

NOTA TÉCNICA 9324**IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO**

CÂMARA/VARA: 2ª Vara Cível da Infância e Juventude

COMARCA: Belo Horizonte

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

IDADE: 03 anos

PEDIDO DA AÇÃO: SOMATROPINA

DOENÇA(S) INFORMADA(S): Q871, Síndrome de Prader-Willi

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Controle dos sintomas

REGISTRO NO CONSELHO PROFISSIONAL: CRMMG- 50787

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2026.0009324

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

Solicita a elaboração de Nota Técnica específica sobre o caso dos autos, com base nos relatórios médicos acostados, quanto à eficácia, efetividade, segurança e custo-efetividade do tratamento requerido, à luz das diretrizes da política pública do SUS.

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

RELATÓRIO MÉDICO

Trata-se de paciente de **2 anos de idade**, encaminhado à Endocrinologia Pediátrica devido ao diagnóstico de **Síndrome de Prader-Willi (SPW)**. Realiza acompanhamento desde fevereiro de 2023. O diagnóstico foi feito aos 7 meses após consulta com neurologista, e foi confirmado com a realização do **teste de metilação do exon 1 do gene SNIRF/SNRPN** - padrão compatível com Síndrome de Prader Willi.

Na sua história clínica, apresentou alterações clínicas características da síndrome, como hipotonia, dificuldade de sucção e hiporreflexia, com melhora gradual dos sintomas após trabalho intenso de estimulação. Sempre foi acompanhado por equipe multiprofissional, com grande benefício do ponto de vista neuropsicomotor e melhora substancial da coordenação, força e deglutição.

Sua família é envolvida com o tratamento e acompanhamento e sempre propiciou as melhores maneiras de estimular Hugo.

Sua avaliação endocrinológica, descrita abaixo, indica que seu **prognóstico estatural e metabólico é ruim** caso não haja uma intervenção imediata.

História familiar:

Mãe, Est 173cm, hígida.

Pai hígido, Est 185cm.

2º filho de casal não consanguíneo

Estatura-alvo: 185 cm

Ao exame físico (Junho 2024):

Peso: 10.600kg Estatura: 88.5 cm SC 0,503m2

Corado, hidratado.

Aparelhos respiratório, cardiovascular e digestivo sem alterações.

Mãos e pés pequenos.

Tireoide sem alterações.

Tanner G1P1. Testículos palpáveis.

Foi indicado tratamento com hormônio de crescimento humano para Hugo, o qual foi iniciado em julho de 2023. Foi observada boa resposta e tolerância ao tratamento, com manutenção do percentil de IMC, velocidade de crescimento normal e desenvolvimento motor com grande evolução.

Hipóteses diagnósticas:

1. Síndrome de Prader-Willi (CID10 Q87.1)

- a. **Nascida adequado para a idade gestacional**
- b. **Dificuldade de sucção melhorada**

A somatropina (hormônio GH) está disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para tratamento dos pacientes que atendem aos critérios estabelecidos pelos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Deficiência do Hormônio do Crescimento - Hipopituitarismo e da Síndrome de Turner, revisados e publicados em 2010. **Pacientes nascidos pequenos para idade gestacional (PIG) e portadores de síndromes genéticas com evidência de benefício do uso de GH devem ser avaliados**

em Centros de Referência ou por equipe técnica especializada. Os pacientes devem passar por avaliação diagnóstica e ter acompanhamento terapêutico com endocrinologistas ou pediatras, cuja avaliação periódica deve ser condição para a dispensação do medicamento. Pacientes com hipopituitarismo devem ser avaliados com relação à eficácia do tratamento e ao desenvolvimento de toxicidade aguda ou crônica. A existência de centro de referência facilita o tratamento em si, bem como o ajuste de doses, caso necessário, e o controle de efeitos adversos. A indicação indiscutível e clássica do uso do hormônio do crescimento recombinante, somatropina, é para as crianças com baixa estatura devido à sua falta.

