

NOTA TÉCNICA

IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO

CÂMARA/VARA: 7ª Câmara Cível

COMARCA: Segunda Instância

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2025.0007730

IDADE: 06anos e 11 meses

Sexo: feminino

DOENÇA(S) INFORMADA(S): P05.1

PEDIDO DA AÇÃO: Somatropina (GH – hormônio do crescimento)

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Como opção de terapêutica farmacológica para criança baixa estatura (etiologia - PIG sem catch-up).

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

1 - No caso concreto, a autora comprovou que se enquadra na excepcionalidade descrita no Tema nº 6 do STF para concessão do medicamento Somatropina para o caso de Pequena para Idade Gestacional?

R.: O medicamento (hormônio do crescimento - GH) está contemplado no SUS através do componente especializado de assistência farmacêutica, disponibilizado sob protocolo, para tratamento de condições mórbidas específicas (Hipopituitarismo - deficiência do hormônio de crescimento e Síndrome de Turner).

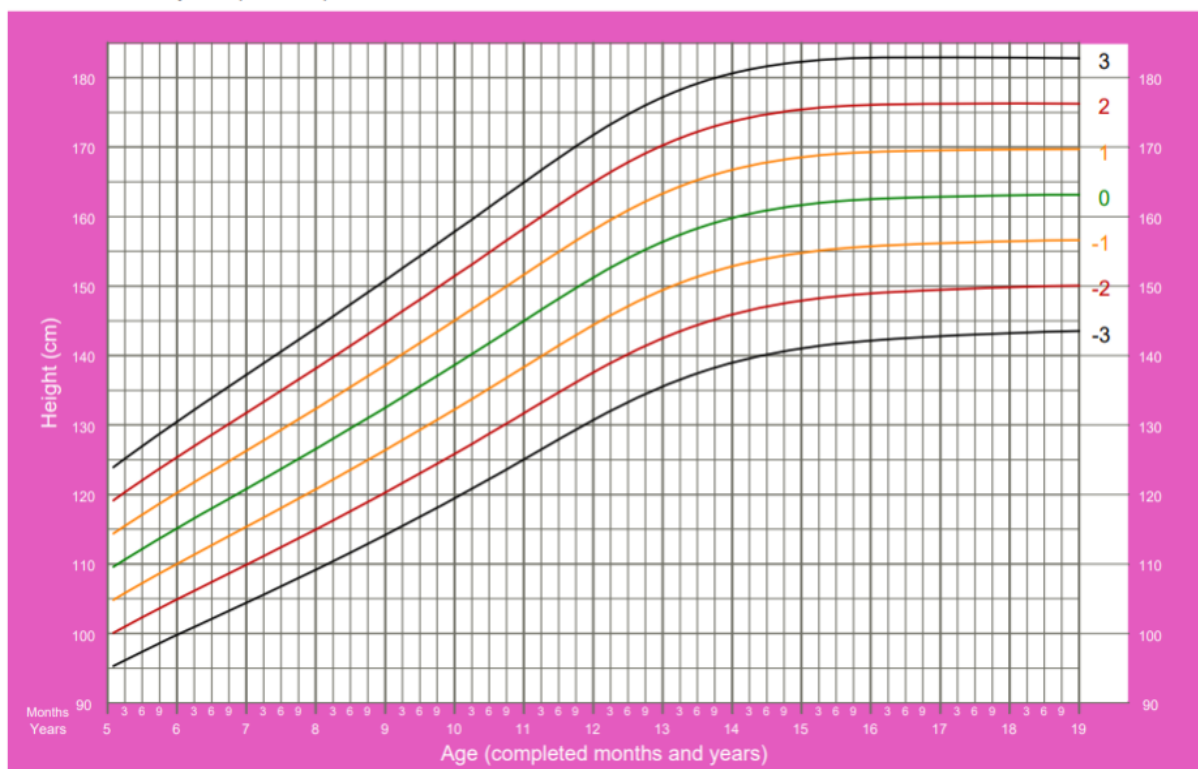
O caso concreto não se enquadra na excepcionalidade, uma vez que não é possível afirmar imprescindibilidade de uso do hormônio para a condição apresentada pela criança (gemelar, prematura, PIG sem catch-up – estatura limítrofe baixa, abaixo do canal familiar). A baixa estatura da criança não é secundária ao hipopituitarismo (deficiência do hormônio do crescimento - GH).

