltipla. Recomenda-se, o uso de medicações imunossupressoras como, em administração por via oral, Micofenolato de metila ou Azatioprina e, caso em administração endovenosa, sugere-se o uso de Rituximabe (Anti-CD20), sendo tais medicações modificadoras de doença e eficazes em prevenção de novos surtos de crises, seja em pacientes adultos ou mesmo em faixa pediátrica⁵.

No que tange à disponibilização pelo SUS, insta informar que o medicamento **rituximabe 500mg**, embora listado no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)⁶, não é fornecido para o tratamento da condição clínica em tela, inviabilizando seu acesso por via administrativa.

Tal medicamento, até o momento, não foi analisado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)⁷ para o tratamento da **neuromielite óptica**.

Ademais, informa-se que este Núcleo não identificou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT⁸) publicado⁹ para **neuromielite óptica**, portanto não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias

Acrescenta-se ainda que a **neuromielite óptica (NMO)** é considerada uma doença rara. Epidemiologicamente, a NMOSD é mais prevalente no sexo feminino, com proporção de 3:1 aproximadamente, e possui maior incidência em etnias de asiáticos e negros quando comparada aos caucasianos. Possui distribuição em todo o território mundial, porém, com prevalência rara de 0,3 a 4,4 a cada 1.000 indivíduos e incidência de 0,053 a 0,4 a cada 1.000¹⁰.

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: 30 jun. 2025..

⁵MENEZES, R. C.; OLIVEIRA, J. de P.; CHAVES NETO, E. B.; DO CARMO, R. A.; MENEZES, M. H.; DE SANTANA, A. P.; DE PONTES, M. E. Distúrbio do espectro de Neuromielite óptica, uma patologia rara e de difícil diagnóstico: um relato de caso. Brazilian Journal of Health Review, [S. l.], v. 7, n. 1, p. 819–832, 2024. Disponível em: <<https://ojs.brazilianjournals.com.br/ojs/index.php/BJHR/article/view/66265/47275>>. Acesso em: 30 jun. 2025..

⁶BRASIL. Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). 2022. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/20220128_rename_2022.pdf>. Acesso em: 21 jan. 2025.

⁷BRASIL. 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: 30 jun. 2025..

⁸Comissão 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: 30 jun. 2025..

⁹BRASIL. 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: 30 jun. 2025..

¹⁰MENEZES, R. C.; OLIVEIRA, J. de P.; CHAVES NETO, E. B.; DO CARMO, R. A.; MENEZES, M. H.; DE SANTANA, A. P.; DE PONTES, M. E. Distúrbio do espectro de Neuromielite óptica, uma patologia rara e de difícil diagnóstico: um relato de caso. Brazilian



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, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras¹². Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)¹⁰ publicado para o manejo da **neuromielite óptica**.

Por fim, quanto à solicitação advocatícia (Num. 164956869 - Pág. 14, item “VIP”, subitens “b” e “e”) referente ao provimento de “...medicamentos, 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 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.

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

Journal of Health Review, [S. l.], v. 7, n. 1, p. 819–832, 2024. Disponível em:

<<https://ojs.brazilianjournals.com.br/ojs/index.php/BJHR/article/view/66265/47275>>. Acesso em: 30 jun. 2025..

¹¹BRASIL. 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: 30 jun. 2025..

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_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 30 jun. 2025.