

NOTA TÉCNICA: 7277**IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO****CÂMARA/VARA:** Estrela do Sul**COMARCA:** Única**I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:****IDADE:** 13 anos**PEDIDO DA AÇÃO:** Somatropina,**DOENÇA(S) INFORMADA(S):** M 89.2**FINALIDADE / INDICAÇÃO:** Transtornos do desenvolvimento e crescimento ósseo.**REGISTRO NO CONSELHO PROFISSIONAL:** CRM: 58141**NÚMERO DA SOLICITAÇÃO:** 2025.0007277**II – PERGUNTAS DO JUÍZO:**

a) O medicamento pleiteado é incorporado ou não para o tratamento específico da patologia apresentada pelo(a) paciente, conforme a documentação médica acostada aos autos?

R: Não

b) Existe registro de pedido de incorporação do medicamento requerido junto à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)?

R. No caso em tela a doença informada é M89.2, transtornos do desenvolvimento e crescimento ósseo. Neste grupo estão descritas várias patologias, inclusive gigantismo, que é excesso do hormônio do crescimento. Sem a descrição correta do distúrbio do paciente não é

possível a avaliação. Não existe indicado de bula (em anexo) de somatotropina para transtornos do desenvolvimento e crescimento ósseo. Caso positivo, informe o estágio atual do processo administrativo de análise.

c) Há possibilidade de substituição do fármaco solicitado por outro medicamento disponibilizado pelo SUS, conforme os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs) vigentes, sem comprometer a eficácia do tratamento do(a) paciente?

R: Prejudicado, não foi informado de maneira clara qual o distúrbio do paciente

d) O medicamento em questão tem evidências científicas robustas de eficácia, acurácia, efetividade e segurança para o tratamento da enfermidade, embasadas em ensaios clínicos randomizados, revisões sistemáticas ou meta-análises?

R: Prejudicado, não foi informado de maneira clara qual o distúrbio do paciente

e) À luz dos documentos médicos juntados aos autos, o medicamento postulado é imprescindível para o tratamento do(a) paciente, sem alternativa terapêutica igualmente eficaz disponível no SUS?

R: Prejudicado, não foi informado de maneira clara qual o distúrbio do paciente

Relatório Médico anexado à solicitação

6.3. INFORMAÇÕES SOBRE A NECESSIDADE DO(S) PRODUTO(S) – OPME, equipamentos, insumos e dieta nutricional

O fornecimento do(s) produto(s) é imprescindível para o tratamento do paciente?

Sim Não (). É de caráter urgente? Sim Não ()

A ausência de fornecimento do(s) produto(s) receitado(s) poderá ocasionar quais consequências seguintes ao paciente:

- () Risco de morte
- () Perda irreversível de órgãos ou funções orgânicas
- () Grave comprometimento da saúde
- (X) Outras: comprometimento de estatura final

Descrever as outras possíveis consequências ao paciente:

A utilização do(s) produto(s) eliminará o perigo das consequências e/ou sequelas?

Sim (X) Não ()

Justificar: A única forma de melhorar velocidade de crescimento é através da terapia com somatotropina.

Especificar outras informações importantes acerca da necessidade do produto(s):

Estimando sua velocidade, melhorará sua previsão estatural final, colaborando assim com seu desenvolvimento físico adequadamente.

III – CONSIDERAÇÕES E RESPOSTAS:

Transtornos do desenvolvimento e crescimento ósseo

Distúrbios hormonais

- Gigantismo: Produção excessiva de hormônio do crescimento na infância, antes do fechamento das placas de crescimento
- Acromegalia: Produção excessiva de hormônio do crescimento na idade adulta, causando deformação dos ossos
- Hipotireoidismo: Deficiência hormonal que pode causar atraso de idade óssea

Distúrbios genéticos

- Osteogênese imperfeita: Condição que causa ossos frágeis e, em alguns casos, perda da audição
- Osteopetroses: Condição hereditária que aumenta a densidade dos ossos
- Acondroplasia: Síndrome genética que impede o crescimento normal dos ossos longos

Outros distúrbios

- Displasia óssea, que pode causar deformidades, fragilidade óssea, fraturas frequentes e dor crônica
- Doença de Paget do osso, que causa ossos mais espessos, porém mais fracos do que o normal
- Tumores ósseos, que podem ser benignos ou malignos

A somatropina 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. Não está disponível para o diagnóstico de baixa estatura idiopática (BEI) como no caso em tela.