O uso do hormônio GH permanece controverso para crianças com baixa estatura PIG, baixa estatura idiopática (BEI), quando não há deficiência do hormônio do crescimento (GH). O fato de que a criança de baixa estatura PIG e baixa estatura idiopática possa ser tratada com GH não significa imprescindibilidade de tratamento, principalmente em indicação

individualizada para criança que se encontra entre o escore Z 0 e -1, que é a situação da criança em tela.

Height-for-age GIRLS

5 to 19 years (z-scores)



2007 WHO Reference

Fonte:

https://www.sbp.com.br/fileadmin/user_upload/sbp/2022/abril/27/OMS._Altura_para_Idade__Meninas_.5-19_anos._Em_Z_score..pdf

2 - É possível conceder o medicamento à autora com base no anexo do PCDT da Somatropina (Portaria Conjunta MS nº 28/2018) que diz dos casos especiais, descrevendo que “Pacientes nascidos pequenos para idade gestacional (PIG) e com síndromes genéticas com evidência de benefício do uso de GH devem ser avaliados em Centros de Referência ou por equipe técnica especializada.”?

R.: Não. A criança em tela não preenche os requisitos técnicos protocolares (indicação clássica consensual) para o fornecimento do hormônio do crescimento (GH). O hormônio do crescimento (GH) não está disponível no SUS para o uso na Baixa Estatura PIG sem catch-up (BE PIG) e baixa estatura idiopática (BEI).

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

Conforme a documentação apresentada trata-se de criança gemelar, prematura, com baixa estatura, PIG sem catch-up adequado nos primeiros 04 anos de vida), permanecendo com estatura limítrofe / baixa (escore $\geq - 1$), e abaixo do canal familiar, para a qual foi indicado o uso de hormônio do crescimento – GH. Consta que foi iniciado uso da somatropina em setembro/2022, com boa resposta.

A baixa estatura idiopática (BEI) é uma descrição clínica e não uma doença, e definida como uma altura abaixo do escore de - 2 desvios padrões (SDS) da média esperada para idade e sexo, ou seja, aproximadamente abaixo do percentil 2,3, na ausência de achados investigados por especialista de alterações endócrinas, metabólicas ou outras doenças que possam explicar a baixa estatura.

Em geral são crianças que se encontram abaixo do percentil dos pais e pares, apresentando velocidade de crescimento normal ou baixa, idade óssea (IO) compatível com a idade cronológica (IC) ou pouco atrasada, sendo provável que atingirão estatura final inferior à dos pais (estatura alvo familiar do inglês target height - TH) e, baixa estatura em relação à população geral e puberdade em época normal para a população geral. A baixa estatura, de modo geral, inclui um grupo heterogêneo, com três subclasses de diagnóstico: a baixa estatura familiar (BEF), o retardo constitucional do crescimento e puberdade (RCCP) e a BEI propriamente dita.

A decisão terapêutica de pacientes com BEI deve considerar diversos aspectos, entre os quais a severidade da BE, o prognóstico de estatura final, bem como os aspectos psicossociais que envolvem o paciente e sua família. Enquanto os aspectos antropométricos são facilmente determinados, a previsão da estatura final tem baixa acurácia, e é frequentemente influenciada por fatores que induzem a sub ou super estimar a estatura final. Alguns aspectos éticos importantes devem ser considerados, entre os quais a severidade da BE que justifique a indicação do tratamento. A visão dos pais sobre a possibilidade da estatura final reduzida também é muito variável,

influenciando o comportamento da própria criança e a decisão terapêutica. O impacto psicossocial exercido pela BE, principalmente da auto-estima e auto-confiança não está plenamente estabelecido, já que é muito variável entre os diferentes pacientes e existem falhas das ferramentas diagnósticas utilizadas para esse tipo de avaliação.

Os estudos disponíveis são discordantes quanto ao comportamento adaptativo de crianças com BE em resposta às pressões sociais, por exemplo, serem alvos de brincadeiras pejorativas ou receberem tratamento social infantilizado ou com baixa expectativa em virtude de sua estatura. Via de regra o aconselhamento psicológico é indicado. Vale sempre, considerar o potencial benefício para a criança e não a pressão exercida pela angústia dos pais.

Deixar claro à família e ao paciente o real impacto do tratamento sobre a estatura final, já que há um grande espectro de respostas, no qual parte dos pacientes não apresenta benefício satisfatório ao final da terapia, especialmente se a expectativa de grande incremento da estatura estiver presente. O paciente e os pais devem estar cientes de que o principal objetivo do tratamento é a obtenção da estatura final dentro da normalidade populacional e que traga conforto ao paciente na vida adulta.