Não existe previsão de cobertura da somatropina no rol da ANS

A Síndrome de Prader-Willi (SPW) tem origem em um distúrbio genético, não hereditário, resultante da ausência ou não expressão de genes no cromossomo 15. Ocorre em 1:15 mil a 1:30 mil nascimentos vivos, em ambos os sexos e em todas as etnias. É uma síndrome grave, complexa e que, até o momento, não tem cura.

A SPW é caracterizada, principalmente, por:

- ✓ Hipotonia
- ✓ Hipogonadismo
- ✓ Hiperfagia
- ✓ Comprometimento cognitivo
- ✓ Transtornos comportamentais
- ✓ Obesidade potencialmente fatal

A principal preocupação médica é a obesidade mórbida. Mas, por meio de diagnóstico e intervenção precoces, muitos indivíduos conseguem manter um peso saudável.

O tratamento destes pacientes com GH pode melhorar a estatura final, porém a grande contribuição do GH tem sido a melhora da composição corpórea, minimizando as consequências clínicas desta síndrome. O aspecto mais importante do tratamento é o controle do ganho excessivo de peso. Dietas hipocalóricas, medicamentos anoréticos e gastroplastias são ineficazes a longo prazo. No obeso há um aumento da produção de fator de crescimento insulina símile (IGF-I), que é produzido pelo adipócito. Já na SPW, apesar de tecido adiposo abundante, não há um estímulo adequado de produção do IGF-I. A interpretação destes dados em função da secreção do GH é complicada pela obesidade do portador da SPW, uma vez que no obeso simples exógeno os níveis de GH circulantes estão menores, porém o IGF-I é normal e os níveis de IGF-I livre são elevados. Na SPW, os níveis de IGF-I totais estão menores, o que indicaria uma situação de deficiência parcial de GH.

IV – CONCLUSÃO

- ✓ A medicação está disponível no SUS para utilização em síndromes genéticas como Prader-Willi
- ✓ A medicação solicitada está bem indicada para doença informada

V – REFERÊNCIAS:

- 1) Secretaria de Atenção à Saúde Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Portaria conjunta nº 28, de 30 de novembro de 2018. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Deficiência do Hormônio de Crescimento - Hipopituitarismo. Brasília, 2018. Disponível em: <http://portalarquivos2.saude.gov.br/images/pdf/2018/dezembro/14/PCDT-Deficiencia-do-Hormonio-de-Crescimento-Hipopituitarismo.pdf>.
- 2) Guidelines for Growth Hormone and Insulin-Like Growth Factor-I Treatment in Children and Adolescents: Growth Hormone Deficiency, Idiopathic

Short Stature, and Primary Insulin-Like Growth Factor-I Deficiency. *Horm Res Paediatr* 2016;86:361–97.

3) Grimberg A, DiVall SA, Polychronakos C, Allen DB, Cohen LE, Quintos JB, Rossi WC, Feudtner C, Murad MH, on behalf of the Drug and Therapeutics Committee and Ethics Committee of the Pediatric Endocrine Society. Guidelines for Growth Hormone and Insulin-Like Growth Factor-I Treatment in Children and Adolescents: Growth Hormone Deficiency, Idiopathic Short Stature, and Primary Insulin-Like Growth Factor-I Deficiency. *Horm Res Paediatr* 2016; 86:361-97. Disponível em: [https:// www.karger.com/Article/FullText/452150](https://www.karger.com/Article/FullText/452150).

4) Wannmacher H. Hormônio de Crescimento: Uma Panaceia. ISSN 1810-0791 Vol. 3, nº 8, Brasília, julho 2006. Disponível em: https://www.paho.org_bra/index.php?option=com_docman&view=download&alias=488-hormoniocrescimento-v-3-n-8-2005-8&category_slug=uso-racional-medicamentos-685&Itemid=965.

5) Prader-Willi syndrome: metabolic aspects related to growth hormone treatment Jack Y. Kuo; Vaê Ditchekenian; Thaís D. Manna; Hilton Kuperman; Durval Damiani; Nuvarte Setian Unidade de Endocrinologia Pediátrica, Instituto da Criança, Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo USP, SP

VI – DATA: 16/04/2026

NATJUS TJMG