



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 5762/2024

Rio de Janeiro, 30 de dezembro de 2024.

Processo nº 0968470-16.2024.8.19.0001,
ajuizado por

Trata-se de Autor, 50 anos de idade, com diagnóstico de **dermatomiosite** (CID10: M33.2 – Polimiosite). Apresenta mialgia seguida de fraqueza progressiva de membros inferiores, pápulas de Gottron, sinal de xale, hiperemia facial e eletroneuromiografia evidenciando miopatia. Apresenta disfagia com risco alto de broncospiração e evolução para acometimento de musculatura respiratória (iniciado pulsoterapia com Metilprednisolona e Imunoglobulina) e esteatose hepática com fibrose, contraindicando o uso do medicamento Metotrexato e parcialmente da Azatioprina, sendo então indicado o uso de **Micofenolato de mofetila 500mg** – 06 comprimidos por dia – dose máxima (Num. 162925448 – Pág. 4).

A **dermatomiosite (DM ou dermatopolimiosite)** é doença do tecido conjuntivo que associa miopatia a manifestações cutâneas características, cuja causa permanece desconhecida, sendo considerada doença idiopática. Na etiologia, consideram-se as associações com antígenos de histocompatibilidade, vírus, drogas e auto-imunidade. Pacientes com DM apresentam manifestações cutâneas e sistêmicas, sendo mais comuns lesões em áreas fotoexpostas, fraqueza muscular proximal, alterações da musculatura respiratória e disfagia. Na forma juvenil, há maior incidência de calcinose cutânea. O diagnóstico é realizado através da história e exame físico, sendo corroborado pelas enzimas musculares, biópsia muscular, biópsia cutânea, eletroneuromiografia (ENMG), ultrasonografia (USG) e ressonância nuclear magnética (RNM)¹.

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 alógênicos; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante cardíaco alógênico; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante hepático alógênico. 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 Renal².

Informa-se que o medicamento **Micofenolato de mofetila 500mg** não apresenta indicação descrita em bula² para o tratamento da **dermatomiosite**, quadro clínico do Autor, conforme relato médico (Num. 162925448 – Pág. 4). Assim, **sua indicação**, nesse caso, configura **uso off label**.

¹ ORTIGOSA, L.C.M., REIS, V.M.S. Dermatomiosite. An. Bras. Dermatol. v.83, n.3, Rio de Janeiro, mai/jun 2008. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0365-05962008000300010>. Acesso em: 30 dez. 2024.

² 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: 30 dez. 2024.



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 aprovou³.

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 2013⁴. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso *off label* do medicamento **Micofenolato de mofetila** no tratamento **dermatomiosite**.

Todavia, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022⁵, 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, diversos imunossupressores têm sido utilizados como agentes poupadões de glicocorticoides em miopatias inflamatórias idiopáticas (MII). Em um estudo retrospectivo, período de 2011 a 2016, no qual 21 pacientes adultos consecutivos com MII (**dermatomiosite**, dermatomiosite clinicamente amiopática, síndrome antissintetase ou **polimiosite**) foram avaliados por 06 meses consecutivos após o início de **Micofenolato de mofetila**. O **Micofenolato de mofetila** foi relativamente bem tolerado, seguro e eficaz em pacientes com MII refratária⁶.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, 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. Para o caso em tela – **dermatomiosite** – doença apresentada pelo Autor, o **Micofenolato de Mofetila** não é padronizado no SUS, tornando o seu acesso inviável por via administrativa.

³ANVISA. 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%20empregado,que%20n%C3%A3o%20consta%20da%20bula.>. Acesso em 30 dez. 2024.

⁴BRASIL. 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 dez. 2024.

⁵DIÁRIO 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-março-de-2022-387356896>> Acesso em: 30 dez. 2024.

⁶SHINJO, S. K. et al. Segurança e eficácia do Micofenolato de Mofetila em miopatias inflamatórias idiopáticas. Rev Bras Reumatol 2017 ; 57(S 1): S209-S235. Disponível em: <<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0482500417305624?via%3Dihub>>. Acesso em: 30 dez. 2024.