A indicação indiscutível e clássica do uso do hormônio do crescimento recombinante, somatropina, é para as crianças com baixa estatura devido à sua falta. Apesar de sua aprovação pelo FDA para casos de BE PIG, e BEI não há consenso do seu uso. Assim, o fato de que BE PIG e BEI possa ser tratada com GH não significa que deva ser necessariamente tratada em crianças definidas como normais. Nessa situação, o consenso mostra que a evidência de benefício clínico é marginal, segurança de longo prazo não é bem definida e o custo do tratamento é alto, assim a indicação de tratamento deve sempre ser reavaliada sendo a decisão final controversa e individual.

REVISÃO DE LITERATURA (dados copilados)

Controvérsias e considerações – Existem várias limitações e incertezas sobre o uso de somatotropina para crianças com , que devem ser incorporadas nas decisões sobre o tratamento individual de uma criança

- Eficácia limitada – A terapia com GH geralmente produz apenas ganhos modestos em altura em comparação com nenhum tratamento (um aumento na altura adulta de aproximadamente 4 a 6 cm), e a altura adulta geralmente estará abaixo da média apesar da terapia. Há ampla variação interindividual nos resultados de altura, incluindo nenhum aumento na altura adulta para alguns pacientes. **Embora os resultados não sejam fa-**

cilmente previsíveis, idade avançada, baixa estatura e menor estatura dos pais no início do GH estão correlacionados com menor eficácia. Quando o tratamento com GH é considerado, é fundamental que o provedor discuta expectativas realistas com a criança e a família.

•Considerações psicossociais – Entre as crianças encaminhadas para tratamento, os pais frequentemente relatam preocupações psicossociais, mas os estudos geralmente mostram autoestima, funcionamento psicossocial e qualidade de vida normais entre a maioria das crianças com BEI. Além disso, vários pequenos estudos falharam em demonstrar uma melhora na qualidade de vida com o tratamento com GH e alguns especularam que o GH poderia plausivelmente ter efeitos psicossociais adversos porque chama a atenção para sua baixa estatura. No entanto, pacientes individuais podem experimentar efeitos psicossociais prejudiciais da baixa estatura, e esforços devem ser feitos para avaliar objetivamente esse fator para cada paciente.

Cargas do tratamento – As cargas do tratamento com GH incluem altos custos e a necessidade de injeções subcutâneas, que normalmente são administradas diariamente por até uma década.

•Nossa abordagem – Sugerimos não tratar crianças com BEI com GH, a menos que haja evidências convincentes que sustentem as preocupações de consequências psicossociais adversas atuais ou futuras relacionadas à baixa estatura (Grau 2C). Essa sugestão pressupõe que os possíveis benefícios psicossociais associados a um incremento modesto no crescimento não superam o custo e a carga para a criança da terapia de longo prazo.

Decisão de tratar — Apesar da aprovação da US Food and Drug Administration, o uso de GH para crianças e adolescentes com BEI permanece
Nota Técnica nº 2025.0007277 / NATJUS – TJMG

ce controverso. As diretrizes recomendam contra o uso rotineiro de GH para todas as crianças com BEI. Em vez disso, a decisão sobre a administração de GH deve ser feita caso a caso, após uma discussão detalhada com a criança e a família. Isso ocorre porque existem várias limitações e incertezas sobre o uso da terapia com GH para crianças com BEI. Compreender essas limitações informa uma abordagem pragmática e personalizada para selecionar pacientes para terapia com GH.

- Limitações e incertezas:

- **Existem poucas evidências de que a baixa estatura tenha um efeito prejudicial consistente no funcionamento psicossocial ou físico de um indivíduo.**

A evidência disponível sugere apenas uma eficácia modesta para o tratamento com GH em crianças e adolescentes com BEI, que deve ser ponderada contra os potenciais efeitos adversos fisiológicos, psicossociais e/ou financeiros do tratamento.

