



RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

informações sobre recomendações de incorporação
de medicamentos e outras tecnologias no SUS

MICOFENOLATO DE MOFETILA E MICOFENOLATO DE SÓDIO

para o tratamento da síndrome nefrótica em crianças e adolescentes

2025 Ministério da Saúde.

É permitida a reprodução parcial ou total desta obra, desde que citada a fonte e que não seja para venda ou qualquer fim comercial.

A responsabilidade pelos direitos autorais de textos e imagens desta obra é do Ministério da Saúde. Elaboração, distribuição e informações

MINISTÉRIO DA SAÚDE

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde – SECTICS

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS

Coordenação de Incorporação de Tecnologias – CITEC

Esplanada dos Ministérios, bloco G, Edifício Sede, 8º andar CEP: 70058-900 - Brasília/DF

Tel.: (61) 3315-2848

Site: gov.br/conitec/pt-br

E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório

Melina Sampaio de Ramos Barros

Dyana Helena de Souza

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

Layout e diagramação

Ana Júlia Trovo da Mota

Marina de Paula Tiveron

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

MICOFENOLATO DE MOFETILA E MICOFENOLATO DE SÓDIO

para o tratamento da síndrome nefrótica em crianças e adolescentes

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa):

Micofenolato de mofetila (CellCelpt®) - 27/06/2024:

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. Na população tratada, o MMF aumentou a sobrevida no primeiro ano após o transplante.
- Profilaxia da rejeição aguda de órgãos em pacientes adultos receptores de transplante hepático alogênico.

Em monoterapia 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.

Micofenolato de sódio (Myfortic®) - 15/04/2025:

É indicado, em combinação com ciclosporina para microemulsão e corticosteroides, para a profilaxia da rejeição aguda de transplante em pacientes submetidos a transplante renal alogênico.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de crianças e adolescentes com síndrome nefrótica corticodependente (SNCD) e síndrome nefrótica com recaída frequente (SNRF), não respondedores aos tratamentos anteriores, associado ao corticoide.

Recomendação final da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou a incorporação do micofenolato de mofetila e micofenolato de sódio para o tratamento da síndrome nefrótica primária em crianças e adolescentes, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

Decisão final:

PORTARIA SECTICS/MS Nº 79/2025: Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o micofenolato de mofetila e micofenolato de sódio para o tratamento da síndrome nefrótica primária em crianças e adolescentes, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

*De acordo com o §6º do art. 32 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, o pedido de incorporação de uma tecnologia em saúde deve ter indicação específica. Portanto, a Conitec não analisará todas as hipóteses previstas na bula em um mesmo processo.

O que é a Síndrome Nefrótica?

A Síndrome Nefrótica (SN) é uma doença crônica que promove a eliminação de uma alta quantidade de proteínas pela urina (proteinúria). Essa perda leva à diminuição da proteína albumina no sangue e ao acúmulo dos níveis de gordura e de líquidos no corpo, além de outras complicações. As primeiras manifestações da doença incluem inchaço nas pálpebras, órgãos genitais, pés e pernas. Em casos mais graves, pode ocorrer inchaço em todo o corpo, com acúmulo de líquidos no abdômen, no espaço entre as membranas que envolvem os pulmões e ao redor do coração.



A proteinúria pode ocorrer devido à lesão propriamente nos rins (forma primária) ou decorrer de outras condições de saúde, como infecções transmitidas durante a gestação, diabetes, lúpus, câncer ou toxicidade medicamentosa (forma secundária). A forma primária da doença corresponde a aproximadamente 90% dos casos em crianças com menos de dez anos. Depois dessa idade, ela representa cerca de 50% dos casos. A Síndrome Nefrótica Primária (SNP) é mais frequente em meninos até a adolescência, sem diferença significativa entre os sexos após essa fase.

O número de novos casos da doença varia conforme o país ou a etnia. Estima-se que a cada 100 mil crianças, entre 1,15 e 16,9 são acometidas com a doença no mundo. No Brasil, segundo a Rede Brasileira de Síndrome Nefrótica na Infância (REBRASNI), com dados obtidos em dois centros de tratamento em São Paulo, entre os anos de 2017 e 2018, 454 pacientes com até 18 anos realizavam acompanhamento clínico da doença. Geralmente, a síndrome é resolvida espontaneamente após a puberdade. No entanto, entre 15% e 25% dos casos, a doença pode persistir e progredir até a idade adulta.

Como os pacientes com síndrome nefrótica são tratados no SUS?

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Síndrome Nefrótica Primária em Crianças e Adolescentes do Ministério da Saúde, publicado em janeiro de 2018, recomenda o uso de corticoides como tratamento inicial, com diferentes esquemas terapêuticos. Para pacientes

considerados sensíveis ao corticoide, que apresentam recaídas frequentes e/ou são dependentes do tratamento com corticoide, o documento recomenda o tratamento com prednisona, ciclofosfamida e ciclosporina. Aos pacientes resistentes ao corticoide, recomenda-se o uso de ciclosporina ou tacrolimo.

