



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1251/2025

Rio de Janeiro, 08 de setembro de 2025.

Processo nº 5005851-60.2024.4.02.5121,
ajuizado por **M. F. O. F.**

De acordo com os documentos médicos apensados aos autos, a Autora, 66 anos, apresenta diagnóstico de **enfisema pulmonar** (CID-10: J43.9), **osteoporose com fratura patológica** (CID-10: M80) e **esclerose sistêmica** (CID-10: M34.0), rapidamente progressiva, com início em 2023, cursando com fenômeno de Raynaud, espessamento cutâneo difuso, poliartrite, serosites, restrição de movimentos e perda de força muscular. Já efetuou tratamento com Micofenolato de Mofetila, sem resposta. Também fez uso de Prednisolona com melhora clínica parcial, porém com diversos efeitos colaterais. Para o manejo do quadro clínico da Demandante, foi prescrito **Micofenolato de Mofetila 500mg**, de uso contínuo. Foi participado pela médica assistente que os medicamentos disponibilizados pelo Sistema Único de Saúde – Azatioprina, Sildenafil e Hidroxicloroquina não têm evidência de eficácia para acometimento cutâneo. Caso não tratada adequadamente, a Autora poderá evoluir com espessamento cutâneo grave com bloqueio articular, dificuldade de locomoção, restrição de expansibilidade torácica com dispneia, pneumopatia intersticial, disfunção cardíaca, restrição às atividades diárias de vida e óbito (Evento 1_ANEXO2_Página 20/31).

A **esclerose sistêmica (ES)** é doença rara, crônica e imunomediada, de etiologia desconhecida, caracterizada por disfunção imune, vasculopatia e fibrose, com potencial acometimento multissistêmico (pele, vasos, trato gastrointestinal, pulmões, coração, rins e músculos). Clinicamente, pode manifestar-se por fenômeno de Raynaud, alterações cutâneas (edema, induração, atrofia), comprometimento articular e muscular, dismotilidade gastrointestinal, pneumopatia intersticial, hipertensão pulmonar, crise renal esclerodérmica e miopatia. Classifica-se em três subtipos: cutânea limitada, cutânea difusa e *sine* escleroderma, cada qual associado a diferentes padrões de evolução clínica e prognóstico¹.

Dito isto, considerando que o tratamento pleiteado destina-se exclusivamente à **esclerose sistêmica**, não abrangendo os demais diagnósticos da Autora (enfisema pulmonar e osteoporose), ressalta-se que o **Micofenolato de Mofetila não possui indicação em bula**² para essa enfermidade. Assim, seu uso, neste caso, caracteriza prescrição *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, em grande parte das vezes, trata-se de uso essencialmente correto, apenas ainda não aprovado³.

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

¹ 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>. Acesso em: 08 set. 2025.

² Bula do medicamento Micofenolato de Mofetila (CellCept®) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=CELLCEPT>>. Acesso em: 08 set. 2025.

³ 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>. Acesso em: 08 set. 2025.



agosto de 2013⁴. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso *off label* do medicamento **Micofenolato de Mofetila** no tratamento da **esclerose sistêmica**.

Informa-se que, 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, 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 Metotrexato⁶.

No que tange ao acesso 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 (CEAF⁷), 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** perfaz o grupo de financiamento 1A do referido componente: *medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal.*

Os medicamentos do CEAF somente serão **autorizados e disponibilizados** para as **doenças** descritas na Classificação Internacional de Doenças (CID-10) **contempladas**. Assim, a doença do demandante, a saber: **M34.0 – esclerose sistêmica progressiva não está dentre as contempladas para a retirada do medicamento pela via do CEAF, impossibilitando a obtenção do Micofenolato de Mofetila 500mg de forma administrativa.**

O medicamento **Micofenolato de Mofetila** até o momento **não foi analisado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)⁸ para o tratamento da **esclerose sistêmica**.

Para o tratamento da **esclerose sistêmica (ES)**, o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁹, através da Portaria Conjunta Nº 16, de 10 de

⁴ 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>. Acesso em: 08 set. 2025.

⁵ 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: 08 set. 2025.

⁶ 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>. Acesso em: 08 set. 2025.

⁷ GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO. Relação de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF disponibilizados pela SES/RJ. Disponível em:

<<https://www.saude.rj.gov.br/comum/code/MostrarArquivo.php?C=Njc5NzU%2C>>. Acesso em: 08 set. 2025.

⁸ 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: 08 set. 2025.



agosto de 2022. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde fornece por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) os seguintes medicamentos: Metotrexato 2,5mg (comprimido) e 2,5mg/mL (solução injetável), Azatioprina 50mg (comprimido), Hidroxicloroquina 400mg (comprimido) e Sildenafil 25mg e 50mg (comprimido).

Para o tratamento das manifestações cutâneas, como é o caso em tela, o aludido PCDT preconiza o medicamento Metotrexato como primeira linha de tratamento.

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

Contudo, cabe observar que nos documentos médicos acostados aos autos processuais (Evento 1_ANEXO2_Página 20/31) foi relatado que a Autora “... *já efetuou tratamento com Micofenolato de Mofetila, sem resposta. Também fez uso de Prednisolona com melhora clínica parcial, porém com diversos efeitos colaterais*” e que “... *os medicamentos disponibilizados pelo Sistema Único de Saúde – Azatioprina, Sildenafil e Hidroxicloroquina não têm evidência de eficácia para acometimento cutâneo*”. Portanto, entende-se que **os medicamentos padronizados não configuram uma opção terapêutica no presente momento.**

Acrescenta-se ainda que a **esclerose sistêmica** é uma **doença rara**¹¹. 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**¹⁰ 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 raras¹¹. **Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.**

Informa-se que o medicamento pleiteado **Micofenolato de Mofetila** **possui registro** ativo 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

⁹ 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_sistemica.pdf>. Acesso em: 08 set. 2025.

¹⁰ 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: 08 set. 2025.

¹¹ 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: 08 set. 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: 08 set. 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>>. Acesso em: 08 set. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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**, fabricado pela *FURP – Fundação para o Remédio Popular*, embalagem com 60 comprimidos possui preço máximo de venda ao governo R\$ 8,19, para o ICMS de 0%⁹.

Por último, cabe ressaltar que os documentos médicos acostados aos autos foram emitidos em junho e julho de 2024. Dessa forma, considerando o lapso temporal, não se pode afirmar se o tratamento prescrito faz parte do plano terapêutico atual da Autora.

É o parecer.

À 45ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.