



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1639/2023**

Rio de Janeiro, 21 de novembro de 2023.

Processo nº 5108680-19.2023.4.02.5101,  
ajuizado por

neste ato representada por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **5º Juizado Especial Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Micofenolato de Mofetila**.

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os formulários médicos em impresso da Defensoria Pública da União e da Câmara de Resolução de Litígios de Saúde (Evento 1\_ANEXO2\_Páginas 14/24) e documentos médicos em impresso próprio (Evento 1\_ANEXO2\_Páginas 25/27), emitidos pelo médico  em 28 e 18 de setembro de 2023, respectivamente, a Autora apresenta **esclerose sistêmica** com acometimento cutâneo e pulmonar, evoluindo com dispnéia progressiva, sem resposta satisfatória ao tratamento com corticoide e Ciclofosfamida.

2. Desse modo, foi indicado iniciar o tratamento com **Micofenolato de Mofetila 500mg - 02** comprimidos a cada 12 horas, para controle da doença e, principalmente para o quadro respiratório, afim de evitar uma piora progressiva, quando necessitará de oxigenoterapia.

3. Foi participado pelo médico assistente que nenhum dos medicamentos dispensados pelo Sistema único de Saúde – SUS, tem indicação de uso para o quadro apresentado pela Autora. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (**CID-10**): **M34 – esclerose sistêmica**.

**II – ANÁLISE  
DA LEGISLAÇÃO**

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.

2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.

3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.



4. A Portaria nº 2.979, de 12 de novembro de 2019, institui o Programa Previne Brasil, que estabelece o novo modelo de financiamento de custeio da Atenção Primária à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde.
5. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
6. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
7. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
8. A Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.
9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, Anexo XXXVIII, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para a Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para efeito deste Anexo, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

## **DO QUADRO CLÍNICO**

1. A **esclerose sistêmica (ES)** é uma doença rara, 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 – edematosa (*puffy fingers*), a fase indurativa e a atrófica, na qual a pele se torna seca, descamativa e aderida a planos profundos; leucomelanodermia e calcinose 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; Cardíaco: 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 Geniturinários. A ES é classificada com base na extensão do acometimento cutâneo, sendo os diferentes subtipos associados a manifestações clínicas e laboratoriais e a histórias naturais distintas. Os três subtipos de ES e as principais manifestações que os pacientes geralmente



apresentam são: Esclerose sistêmica cutânea limitada; Esclerose sistêmica cutânea difusa; Sine escleroderma<sup>1</sup>.

## **DO PLEITO**

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 alogênicos; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante cardíaco alogênico; profilaxia da rejeição aguda de órgãos, em pacientes adultos receptores de transplante cardíaco alogênico. 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>.

## **III – CONCLUSÃO**

1. Refere-se à Autora diagnosticada com **esclerose sistêmica** com acometimento cutâneo e pulmonar, necessitando iniciar o tratamento com **Micofenolato de Mofetila 500mg**.

2. O medicamento **Micofenolato de Mofetila 500mg** **não apresenta indicação prevista em bula**<sup>2</sup> para o tratamento de **esclerose sistêmica** – quadro clínico da Autora. Assim, **sua indicação, nesse caso, configura uso off-label**.

3. Uso **off label** é a prática de uso do medicamento para uma indicação ou faixa etária diferentes daquelas autorizadas pelo órgão regulatório em um país, além de outra via de administração, dose e posologia, para as quais não existem bases científicas adequadas. Trata-se do uso para uma indicação ou faixa etária diferente da que consta em bula, podendo ocorrer também diferenças na via de administração, dose e frequência de uso. Diante de todos os aspectos, evidencia-se que o uso de alguns medicamentos com indicações off label ocorre em situações muito graves do ponto de vista patológico onde o risco de óbito do paciente pode estar associado à ineficiência da terapêutica convencional ou falta de opções terapêuticas aprovadas. Nestas situações específicas o uso **off label** pode encontrar amparo, se existir alta qualidade de evidência para seu uso<sup>3</sup>.

4. 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 2013<sup>4</sup>. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso **off label** do medicamento **Micofenolato de Mofetila** no tratamento **esclerose sistêmica**.

<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/midias/protocolos/20220926\\_pcdt\\_esclerose\\_sistematica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220926_pcdt_esclerose_sistematica.pdf)>. Acesso em: 20 nov. 2023.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Micofenolato de Mofetila (Cellcept®) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000539>>. Acesso em: 20 nov. 2023.

<sup>3</sup> PAULA, C.S. e al. Centro de informações sobre medicamentos e o uso off label. Rev. Bras. Farm., vol. 91, nº 1, p.3-8, 2010. Disponível em: <[https://crf-pr.org.br/uploads/noticia/14133/CIM\\_e\\_uso\\_off\\_label.pdf](https://crf-pr.org.br/uploads/noticia/14133/CIM_e_uso_off_label.pdf)>. Acesso em: 20 nov. 2023.

<sup>4</sup> BRASIL. 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](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2013/Decreto/D8077.htm)>. Acesso em: 20 nov. 2023.



