



PARECER TÉCNICO/SES/SJC/NAT Nº 3441/2025.

Rio de Janeiro, 28 de agosto de 2025.

Processo nº 0919220-77.2025.8.19.0001,
ajuizado por **D. M. D. J.**

Trata-se de Autora, 51 anos (DN 03/01/1974), com diagnóstico de **esclerose sistêmica (CID10: M34)**, apresentando doença pulmonar intersticial (DPI) apresentando quadro cutâneo grave. De acordo com documento médico acostado aos autos (Num. 215024438 - Pág. 1), considerando o quadro cutâneo grave e progressivo e acometimento pulmonar, a Autora fez uso de terapia de imunossupressão com Ciclofosfamida, com boa resposta ao esquema e perspectiva de troca para **Micofenolato de mofetila 500mg** como esquema de manutenção. Foi prescrito à Autora, **Micofenolato de mofetila 500mg**, em uso contínuo, na posologia de 03 comprimidos, por via oral, de 12/12 horas (Num. 215024438 - 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.

O **Micofenolato de mofetila** é fortemente recomendado como um agente imunossupressor por suprimir o crescimento de linfócitos T e B através da inibição da inosina monofosfato desidrogenase, crucial para a produção de DNA, estando indicado para o tratamento da doença pulmonar intersticial na ES, de acordo com as diretrizes de prática clínica mais recentes da Sociedade Torácica Americana³.

Cabe informar que, o medicamento pleiteado **Micofenolato de mofetila possui registro na ANVISA**, entretanto, não apresenta indicação em bula⁴ 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

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/mídias/protocolos/20220926_pcct_esclerose_sistêmica.pdf> Acesso em: 28 ago. 2025.

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: 28 ago. 2025.

³ Takada T.; Aoki A.; Shima K.; et al. Advancements in the treatment of interstitial lung disease in systemic sclerosis with the approval of mycophenolate mofetil. Respir Investig. 2024 Nov;62(6):1242-1246. Disponível em:<<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39546910/>> Acesso em 28 ago. 2025.

⁴Bula 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: 28 ago. 2025.



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 aprovado⁵.

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**⁶.

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 Metotrexato⁷.

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**⁸. 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)⁹.

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

⁵ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Uso off label: erro ou necessidade? *Rev. Saúde Pública* [online]. 2012, vol.46, n.2, pp.395-397. Disponível em: <<https://www.scielo.br/j/rsp/a/zLdN6Dfgf5B6wQvR9XNmGR/?format=pdf&lang=pt>>. Acesso em: 28 ago. 2025.

⁶ 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: 28 ago. 2025.

⁷ 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: 28 ago. 2025.

⁸ 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>. Acesso em: 28 ago. 2025.

⁹ 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: 28 ago. 2025.



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 premissa¹⁰.

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.

Conforme relato médico, “*foi optado por indução por imunossupressão com ciclofosfamida. Apresentando boa resposta e tolerância ao esquema...*”. Contudo, não houve relato sobre o uso de outros medicamentos preconizados no referido PCDT. Nessa linha, não é possível afirmar que as opções terapêuticas padronizadas no SUS foram esgotadas.

Nesse sentido, sugere-se ao médico assistente que avalie o uso dos medicamentos indicados como opções terapêuticas existentes no SUS no plano terapêutico da Autora.

Caso seja autorizada a substituição, para acesso aos medicamentos, estando a Demandante enquadrado nos critérios de inclusão do PCDT¹ da esclerose sistêmica, deverá realizar o cadastro comparecendo ao **Riofarmes Praça XI – Farmácia Estadual de Medicamentos Especiais**, Rua Júlio do Carmo, 585 – Cidade Nova (ao lado do metrô da Praça Onze), portando as seguintes documentações: 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/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,

¹⁰ Shenoy, P. D.; Bavaliya, 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: 28 ago. 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: 28 ago. 2025.

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. 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)¹³.

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 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 CMED¹⁴, 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.

É o parecer.

Ao 2º 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

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: 28 ago. 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: 28 ago. 2025.

¹⁴ Painel de consulta de preços de medicamentos. Disponível em:

<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrJljoIYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTlIYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjViZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 28 ago. 2025.