



Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJC/NAT Nº 2612/2025.

Rio de Janeiro, 01 de Julho de 2025.

Processo nº 0831385-51.2025.8.19.0001
ajuizado por **F. G. D. S.**

Trata-se de Autora, 47 anos (DN 02/02/1978), em acompanhamento ambulatorial de reumatologia no Hospital Gaffrée e Guinle desde 2011, com diagnóstico de **esclerose sistêmica (CID10: M34)**, apresentando doença pulmonar intersticial (DPI) e ainda manifestações cutâneas. Conforme relato médico, a Autora fez pulsoterapia com Ciclofosfamida e Rituximabe, porém, não obteve mais resposta clínica satisfatória devido ao agravamento do quadro pulmonar (Num. 178707680 - Pág. 1 e 5). Foi prescrito à Autora, **Micofenolato de mofetila 500mg**, em uso contínuo, na posologia de 03 comprimidos, por via oral, de 12/12 horas (Num. 178707680 - Pág. 2).

A **esclerose sistêmica (ES)** é uma doença sistêmica, de natureza auto-imune e crônica que compromete principalmente a pele, os pulmões, os rins e o coração¹. A etiologia da ES é desconhecida e sua patogênese é dominada por alterações vasculares, evidências de autoimunidade com autoanticorpos distintos e fibrose da pele e órgãos viscerais, que resulta em cicatrizes irreversíveis e falência de órgãos. Atualmente, a doença pulmonar intersticial (DPI) é a causa mais comum de morte entre pacientes com ES e comumente se apresenta com dispneia, tosse e um padrão de pneumonia intersticial inespecífica na tomografia computadorizada, com uma minoria de casos preenchendo os critérios para pneumonia intersticial usual². O tratamento da DPI em pacientes com ES inclui agentes imunossupressores e antifibróticos.

Cabe informar que, o medicamento pleiteado **Micofenolato de mofetila possui registro na ANVISA**, entretanto, não apresenta indicação em bula³ para o tratamento da **esclerose sistêmica**, o que caracteriza seu uso como *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 motivada 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. Entretanto, em grande parte das vezes, trata-se de uso essencialmente correto, apenas ainda não aprovado⁴.

¹ 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> Acesso em: 02 jul 25.

² Perelas, A; Silver R.; Arrossi A.; et al. Doença pulmonar intersticial associada à esclerose sistêmica; The Lancet Respiratory Medicine, Volume 8, Edição 3, 304 – 320; Disponível em:<[https://www.thelancet.com/journals/lanres/article/PIIS22132600\(19\)30480-1/abstract](https://www.thelancet.com/journals/lanres/article/PIIS22132600(19)30480-1/abstract)> Acesso em: 02 jul 25.

³Bula 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: 02 jul 25.

⁴ ANVISA. Medicamentos. Registro de medicamentos. Como a Anvisa vê o uso *off label* de medicamentos. Disponível em: <<https://br.vertismed.com/farmacovigilancia-pt/como-a-anvisa-ve-o-uso-off-label-de-medicamentos/#:~:text=0%20uso%20off%20label%20de%20um%20medicamento%20%C3%A9%20feito%20por,correto%2C%20apesar%20ainda%20n%C3%A3o%20aprovado>> Acesso em: 02 jul 25.



Acrescenta-se que o medicamento pleiteado **Micofenolato de mofetila** não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC para o tratamento da **esclerose sistêmica**⁵.

De acordo com literatura consultada, o **Micofenolato de mofetila** tem sido utilizado na **esclerose sistêmica** em pacientes com acometimento cutâneo quanto pulmonar. O Metotrexato é a primeira opção terapêutica para o espessamento cutâneo progressivo nos pacientes com **ES**. A Ciclofosfamida, o Micofenolato de Mofetila e o Rituximabe podem representar opções terapêuticas nos casos não responsivos ao tratamento com Metotrexato⁶.

Cabe mencionar ainda que existem estudos recentes que recomendam o uso de **Micofenolato de Mofetila** como tratamento de primeira linha para terapia da doença pulmonar intersticial na **ES** como alternativa à Ciclofosfamida devido menor toxicidade observada. Entretanto, Estudos randomizados controlados maiores são extremamente necessários para sustentar essa premissa¹⁰.