5. Todavia, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022<sup>5</sup>, 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.
6. Nessa linha intelectual, elucida-se que o **Micofenolato de Mofetila não foi** avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para o tratamento da **esclerose sistêmica**<sup>6</sup>.
7. Para o tratamento da **esclerose sistêmica**, o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)** para o manejo da referida doença<sup>1</sup>, no qual está descrito que recentemente foram publicados os dados do primeiro estudo para avaliar a eficácia do uso do **Micofenolato de Mofetila na doença pulmonar intersticial (DPI)** em pacientes com **esclerose sistêmica (ES)**. O estudo revelou que esse medicamento apresentou resultados comparáveis ao uso de Ciclofosfamida oral (considerado primeira linha no tratamento dessa condição) por 12 meses seguido de placebo por mais 12 meses, sendo mais bem tolerado e associado com menor toxicidade. Atualmente, diversos autores e *guidelines* recomendam que o **Micofenolato de Mofetila seja considerado como opção no tratamento, tanto na indução quanto na manutenção, da DPI em pacientes com ES.**
8. Contudo, tendo em vista que o medicamento em questão não apresenta indicação em bula para o tratamento da **esclerose sistêmica**, este **não foi considerado** no protocolo clínico do SUS.
9. Cabe destacar que 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>7</sup>. Ressalta-se que, segundo estudo, o **Micofenolato de Mofetila** tem sido utilizado na **esclerose sistêmica** tanto em pacientes com acometimento cutâneo quanto pulmonar<sup>8</sup>.
10. O **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). Contudo, os medicamentos deste Componente **somente serão autorizados e disponibilizados** 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.
11. Elucida-se que a dispensação do medicamento **Micofenolato de Mofetila 500mg, não está autorizada** para **M34 – esclerose sistêmica**. Portanto, o acesso a este medicamento, **por vias administrativas, neste caso, é inviável.**

<sup>5</sup> DIÁRIO 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: 20 nov. 2023.

<sup>6</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/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 20 nov. 2023.

<sup>7</sup> Lioussis 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: 20 nov. 2023.

<sup>8</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: 20 nov. 2023.



12. No que tange à existência de substitutos terapêuticos ofertados pelo SUS, cabe relatar que o PCDT/ES, para **esclerose sistêmica com manifestações pulmonares** (caso da Autora), o protocolo preconiza o uso dos seguintes medicamentos: Ciclofosfamida (considerada a primeira linha terapêutica) e Azatioprina. Contudo, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, disponibiliza apenas o medicamento Azatioprina.

13. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que a Autora **não está cadastrada** no CEAF para recebimento dos medicamentos acima citados.

14. Como não foi mencionado uso prévio ou contraindicação aos medicamentos padronizados no PCDT da **esclerose sistêmica com manifestações pulmonares**, sugere-se a avaliação do uso dos medicamentos supracitados em alternativa ao item pleiteado e se a Requerente se enquadra nos critérios descritos no protocolo ministerial supracitado.

15. Caso positivo, e ainda cumprindo 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, a Autora deverá atualizar seu cadastro no CEAF comparecendo à Rio Farmes – Farmácia Estadual de Medicamentos Especiais Rua Júlio do Carmo, 175 – Cidade Nova (ao lado do metrô da Praça Onze), de 2ª à 6ª das 08:00 às 17:00 horas. Tel.: (21) 98596-6591/ 96943-0302/ 98596-6605/ 99338-6529/ 97983-3535, portando as seguintes documentações:

- **Documentos Pessoais**: Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/ SUS, Cópia do comprovante de residência.
- **Documentos médicos**: Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido a menos de 90 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida a menos de 90 dias. *O Laudo de Solicitação deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos PCDT do Ministério da Saúde, nível de gravidade, relato de tratamentos anteriores (medicamentos e período de tratamento), emitido a menos de 90 dias e Exames laboratoriais e de imagem previstos nos critérios de inclusão do PCDT.*

16. 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.

17. No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país 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)<sup>9</sup>.

<sup>9</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/cmmed/precos>>. Acesso em: 20 nov. 2023.



18. De acordo com publicação da CMED<sup>10</sup>, 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.

19. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, tem-se<sup>11</sup>:

- **Micofenolato de Mofetila 500mg** com 30 comprimidos, apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 356,45 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 279,71, sem imposto.

**É o parecer.**

**Ao 5º Juizado Especial Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**GABRIELA CARRARA**

Farmacêutica  
CRF-RJ 21.047  
ID. 5083037-6

**MILENA BARCELOS DA SILVA**

Farmacêutica  
CRF- RJ 9714  
ID. 4391185-4

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

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

<sup>10</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/arquivos/pdf\\_conformidade\\_gov\\_20230912\\_083151803.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/pdf_conformidade_gov_20230912_083151803.pdf)>. Acesso em: 20 nov. 2023.

<sup>11</sup> BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Lista de Preços de Medicamentos. Disponível em: <[https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista\\_conformidade\\_pmv\\_2023\\_06\\_v1.pdf/@download/file](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmv_2023_06_v1.pdf/@download/file)>. Acesso em: 20 nov. 2023.