



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1192/2025

Rio de Janeiro, 20 de agosto de 2025.

Processo nº 5002731-02.2025.4.02.5112,
ajuizado por **C. H. C. F.**

Trata-se de Autora com diagnóstico de **granulomatose com poliangiíte** (**granulomatose de Wegener** – CID-10: M31.3), com indicação de tratamento com **Micofenolato de mofetila 500mg** (CellCept®). Foi participado pela médica assistente que a Demandante já fez uso de Ciclofosfamida, por 06 meses, sem melhora total. A demora em iniciar a terapêutica proposta poderá ocasionar a piora da doença pulmonar, progredindo para insuficiência respiratória e óbito consequente (Evento 1_INIC1_Página 313/317).

No que concerne ao quadro clínico apresentado pela Autora, informa-se que a **granulomatose com poliangiíte** (GPA), anteriormente conhecida como **granulomatose de Wegener**, é uma vasculite sistêmica rara, caracterizada por inflamação granulomatosa do trato respiratório (vias aéreas superiores e inferiores) e vasculite necrosante de pequenos e médios vasos, frequentemente associada à presença de anticorpos anticitoplasma de neutrófilos (**ANCA**), predominantemente contra a proteinase 3. A doença acomete principalmente o trato respiratório superior (seios paranasais, nariz), pulmões e rins, mas pode envolver virtualmente qualquer órgão, incluindo olhos, pele, sistema nervoso, articulações e, mais raramente, grandes vasos¹.

O medicamento aqui pleiteado – *CellCept*®, com princípio ativo **micofenolato de mofetila** (MMF) **não apresenta indicação prevista em bula**, para o tratamento da **granulomatose com poliangiíte** – configurando uso *off label*.

Ainda sem tradução oficial para o português, o termo *off label* refere-se ao uso de medicamentos em condições diferentes das aprovadas em bula pela ANVISA, abrangendo situações como indicação terapêutica distinta, posologia não usual, via de administração diversa, uso em faixas etárias não testadas ou formulações/doses não previstas no registro sanitário².

Informa-se que, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022³, 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.

Nessa linha intelectual, informa-se que o medicamento **Micofenolato de mofetila encontra-se em avaliação** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS –

¹ Guzman-Soto MI, Kimura Y, Romero-Sanchez G, Cienfuegos-Alvear JA, Candanedo-Gonzalez F, Kimura-Sandoval Y, Sanchez-Nava DA, Alonso-Ramon I, Hinojosa-Azaola A. From Head to Toe: Granulomatosis with Polyangiitis. Radiographics. 2021 Nov-Dec;41(7):1973-1991. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/34652975/>>. Acesso em: 20 ago. 2025.

² Comissão 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: 20 ago. 2025.

³ 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 ago. 2025.



CONITEC para o tratamento de manutenção em pacientes com vasculites associadas a anticorpos anticitoplasma de neutrófilos (ANCA)⁴.

Quanto ao uso de medicamento pleiteado no quadro clínico apresentado pela Autora, informa-se que o **Micofenolato de mofetila** tem sido estudado como terapia de manutenção da remissão na **granulomatose com poliangiíte** (GPA). O estudo randomizado controlado, comparou **MMF** com Azatioprina após indução de remissão com Ciclofosfamida e Prednisona. Os resultados demonstraram que o **MMF** foi menos eficaz que a Azatioprina na prevenção de recidivas, com maior taxa de recaídas no grupo MMF, embora ambos os grupos tenham apresentado taxas semelhantes de eventos adversos graves⁵.

Diretrizes internacionais reconhecem o uso do **MMF** em doenças autoimunes sistêmicas, incluindo **GPA**, mas ressaltam que sua principal indicação aprovada é para profilaxia de rejeição em transplantes de órgãos. O perfil de toxicidade do **MMF** inclui eventos gastrointestinais, leucopenia e infecções oportunistas, sendo geralmente bem tolerado em doses de até 2 g/dia⁶.

Em resumo, o **MMF** pode ser considerado como alternativa para **manutenção da remissão** em **GPA**, especialmente em casos de intolerância ou contraindicação à Azatioprina, mas a evidência indica que a Azatioprina permanece superior em eficácia para prevenção de recidivas e progressão renal, principalmente em pacientes com doença mais ativa.

Ressalta-se que, embora o medicamento **Micofenolato de mofetila 500mg** integre o **Grupo 1A** de financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) e seja **disponibilizado** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), seu fornecimento **não está autorizado** para o tratamento da **granulomatose com poliangiíte** (**granulomatose de Wegener**), o que **inviabiliza sua obtenção pela via administrativa**.

Recentemente, foi publicado o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas** (PCDT) da **vasculite associada aos anticorpos anti-citoplasma de neutrófilos**, aprovado por meio da Portaria Conjunta SAES/SEXTICS Nº 5, de junho de 2025⁷. Dessa forma, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) disponibiliza, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), aos pacientes que se enquadram nos critérios do protocolo, o medicamento Azatioprina 50mg (comprimido).

