



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 4158/2025.**

Rio de Janeiro, 14 de outubro de 2025.

Processo nº 0939871-33.2025.8.19.0001,  
ajuizado por **S. M. G. D. S.**

Trata-se de Autora, 49 anos de idade, com diagnóstico de **esclerose sistêmica** cutânea difusa acometimento cutâneo extenso, microstomia, fenômeno de Raynaud, acometimento pulmonar e poliartralgia. Já fez uso de metotrexato, hidroxicloroquina, sildenafila e ciclofosfamida, com pouco controle da doença. Está em tratamento para **síndrome de Sjögren**. Sem controle satisfatório do acometimento pulmonar, havendo perda da capacidade vital forçada em prova de função respiratória recente. Em virtude de hipertensão pulmonar, não poderá realizar tratamento com ciclofosfamida, sendo solicitado início de tratamento com **micofenolato de mofetila** (Num. 201229820 - Pág. 1 a 5).

A **esclerose sistêmica (ES)** é uma doença sistêmica, imunomediada e crônica que compromete principalmente a pele, os vasos sanguíneos, o trato gastrointestinal, o sistema musculoesquelético, os pulmões, os rins e o coração. A etiologia da **ES** é desconhecida e sua patogênese é complexa, desafiadora e envolve a tríade: disfunção imune, vasculopatia e fibrose. A **ES** inclui as seguintes manifestações clínicas: **cutâneas**: caracterizada por três fases – edematosas (*puffy fingers*), a fase indurativa e a atrófica, na qual a pele se torna seca, descamativa e aderida a planos profundos; leucomelanodermia e calcinoses também são frequentes; **vasculares**: o **fenômeno de Raynaud** geralmente é a primeira manifestação da doença; úlceras isquêmicas digitais; telangiectasias; **musculoesqueléticas**: artrite, tendinite, atrito de tendão e contraturas articulares; **gastrointestinais**: **dismotilidade esofágica** e intestinal, refluxo gastroesofágico, síndrome disabsortiva, supercrescimento bacteriano; **pulmonares**: pneumopatia intersticial, fibrose e hipertensão pulmonar; **cardíacas**: todos os domínios anatômicos do coração podem ser afetados, incluindo o miocárdio, pericárdio e sistema de condução; renais: crise renal esclerodérmica; **neuromuscular**: atrofia muscular (sarcopenia), **fraqueza muscular** e **miopatia**, estas últimas são cada vez mais reconhecidas como os principais contribuintes para a morbidade da **ES** e geniturnários.<sup>1</sup>

O **micofenolato de mofetila (MMF)** é um inibidor potente, seletivo, não-competitivo e reversível da enzima inosina monofosfato desidrogenase (IMPDH). Em associação com ciclosporina A e corticosteroide está indicado para: profilaxia da rejeição aguda de órgãos e para o tratamento da primeira rejeição ou da rejeição refratária de órgãos em pacientes adultos receptores de transplantes renais alógénicos; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante cardíaco alógénico; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante hepático alógénico. Está indicado para terapia de indução e manutenção de pacientes adultos com nefrite lúpica classe III à V, diagnosticados de acordo com a classificação da Sociedade Internacional de Nefrologia/Sociedade de Patologia Renal<sup>2</sup>.

Assim, cumpre informar que o medicamento **Micofenolato de mofetila não apresenta indicação descrita em bula**<sup>2</sup> para o tratamento do quadro clínico da Autora, conforme

<sup>1</sup> 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\\_pc当地点\\_esclerose\\_sistêmica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/protocolos/20220926_pc当地点_esclerose_sistêmica.pdf)>. Acesso em: 08 jul.2025.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Micofenolato de Mofetila por Farma Vision Importação e Exportação de Medicamentos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000539>>. Acesso em: Acesso em: 08 jul.2025.



relato médico (Num. 201229820 - Pág. 1 a 5). Assim, **sua indicação**, nesse caso, **configura uso off label**.

O uso *off label* do medicamento, ou seja, o uso não aprovado, que não consta da bula. Quando um medicamento é aprovado para uma determinada indicação isso não implica que esta seja a única possível, e que o medicamento só possa ser usado para ela. Outras indicações podem estar sendo, ou vir a ser estudadas, as quais, submetidas à Anvisa quando terminados os estudos, poderão vir ser aprovadas e passar a constar da bula. Estudos concluídos ou realizados após a aprovação inicial podem, por exemplo, ampliar o uso do medicamento para outra faixa etária, para uma fase diferente da mesma doença para a qual a indicação foi aprovada, ou para uma outra doença, assim como o uso pode se tornar mais restrito do que inicialmente se aprovou.<sup>3</sup>

Em estudo publicado pela comissão de Síndrome de Sjögren, da Sociedade Brasileira de Reumatologia, é recomendado para as vasculites na síndrome de Sjögren, independentemente do órgão comprometido, a imunossupressão com metilprednisolona em pulso de altas doses por três dias, **associado a imunossupressores** (azatioprina, **micofenolato de mofetila** ou ciclofosfamida)<sup>4</sup>.

Estudos realizados demonstraram que o **micofenolato de mofetila** associado a baixas doses de corticoide, mostrou-se efetivo, bem tolerado e seguro, podendo ser considerado uma alternativa no tratamento do envolvimento pulmonar da esclerose sistêmica<sup>5</sup>.

