



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0936/2025

Rio de Janeiro, 01 de julho de 2025.

Processo nº 5060495-76.2025.4.02.5101,
ajuizado por **J.F.L.**

De acordo com os documentos médicos apensados aos autos, o Autor iniciou quadro de **penfigóide bolhoso** há 01 ano, com acometimento grave em todo o corpo, pouca resposta ao tratamento e evoluindo sempre com infecções cutâneas, prurido muito intenso e grave comprometimento da qualidade de vida. Obteve resposta discreta às terapias já implementadas – corticosteroides sistêmicos e imunossuppressores (Azatioprina), evoluindo com bolhas e feridas pelo corpo. O tratamento implementado também resultou em efeitos colaterais como ganho de peso, tremores recorrentes e *facies cushingoide*. Vem evoluindo com alteração das escoras nitrogenadas (ureia e creatinina), da função hepática.

Foi participado pelo médico assistente que os tratamentos empregados até o momento são de alto risco devido à faixa etária do Demandante (78 anos), deixando-o sujeito a fraturas patológicas, perfurações gástricas e risco de imunossupressão grave.

Devido ao quadro clínico apresentado pelo Autor, foi prescrito tratamento com **Dupilumabe 300mg** (Dupixent®), na dose de ataque de 600mg e, posteriormente, 300mg a cada 14 dias (Evento 1_INIC1_Páginas 21/22).

Isto posto, cabe informar que o medicamento **Dupilumabe** (Dupixent®) **não possui indicação em bula** aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA para o tratamento do **penfigóide bolhoso**, o que caracteriza uso *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 reguladora. Entretanto, em grande parte das vezes, trata-se de uso essencialmente correto, apenas ainda não aprovado¹.
- ✓ Com base na literatura científica consultada, o **Dupilumabe**, um anticorpo monoclonal anti-receptor de IL-4α que bloqueia as vias de IL-4 e IL-13, tem sido avaliado em diversos estudos clínicos para o tratamento do **penfigoide bolhoso (PB)**, especialmente em casos refratários, nos quais o uso prolongado de corticosteroides sistêmicos pode ser problemático.
- ✓ Estudos retrospectivos multicêntricos e coortes prospectivas demonstraram que o **Dupilumabe**, isoladamente ou em combinação com corticosteroides e/ou imunossuppressores, está associado a controle rápido da doença, redução significativa do

¹ 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://revistas.ufpr.br/academica/article/download/34770/21818>>. Acesso em: 27 mar. 2025.

prurido e das lesões cutâneas^{2,3}. Dados de meta-análise e revisões sistemáticas sugerem que o **Dupilumabe** reduz o tempo para controle da doença em comparação ao tratamento convencional, embora a qualidade da evidência ainda seja considerada baixa devido ao desenho dos estudos disponíveis^{4,5}.

- ✓ Em estudos comparativos, a adição de **Dupilumabe** ao tratamento padrão resultou em cessação mais rápida da formação de novas bolhas, redução mais precoce da dose de corticosteroides e menor tempo de internação hospitalar, sem aumento significativo de eventos adversos. O perfil de segurança do **Dupilumabe** tem sido consistentemente favorável, com eventos adversos raros e geralmente leves. Não foram observados eventos adversos graves relacionados ao uso do **Dupilumabe** nos estudos analisados⁶.
- ✓ A literatura destaca que a maioria dos pacientes com **PB**, tratados com **Dupilumabe**, apresenta melhora clínica significativa, mesmo em contextos de refratariedade à outras terapias, e que o risco de recidiva durante o seguimento é baixo. No entanto, a maior parte dos dados provém de estudos observacionais, séries de casos e revisões sistemáticas baseadas em relatos e coortes retrospectivas, **havendo carência de ensaios clínicos randomizados de alta qualidade**.

Assim, embora o **Dupilumabe** se configure como uma alternativa promissora e segura para o tratamento do **penfigoide bolhoso**, especialmente em pacientes com contraindicação ou intolerância a corticosteroides sistêmicos, a definição precisa de seu papel nos algoritmos terapêuticos ainda depende de estudos prospectivos controlados de maior robustez metodológica.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que **Dupilumabe não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro. Logo, **não cabe** seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

O medicamento **Dupilumabe** até o momento **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)⁷ para o tratamento do **penfigoide bolhoso**.

Acrescenta-se que o **penfigoide bolhoso** é uma enfermidade 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

² Zhao L, Wang Q, Liang G, et al. Evaluation of Dupilumab in Patients With Bullous Pemphigoid. *JAMA Dermatol.* 2023;159(9):953–960. Disponível em:

<https://jamanetwork.com/journals/jamadermatology/fullarticle/2808114?utm_source=openvidence&utm_medium=referral>. Acesso em: 01 jul. 2025.

³ Huang D, Zhang Y, Yu Y, Jiang Y, Kong L, Ding Y, Shi Y, Gao Y. Long-term efficacy and safety of dupilumab for severe bullous pemphigoid: A prospective cohort study. *Int Immunopharmacol.* 2023 Dec;125(Pt A):111157. Disponível em:

<<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37925949/>>. Acesso em: 01 jul. 2025.

⁴ Cao P, Xu W, Zhang L. Rituximab, Omalizumab, and Dupilumab Treatment Outcomes in Bullous Pemphigoid: A Systematic Review. *Front Immunol.* 2022 Jun 13;13:928621. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35769474/>>. Acesso em: 01 jul. 2025.

⁵ Granados-Betancort E, Sánchez-Díaz M, Muñoz-Barba D, Arias-Santiago S. Omalizumab and Dupilumab for the Treatment of Bullous Pemphigoid: A Systematic Review. *J Clin Med.* 2024 Aug 16;13(16):4844. Disponível em:

<<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39200987/>>. Acesso em: 01 jul. 2025.

⁶ Zhang Y, Xu Q, Chen L, Chen J, Zhang J, Zou Y, Gong T, Ji C. Efficacy and Safety of Dupilumab in Moderate-to-Severe Bullous Pemphigoid. *Front Immunol.* 2021 Oct 14;12:738907. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34721404/>>. Acesso em: 01 jul. 2025.

⁷ 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: 01 jul. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁸ 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 raras⁹. Contudo, ainda **não há** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)¹⁰ publicado para o manejo do **penfigoide bolhoso**.

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)¹¹.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, o medicamento **Dupilumabe 150mg** (Dupixent[®]), embalagens com 02 seringas com 02mL, possui preço de venda ao governo correspondente à R\$ 6.329,62, para a alíquota ICMS 0%¹².

É o parecer.

À 34ª Vara 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

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

⁸ 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>. Acesso em: 01 jul. 2025.

⁹ 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/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 01 jul. 2025.

¹⁰ 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: 01 jul. 2025.

¹¹ 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: 01 jul. 2025.

¹² 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=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWl3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 01 jul. 2025.