No que se refere à disponibilização através do SUS, cumpre esclarecer que o imunossupressor **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), conforme Portaria GM/MS nº 1554 de 30 de julho de 2013 e integra o **grupo de financiamento 1A**⁷. Contudo, a patologia que acomete a Autora, **esclerose sistêmica**, não está no rol de patologias autorizadas para o recebimento deste medicamento, inviabilizando que a Autora o receba por via administrativa.

Para o tratamento da **esclerose sistêmica**, o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**, através da Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 16 de 10/08/2022 (Publicada em 26/09/2022)⁸.

Convém mencionar que, o PCDT da **esclerose sistêmica** faz referência ao **Micofenolato de mofetila** no tratamento da **ES**. Estudos avaliaram sua eficácia e segurança no tratamento de manifestações pulmonares em indivíduos com ES. Os resultados dos estudos indicaram que não há diferença significativa entre o Micofenolato e o placebo na mudança da função pulmonar avaliada pela capacidade total forçada. Para este mesmo desfecho, o **Micofenolato** apresentou resultado semelhante à Ciclofosfamida e não foi observada diferença entre os grupos com relação aos eventos adversos. Por esta razão, o uso de **Micofenolato de mofetila** não é preconizado neste PCDT⁷. Embora o **Micofenolato de mofetila** e a Ciclofosfamida possam ser igualmente eficazes, no tratamento da DPI da **ES**, o **Micofenolato de Mofetila** pode ser preferível devido à toxicidade a longo prazo, porém estudos randomizados controlados maiores são extremamente necessários para sustentar essa premissa⁹.

⁵ 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: 02 jul 2025.

⁶ 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>. Acesso em: 02 jul 2025.

⁷ BRASIL. Ministério da Saúde. Horus - Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica <<https://horus.saude.gov.br/horus/paginas/relatorios/relatorioPcdt.jsf>>. Acesso em: 02 jul 2025.

⁸ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 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>. Acesso em: 02 jul 2025.

⁹ Shenoy, P. D.; Bivaliya, M.; Sashidharan, S., et al (2016). Cyclophosphamide versus mycophenolate mofetil in scleroderma interstitial lung disease (SSc-ILD) as induction therapy: a single-centre, retrospective analysis. *Arthritis research & therapy*, 18(1), 123. Disponível em: <<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC4890256/>> Acesso em: 02 jul 2025.



Desse modo, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES-RJ) disponibiliza, através do **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)**, aos portadores de **esclerose sistêmica**, os medicamentos: Azatioprina 50mg, Metotrexato 2,5mg comprimido e 25mg/mL ampola e Sildenafil 25mg e 50mg comprimidos. No **Âmbito da Atenção Básica**, a Secretaria Municipal do Rio de Janeiro disponibiliza o medicamento Prednisona 5mg e 20 mg comprimidos.

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.

Todavia, de acordo com relato médico, a Autora já utilizou os medicamentos “Ciclofosfamida e Rituximabe, porém, não obteve mais resposta clínica satisfatória devido ao agravamento do quadro pulmonar”. Desta maneira, este Núcleo entende que os medicamentos padronizados no SUS não configuram alternativas terapêuticas adequadas para o caso em tela (Num. 178707680 - Pág. 1 e 5).

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 Raras¹⁰ 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 raras¹¹. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

No que concerne ao valor, no Brasil, para um medicamento ser comercializado 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)¹².

De acordo com publicação da CMED, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre

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: 02 jul 2025.

¹¹CONITEC. 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: 02 jul 2025.

¹² BRASIL 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: 02 jul 2025.

que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED¹³, para o ICMS 0%, o preço máximo de venda ao governo do medicamento pleiteado **Micofenolato de Mofetila 500mg** corresponde à R\$ 8,19 – 60 comprimidos revestidos.

Por último, quanto ao pedido da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Num. 178707678 – Pág. 15, item VII, subitem “b” e “e”), referente ao provimento de “... outros medicamentos, produtos complementares e acessórios que se façam necessários ao tratamento da moléstia da Autora...”, cumpre esclarecer que não é recomendado o fornecimento de novos itens sem laudo que justifique a necessidade dos mesmos, tendo em vista que o uso irracional e indiscriminado de tecnologias pode implicar em risco à saúde.

É o parecer.

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

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

¹³ Painel de consulta de preços de medicamentos. Disponível em:
<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrljoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjViZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 02 jul 2025.