- Existe uma variabilidade interindividual substancial na capacidade de resposta ao GH entre crianças com BEI, e algumas crianças provavelmente não respondem ao tratamento. Além disso, é difícil prever a capacidade de resposta ao tratamento com GH para crianças baixas típicas devido à heterogeneidade clínica e molecular da condição, critérios inconsistentes usados para a definição de BEI e doses variáveis de tratamento com GH usadas em ensaios clínicos. **Ensaio clínico tendem a inscrever crianças com baixa estatura mais grave, portanto, a resposta de crescimento relatada pode não ser generalizável para a baixa estatura menos grave observada em uma população clínica.**

Assim, ainda hoje pela literatura, a indicação do tratamento com GH na BE PIG permanece controversa e mais estudos devem ser estimulados na tentativa de responder a questões ainda pendentes sobre o crescimento, a puberdade e a resposta ao tratamento em crianças BE PIG já que não existe necessariamente doença a ser corrigida. É necessário considerar as nossas diferenças populacionais e aceitar o desafio da biodiversidade. O papel da medicina é assegurar que as crianças adquiram todas as capacidades que lhe permitam competir “normalmente” na sociedade e não transformá-las em “iguais” competidores. Uma vez que não está demonstrado, que uma maior estatura esteja necessariamente associada a modificações positivas na qualidade de vida. Intervenções não hormonais de natureza psicológica e reforço de medidas de suporte constitui um marco fundamental na abordagem destas crianças e famílias. Embora há uma atribuição, ora pela comunidade científica, ora pela sociedade em geral, de associação entre crianças de baixa estatura com maior prejuízo social e diminuição das capacidades individuais, trata-se de suposição, não cientificamente

IV – CONCLUSÃO

- ✓ A medicação está disponível no SUS para Hipopituitarismo e na Síndrome de Turner, no caso a doença informada foi M892, transtornos do desenvolvimento e crescimento ósseo. Neste grupo estão descritas várias patologias, inclusive gigantismo, que é excesso do hormônio do crescimento
- ✓ Sem a descrição correta do distúrbio do paciente não é possível a avaliação. Não existe indicado de bula (em anexo) de somatropina para transtornos do desenvolvimento e crescimento ósseo.

- ✓ A medicação não está disponível no SUS para o uso na Baixa Estatura PIG sem catch-up (BE PIG) e baixa estatura idiopática (BEI)
- ✓ O uso de GH no caso tem tela poderia trazer ganhos (caso traga algum ganho) em relação ao não tratamento uma vez que a resposta depende de vários fatores (fatores genéticos, ambientais) mas não existem evidências convincentes na literatura para indicar o uso da medicação no caso em tela
- ✓ O tratamento não é isento de riscos

V – REFERÊNCIAS:

- 1) Longui CA. Uso de GH em pacientes com baixa estatura idiopática. Arq Bras Endocrinol Metab 2008; 52(5):750-6. Disponível em: <http://www.scielo.br/pdf/abem/v52n5/06.pdf>
- 2) 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>.
- 3) Raposo F, Oliveira MJ, Cardoso H, Borges T. Uso de Hormona de Crescimento em Crianças com Baixa Estatura Idiopática. Acta Pediátrica Portuguesa 2015;46:131-4.
- 4) Boguszewski MCS. Crianças nascidas pequenas para a idade gestacional: necessidade de acompanhamento médico durante todo o período de crescimento, Arq Bras Endocrinol Metab. 2010;54/5.

5) 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.

6) Cohen P, Rogol AD, Deal CL, Saenger P, Reiter E. OJ, Ross L, Chernausk SD, Savage MO, Wit JM on behalf of the 2007 ISS Consensus Workshop participants. Consensus statement on the diagnosis and treatment of children with idiopathic short stature: A summary of the Growth Hormone Research PM Society, the Lawson Wilkins Pediatric Endocrine Society, and the European Society for Paediatric Endocrinology Workshop. *J Clin Endocrinol Metab.* 2008; 93: 4210–7. Disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/18782877>

7) 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>.

8) 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.

Literature review current through: **Feb 2023**. This topic last updated: **Feb 27, 2023**. **Authors:** [Alan D Rogol, MD, PhD](#) [Erick J Richmond, M](#) **Section Editor:** [Mitchell E Geffner, MD](#) **Deputy Editor:** [Alison G Hoppin, MD](#)

VI – DATA: 31/03/2025

NATJUS/TJMG