



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 4051/2024.

Rio de Janeiro, 07 de outubro de 2024.

Processo nº 0848097-73.2023.8.19.0038,
ajuizado por

, representada por

Trata-se de Autora, 15 anos, com quadro de **vasculite primária de pequenos vasos** com acometimento do **sistema nervoso central**. A requerente já ficou internada algumas vezes, com clínica de acidente vascular cerebral secundário à doença de base (vasculite). Hoje apresenta epilepsia sintomática e monoparesia de membro inferior direito. Tem síndrome metabólica e fácies cushingoide, uma vez que faz uso crônico de corticoide. Está em uso de micofenolato, prednisona, carbamazepina, omeprazol, carbonato de cálcio, vitamina D. Já fez ciclofosfamida, necessitando de manutenção de remissão de doença com **micofenolato de mofetila 500mg** – 2 comprimidos de manhã e 2 comprimidos a noite (Num. 91414148 - Pág. 2-3).

Informa-se que o medicamento **micofenolato de mofetila 500mg não apresenta indicação descrita em bula**¹ para o tratamento de **vasculite primária do sistema nervoso central**, quadro clínico apresentado pela Autora, conforme relatado em 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 **vasculite primária do sistema nervoso central**.

¹Bula do medicamento Micofenolato de Mofetila por Farma Vision Importação e Exportação de Medicamentos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=MICOFENOLATO%20DE%20MOFETILA>>. Acesso em: 07 out. 2024.

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/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/j/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: 07 out. 2024.

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: 07 out. 2024.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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, a **vasculite primária do sistema nervoso central (SNC)** é um distúrbio incomum de etiologia desconhecida que se restringe ao cérebro e à medula espinhal. Nenhum ensaio clínico randomizado descreveu um regime terapêutico eficaz para vasculite primária do SNC; portanto, o tratamento da vasculite primária do SNC é baseado em estratégias terapêuticas usadas para outros tipos de vasculite. O diagnóstico precoce é importante porque o tratamento baseado em corticosteroides com ou sem administração concomitante de ciclofosfamida pode frequentemente prevenir resultados sérios e pode ser seguido por uma resposta favorável. Vários imunossuppressores, como **micofenolato mofetila**, bloqueadores do fator de necrose tumoral- α e rituximabe, podem ser opções úteis para pacientes refratários ao regime acima mencionado⁵.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, elucida-se que **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), 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^{6,7}*.

Para o caso em tela (**vasculite primária do sistema nervoso central** - doença apresentada pela Autora), o **micofenolato de mofetila 500mg não é padronizado no SUS**.

O medicamento **micofenolato de mofetila** até o momento **não foi analisado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)⁸ para o tratamento da **vasculite primária do sistema nervoso central**.

Salienta-se que até o momento **não há** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) ou Diretrizes Diagnósticas e Terapêuticas (DDT) do Ministério da Saúde⁹ para tratamento do quadro clínico que acomete a Autora – **vasculite primária do**

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: 07 out. 2024.

⁵Takeshita Y. Vasculite primária do sistema nervoso central. Brain Nerve. 2021 May;73(5):511-515. Japanese. doi: 10.11477/mf.1416201793. PMID: 34006683. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34006683/>>. Acesso em: 07 out. 2024.

⁶Ministério 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: 07 out. 2024.

⁷Ministério 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: 07 out. 2024.

⁸BRASIL. 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: 07 out. 2024.

⁹BRASIL. Ministério da Saúde. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 30 set. 2024.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

sistema nervoso central, portanto ainda **não há lista** de medicamentos para serem utilizados para o manejo da aludida doença.

Acrescenta-se que a **vasculite primária do sistema nervoso central** é uma doença rara. 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. Contudo, reitera-se que **não há** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicado para o manejo da **vasculite primária do sistema nervoso central**.

O medicamento o **micofenolato de mofetila 500mg** **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

É o parecer.

À 2ª Vara Cível da Comarca de Nova Iguaçu do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

ALINE PEREIRA DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

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: 07 out. 2024.

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: 07 out. 2024.