Segundo estudo, 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 Metotrexato<sup>6</sup>.

Insta informar 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 enquadram nos critérios de inclusão dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas 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*<sup>7,8</sup>.

<sup>3</sup>ANVISA. Agência Nacional de vigilância Sanitária. Como a Anvisa vê o uso off label de medicamentos. Disponível em: <[http://antigo.anvisa.gov.br/en\\_US/resultado-de-busca?p\\_p\\_id=101&p\\_p\\_lifecycle=0&p\\_p\\_state=maximized&p\\_p\\_mode=view&p\\_p\\_col\\_id=column-1&p\\_p\\_col\\_count=1&\\_101\\_struts\\_action=%2Fasset\\_publisher%2Fview\\_content&\\_101\\_assetEntryId=352702&\\_101\\_type=content&\\_101\\_group#~:text=Quando%20o%20medicamento%20%C3%A9%20empr%20e%20consta%20da%20bula.](http://antigo.anvisa.gov.br/en_US/resultado-de-busca?p_p_id=101&p_p_lifecycle=0&p_p_state=maximized&p_p_mode=view&p_p_col_id=column-1&p_p_col_count=1&_101_struts_action=%2Fasset_publisher%2Fview_content&_101_assetEntryId=352702&_101_type=content&_101_group#~:text=Quando%20o%20medicamento%20%C3%A9%20empr%20e%20consta%20da%20bula.)>. Acesso em 08 jul.2025.

<sup>4</sup> VALIM, V., et al. Recomendações para o tratamento da síndrome de SjögrenRecommendations for the treatment of Sjögren's syndrome. Disponível em: <<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0482500415001059>>. Acesso em: 08 jul.2025.

<sup>5</sup> Liossis SNC, Bounas A, Andonopoulos AP. Mycophenolate mofetil as first-line treatment improves clinically evident early scleroderma lung disease. *Rheumatology* 45:1005-1008, 2006. Disponível em: <<https://academic.oup.com/rheumatology/article/45/8/1005/1784534>>. Acesso em: 08 jul.2025.

<sup>6</sup> 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](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: 08 jul.2025.

<sup>7</sup>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](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html)>. Acesso em: 08 jul.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](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf)>. Acesso em: 08 jul.2025.



Para o caso em tela – **esclerose sistêmica, fibrose pulmonar e síndrome de Sjögren** – doenças apresentadas pela Autora, o **micofenolato de mofetila não é padronizado no SUS, tornando o seu acesso inviável por via administrativa**.

Salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde **não publicou** o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas<sup>9</sup> que verse sobre a **síndrome de Sjögren**, e, portanto, **não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias**.

Para o tratamento **esclerose sistêmica**, o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da referida doença** (Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 16 - 10/08/2022). Por conseguinte, a **Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ)** atualmente **disponibiliza**, através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) os medicamentos: Sildenafil 25mg e 50mg (comprimido), Azatioprina 50mg (comprimido) e Metotrexato 2,5mg (comprimido) e 25mg/mL (solução injetável – ampola de 2mL).

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica – HÓRUS, consta que a Autora **não está cadastrada** no CEAF para a retirada dos medicamentos ofertados pelo SUS.

Conforme relato médico, a Autora já fez uso de metotrexato, hidroxicloroquina, sildenafil e ciclofosfamida, com pouco controle da doença. No entanto, não houve relato sobre o uso de Azatioprina. 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 da Azatioprina no plano terapêutico da Autora.

Caso seja autorizada a substituição, para acesso a **Azatioprina**, estando a Demandante enquadrado nos critérios de inclusão do PCDT da esclerose sistêmica, deverá realizar o cadastro comparecendo ao **Riofarnes 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 que a **esclerose sistêmica (ES)** é uma doença **rara**. A incidência global anual da dermatomiosite é estimada em menos de 10 casos por milhão de indivíduos<sup>2</sup>, enquanto da **ES** é de 1,4 novos casos por 100.000/ano, com prevalência estimada 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/ano<sup>10</sup>. Nesse sentido, 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**

<sup>9</sup>Comissão 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: 08 jul.2025.



Integral às Pessoas com Doenças Raras<sup>10</sup> 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 raras<sup>11</sup>. Tais PCDTs foram descritos acima.

O medicamento pleiteado possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Contudo ainda não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para o tratamento de **esclerose sistêmica e síndrome de Sjögren**<sup>12</sup>.

Considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)<sup>13</sup>, o medicamento mencionado apresenta o seguinte Preço de Venda ao Governo, com alíquota ICMS 0%<sup>14</sup>:

- **Micofenolato de mofetila 500mg** com 60 comprimidos – R\$ 8,19.

**É o parecer.**

**Ao 2º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado 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

<sup>10</sup>BRASIL, 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](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 08 jul.2025.

<sup>11</sup>CONITEC. 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/mídias/relatórios/2015/relatório\\_pcdt\\_doenças\\_raras\\_cp\\_final\\_142\\_2015.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatórios/2015/relatório_pcdt_doenças_raras_cp_final_142_2015.pdf)>. Acesso em: 08 jul.2025

<sup>12</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliação-de-tecnologias-em-saúde/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 08 jul. 2025.

<sup>13</sup>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: 08 jul. 2025.

<sup>14</sup>BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em:<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyliwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMyZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 08 jul. 2025.