Acrescenta-se que a **dermatomiosite** é uma doença rara (a incidência anual é estimada em menos de 10 casos por milhão de indivíduos)¹. 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 Integral às Pessoas com Doenças Raras⁷ 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 raras⁸.

Considerando a doença do Requerente, informa-se que para o tratamento da **dermatomiosite**, o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Dermatomiosite e Polimiosite**¹. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) atualmente disponibiliza, através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) e conforme o disposto nas Portarias de Consolidação nº 2/GM/MS e 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, os medicamentos: Azatioprina 50mg (comprimido), Metotrexato de 2,5mg (comprimido) e 25mg/mL (solução injetável), Ciclosporina 25mg, 50mg e 100mg (cápsulas) e 100mg/mL (solução oral), Hidroxicloroquina 400mg (comprimido) e Imunoglobulina humana 5g (solução injetável).

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que o Autor solicitou cadastro no CEAF para recebimento do medicamento padronizado Azatioprina 50mg – período de vigência: 20/12/2024 à 28/02/2025 – porém sua solicitação não foi autorizada. Os motivos do indeferimento foram:

- O nome da mãe no campo 4 do LME apresentado, SEBASTIANA DE LOURDES DA SILVA DE OLIVEIRA, se encontra divergente do nome da mãe no documento de identidade cadastrado do paciente, SEBASTIANA DE LOURDES DA SILVA OLIVEIRA. Não são permitidas divergências de informação em toda documentação enviada. Não são permitidas rasuras e/ou emendas e que, todos os documentos solicitantes (LME, laudo médico e prescrição médica) devem ser oriundos de um mesmo estabelecimento de saúde.
- O laudo da Biópsia muscular não foi anexado ao processo, sendo esse exame um dos exames obrigatórios para a análise do processo. Favor adequar para que a solicitação seja atendida e manter anexados os exames e demais documentos que não precisarem de adequação.

Acrescenta-se que em documento médico acostado aos autos (Num. 162925448 – Pág. 4), o médico assistente descreve que o Autor: “... apresenta esteatose hepática com fibrose, sendo contraindicado o Metotrexato e parcialmente contraindicado Azatioprina.” e “... Ao ser avaliado pela hepatologista, foi averiguado que a melhor opção seria o Micofenolato de mofetila,

⁷BRASIL, 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 dez. 2024.

⁸CONITEC. 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_pc当地点_ doenças raras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 30 dez. 2024.



dose máxima diária...". Desta maneira, este Núcleo entende que as outras opções padronizadas no SUS para o caso em tela, não configuram alternativas terapêuticas adequadas, no momento.

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 **dermatomiosite**⁹.

Ademais, em caráter informativo, ressalta-se que, conforme observado em consulta ao sítio eletrônico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), atualmente encontra-se atualização o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para tratamento da Dermatomiosite e Polimiosite, em atualização ao PCDT em vigor¹⁰.

Quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Num. 162925447 – Pág. 13, item “VIII – Dos Pedidos”, subitens “b” e “e”) referente ao fornecimento de “... outros medicamentos e produtos complementares e acessórios que, no curso da demanda, se façam necessários ao tratamento da moléstia...” vale ressaltar que não é recomendado o provimento de novos itens sem emissão de laudo que justifique a necessidade destes, uma vez que o uso irracional e indiscriminado de tecnologias pode implicar em risco à saúde.

É o parecer.

Ao 1º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

MARIA DE FATIMA DOS SANTOS
Enfermeira
COREN/RJ 48034
Mat. 297.449-1

JULIANA DE ASEVEDO BRÜTT
Farmacêutica
CRF-RJ 8296
ID. 5074441-0

FLÁVIO AFONSO BADARÓ
Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02

⁹BRASIL. 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 dez. 2024.

¹⁰BRASIL. 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 dez. 2024.