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) consta que a Autora **não está cadastrada** no **CEAF** para a retirada dos medicamentos padronizados no Sistema Único de Saúde.

De acordo com documento médico (Evento 1_INIC1_Página 313/317), foi mencionado que a Autora *“já fez uso de Ciclofosfamida, por 06 meses, sem melhora total”*.

⁴ CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 20 ago. 2025.

⁵ Hiemstra TF, Walsh M, Mahr A, et al. Mycophenolate Mofetil vs Azathioprine for Remission Maintenance in Antineutrophil Cytoplasmic Antibody–Associated Vasculitis: A Randomized Controlled Trial. *JAMA*. 2010;304(21):2381–2388. Disponível em: <https://jamanetwork.com/journals/jama/fullarticle/186996?utm_source=openvidence&utm_medium=referral>. Acesso em: 20 ago. 2025.

⁶ Baughman RP, Meyer KC, Nathanson I, Angel L, Bhorade SM, Chan KM, Culver D, Harrod CG, Hayney MS, Highland KB, Limper AH, Patrick H, Strange C, Whelan T. Monitoring of nonsteroidal immunosuppressive drugs in patients with lung disease and lung transplant recipients: American College of Chest Physicians evidence-based clinical practice guidelines. *Chest*. 2012 Nov;142(5):e1S–e11S. Disponível em: <<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3610695/>>. Acesso em: 20 ago. 2025.

⁷ BRASIL. MINISTÉRIO DA SAÚDE. Subsecretaria de Atenção à Saúde. Portaria Conjunta nº 5, de junho de 2025. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Vasculite Associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos. Disponível em: <https://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis-upload-hci/saudelegis/Saes/2025/poc0005_14_07_2025.html>. Acesso em: 20 ago. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Entretanto, **a médica assistente não menciona o uso do medicamento disponibilizado no SUS, Azatioprina, no plano terapêutico da Requerente.**

Caso a médica assistente considere **indicado e viável** o uso do medicamento disponibilizado no CEAF para o tratamento do caso em tela, estando a Autora dentro dos **critérios para dispensação**, 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 representante do Demandante deverá **efetuar cadastro** junto ao CEAF, comparecendo à Farmácia do Posto de Saúde Senador Roberto Campos, localizada na Rua Prefeito Manuel Guilherme Barbosa nº 371, Loja 8 – Centro – Miguel Pereira, telefone: (24) 99915-3866, munida da seguinte documentação:

- **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, a **médica 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 **granulomatose com poliangiite** é considerada uma **doença rara**. Trabalhos oriundos de outros países relatam que a doença acomete cerca de **1 a 9 para cada 100 mil pessoas**⁸. 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 Raras**⁹ 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 raras¹⁰. O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicado para o manejo da **vasculite associada aos anticorpos anti-citoplasma de neutrófilos está descrito** no presente Parecer Técnico.

Considerando que não existe política pública de saúde para dispensação do medicamento **Micofenolato de mofetila** para o tratamento da **granulomatose com poliangiite**,

⁸ Orphanet. Granulomatosis with polyangiitis. Disponível:

<<https://www.orpha.net/en/disease/detail/900?name=Wegener%27s%20granulomatosis&mode=name>>. Acesso em: 20 ago. 2025.

⁹ 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: 20 ago. 2025.

¹⁰ 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: 20 ago. 2025.



salienta-se que **não há atribuição exclusiva da União, Estado ou do Município em fornecer tal item.**

De acordo com a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), um medicamento genérico é um produto farmacêutico que comprovadamente possui a mesma qualidade, eficácia e segurança do medicamento de marca (ou de referência), podendo ser substituído por ele com segurança¹¹.

Mediante o exposto, embora o médico assistente tenha especificado uma marca comercial para o medicamento prescrito – *Cellcept*[®], em consulta ao site da ANVISA, verificou-se a presença de medicamentos similares e genéricos correspondentes à prescrição.

O **Micofenolato de mofetila possui registro sanitário vigente** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

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)¹².

De acordo com publicação da CMED¹³, 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.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, o **Micofenolato de mofetila 500mg** (*Cellcept*[®]), embalagem com 50 comprimidos possui preço máximo de venda ao governo R\$ 769,04, para o ICMS de 0%⁹.

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Itaperuna, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

¹¹ BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Resolução da Diretoria Colegiada - RDC nº 753, de 28 de setembro de 2022. Dispõe sobre o registro de medicamentos de uso humano com princípios ativos sintéticos e semissintéticos, classificados como novos, inovadores, genéricos e similares. Brasília, DF: Diário Oficial da União, 29 set. 2022. Disponível em: <<https://www.in.gov.br/web/dou/-/resolucao-da-diretoria-colegiada-rdc-n-753-de-28-de-setembro-de-2022-432857476>>. Acesso em: 20 ago. 2025.

¹² 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: 20 ago. 2025.

¹³ 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_20250807_115642184.pdf/@download/file>. Acesso em: 20 ago. 2025.