

NOTA TÉCNICA 6099**IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO**

CÂMARA/VARA: Vara Única

COMARCA: Morada Nova de Minas

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

IDADE: 05 anos

PEDIDO DA AÇÃO: SOMATROPINA

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

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Controle sintomas

REGISTRO NO CONSELHO PROFISSIONAL: CRMMG- 54606

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2024.0006099

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

Solicita-se parecer sobre recomendação do uso do medicamento Somatropina 12UI/ml para paciente com 5 anos de idade (DN: 01/07/2019).

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

RELATÓRIO MÉDICO

Endocrinologia Pediátrica devido ao diagnóstico de Síndrome de Prader-Willi (SPW). Realiza acompanhamento especializado desde abril de 2023. O diagnóstico foi feito aos 2 anos de vida, devido a sintomas sugestivos da síndrome: dificuldade de sucção, hipotonia e ganho de peso a partir dos 2 anos de idade. Realizou investigação molecular em 02/02/22 com teste de metilação com padrão anormal com padrão compatível com Síndrome de Prader Willi.

Em que consiste a doença?

A SPW é uma doença neurogenética causada pela perda de função dos genes de origem paterna no segmento 15q11-q13, do cromossomo 15. Descrito pela primeira vez em 1956, o distúrbio é considerado hoje a principal causa de obesidade com origem genética. Ao longo dos últimos 18 anos, pesquisas têm mostrado que a maioria das pessoas com SPW produz níveis insuficientes de hormônio do crescimento, e a terapia com o GH pode ajudar crianças com SPW a desenvolverem uma composição corporal mais próxima da normal, com mais força muscular, menos tecido gorduroso e uma chance maior de alcançar a altura ideal esperada.

A deficiência de GH é comum em pessoas com SPW e pode chegar a 40-100% dependendo do tipo de teste de estímulo usado e dos valores de corte adotado. O uso do GH na síndrome é defendido por vários grupos internacionais desde a sua aprovação pelo FDA (Food and Drug Administration) nos EUA no ano 2000 e na Europa em 2001 pela EMA (European Medicines Agency). Infelizmente, ainda não faz parte das indicações do Ministério da Saúde para tratamento pelo SUS. Sendo assim, tal medicamento não pode ser solicitado à Secretaria de Estado da Saúde de MG, pois sua indicação não se enquadra nos requisitos da Portaria 110 do Ministério da Saúde (10 de Março de 2010), que inclui na lista de indicações apenas os casos de deficiência grave de GH e Síndrome de Turner.

A

Histórico do paciente:

Na sua história clínica, apresentou e ainda apresenta alterações clínicas características da síndrome, como hipotonia, dificuldade de sucção, dificuldade de ganho de peso nos dois primeiros anos de vida, criptorquidia e atraso do desenvolvimento motor. Nasceu a termo, com baixo peso e comprimento adequado para a idade gestacional. Relato de baixa movimentação intraútero e extração laboriosa. Teve três episódios de convulsões no período neonatal. Realizou cirurgia de correção de criptorquidia e fimose.

Tem ainda diagnóstico de albinismo oculocutâneo. Realiza atividade física de forma regular e tem plano alimentar bem estabelecido, proposto por nutricionista, porém vem evoluindo com compulsão alimentar, que é característica da síndrome.

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
- ✓ Não existe previsão de cobertura da medicação no rol de procedimentos da ANS
- ✓ 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>.

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: 19/08/2025

NATJUS TJMG