Medicamentos analisados: micofenolato de mofetila e micofenolato de sódio

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde (SECTICS/MS) solicitou à Conitec, devido à atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Síndrome Nefrótica Primária em Crianças e Adolescentes, a avaliação de incorporação do micofenolato de mofetila e micofenolato de sódio para o tratamento de crianças e adolescentes com Síndrome Nefrótica Corticodependente (SNCD) e Síndrome Nefrótica com Recaída Frequente (SNRF), não respondedores aos tratamentos anteriores, associado ao corticoide.

O micofenolato de mofetila (MMF) é um medicamento que atua na regulação do sistema de defesa e possui duas derivações: o micofenolato de mofetila propriamente dito e o micofenolato de sódio (MFS). Embora o uso pediátrico dos medicamentos não esteja descrito em bula para síndrome nefrótica (uso *off label*), ambos estão previstos no Sistema Único de Saúde (SUS) para uso em crianças que fizeram transplante de fígado, rim ou coração, a fim de evitar a rejeição do órgão transplantado.

As evidências clínicas analisadas mostraram que o grupo de pacientes tratado com MMF, em comparação com aqueles tratados com ciclosporina (CsA), ambos os tratamentos associados ao corticoide, apresentou maior risco de recaídas em um ano de tratamento. Contudo, o grupo tratado com CsA apresentou maior risco de eventos adversos. De maneira geral, os dois esquemas terapêuticos não demonstraram distinção relevante em relação ao quantitativo das doses de corticoide utilizadas ao longo tempo. Ao comparar MMF e tacrolimo, também associados ao corticoide, o grupo tratado com MMF apresentou maior risco de recaídas em um ano, sem diferenças estatisticamente significativas para os outros resultados analisados.

Na avaliação econômica, foram comparados os tratamentos com MMF e CsA, ambos associados ao corticoide, considerando ciclos de seis meses de tratamento de três estados de saúde (remissão, recaída e morte) em crianças de nove até dezoito anos. A análise estimou que o uso do MMF resultaria em redução de custos, mas com perda de qualidade de vida. Por fim, a análise de impacto orçamentário indicou que a incorporação do MMF geraria uma economia de recursos de R\$ 2.741.379,64 ao SUS, ao longo de cinco anos, caso o medicamento seja incorporado.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 30/2025 esteve aberta durante o período de de 1º a 10 de abril de 2025 e recebeu três inscrições. Contudo, verificou-se que os inscritos não atendiam às especificidades desta Chamada. A Secretaria-Executiva da Conitec também realizou uma busca ativa junto a especialistas, associações de pacientes e centros de tratamento, mas não identificou um participante para este tema. Assim, não houve participação.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a incorporação, ao SUS, do micofenolato de mofetila e do micofenolato de sódio para o tratamento de crianças e adolescentes com síndrome nefrótica corticodependente e recaída frequente. Esse tema foi discutido durante a 140ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 7, 8 e 9 de maio de 2025. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou a possibilidade de oferecer alternativas terapêuticas ao tratamento padrão, de forma complementar ou em associação, para as crianças e adolescentes que não respondem ou são intolerantes aos medicamentos já disponíveis no SUS.

Dessa forma, entende-se que as contribuições recebidas durante a consulta pública poderão ajudar a compreender melhor os seguintes aspectos:

- Apresentou eventos adversos com o uso do sulfato de micofenolato de mofetila/micofenolato de sódio? Se sim, quais?
- Com o uso da tecnologia, houve redução do uso de corticoide?
- O uso de micofenolato de mofetila/micofenolato de sódio reduziu a frequência das crises?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 53, durante 20 dias, no período de 24/06/2025 a 14/07/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas seis contribuições. Todos os participantes manifestaram-se favoravelmente à incorporação das tecnologias, com argumentos relacionados à disponibilidade de alternativa terapêutica, à efetividade do medicamento, à relevância de recomendações internacionais, à melhora da qualidade de vida e à viabilidade econômica do tratamento. A efetividade foi apresentada como aspecto positivo das tecnologias em avaliação, enquanto os efeitos gastrointestinais e a dificuldade de acesso foram apontados como aspectos negativos.

Apenas os profissionais de saúde relataram experiência com outras tecnologias para a mesma condição clínica, com referência à facilidade de adesão, aos eventos adversos e à dificuldade de acesso. As contribuições técnico-científicas reforçaram as evidências clínicas apresentadas no relatório técnico e não houve contribuições para as análises econômica e de impacto orçamentário.

Recomendação final da Conitec

A 144ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 3, 4 e 5 de setembro de 2025. No primeiro dia, o Comitê de Medicamentos recomendou a incorporação, ao SUS, do micofenolato de mofetila e do micofenolato de sódio para o tratamento da síndrome nefrótica primária em crianças e adolescentes, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Para tanto, os membros do Comitê consideraram a recomendação preliminar e as contribuições da Consulta Pública.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, a secretária de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela incorporação, no âmbito do SUS, do micofenolato de mofetila e micofenolato de sódio para o tratamento da síndrome nefrótica primária em crianças e adolescentes, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível [aqui](#).