A indicação formal e indiscutível do uso do GH é na terapêutica de reposição hormonal quando o paciente não produz adequadamente necessitando de sua suplementação. Portanto, a clássica e indiscutível indicação formal do uso do GH é para as crianças com baixa estatura devido à sua falta. Além da indicação clássica na deficiência hormonal, podem ser citadas outras indicações consideradas consensuais, quais sejam: baixa estatura associada à Síndrome de Turner e de Pradder-Will, nas situações de insuficiência renal crônica, e em alguns casos criteriosamente selecionados de crianças consideradas PIG, que permanecem com baixa estatura e baixa velocidade de crescimento após os 02 anos, as quais podem ser consideradas candidatas ao uso do GH. Outras indicações têm sido consideradas como relativas, discutíveis, controversas e estão no campo dos casos de deficiências hormonais parciais e/ou normalidade, as quais exigem a adoção de rigorosa e

criteriosa avaliação, que seja capaz de identificar quem efetivamente tenha indicação, em que pesem os benefícios alcançados, sejam suficientes a ponto de justificar uma terapêutica hormonal injetável, de uso diário, não isenta de riscos, e extremamente onerosa.

Os estudos disponíveis do uso do hormônio do crescimento (GH) em crianças de BEI, em geral apresentam problemas com critérios de inclusão de pacientes são muito variáveis, com grande discrepância entre a severidade da BE, a idade de início do GH, as diferentes doses de GH, os pacientes em estágios puberais distintos ou que desenvolveram a puberdade durante o tratamento, a ausência de grupos-controle adequados, entre outros aspectos. A maioria dos estudos demonstram que o tratamento com GH é capaz de aumentar a velocidade de crescimento em crianças BEI, mas maioria delas permanece com alturas abaixo das dos pares de estatura normal, com menos de 2 desvios-padrões, não havendo referência de melhoria da qualidade de vida das crianças. Existe grande número de estudos observacionais e de intervenção com GH realizados em serviços que atendem crianças e adolescentes com baixa estatura, porém, a maior parte deles apresenta divergência de aspectos críticos, que não permite a comparação entre seus resultados.

Assim, ainda hoje pela literatura, a indicação do tratamento com GH na baixa estatura – PIG e BEI 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 BEI, já que não existe necessariamente doença a ser corrigida.

A indicação indiscutível e clássica do uso do hormônio do crescimento recombinante, somatropina, é para as crianças com baixa estatura devido à sua falta. A despeito 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 baixa estatura idiopática. 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.

Vale ressaltar que não está demonstrado, que uma maior estatura esteja necessariamente associada a modificações positivas na qualidade de vida das pessoas com baixa estatura. Intervenções não hormonais de natureza psicológica e reforço de medidas de suporte constitui um marco fundamental na abordagem destas crianças e famílias.

Faz-se necessário ressaltar que a nota técnica tem por finalidade responder de forma preliminar a uma questão clínica sobre potenciais efeitos de uma tecnologia em saúde, para uma determinada condição. Para tanto, é realizada análise documental, dos fundamentos científicos e avaliação em tese da questão posta. Portanto, a conclusão “favorável” ou “desfavorável” diz respeito tão somente às evidências científicas atualizadas sobre a metodologia em foco e à indicação do seu custeio pelo poder público ou saúde suplementar, levando em consideração as opções disponíveis.

A afirmação de imprescindibilidade ou não de determinado tratamento em detrimento de outro, requer avaliação completa individualizada contextualizada. Caso o juízo entender necessária uma avaliação complementar no decorrer do processo, há a possibilidade / indicação de realização de perícia médica.

IV – REFERÊNCIAS:

1) Portaria Conjunta Nº 28, de 30 de novembro de 2018. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Deficiência do Hormônio de Crescimento – Hipopituitarismo.

[https://www.gov.br/conitec/pt-](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2018/recomendacao/relatorio_pcdt_deficienciadohormoniiodocrescimento_351.pdf)

[br/midias/relatorios/2018/recomendacao/relatorio_pcdt_deficienciadohormoniiodocrescimento_351.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2018/recomendacao/relatorio_pcdt_deficienciadohormoniiodocrescimento_351.pdf)

2) Roteiros de Pediatria.

<https://www.roteirosdepediatria.com/c%C3%B3pia-curvas-de-crescimento>

3) Curvas internacionais de crescimento para

crianças nascidas pré-termo (meninas).

https://www.sbp.com.br/fileadmin/user_upload/2016/09/InterGrowth.Prematuros.Meninas.pdf

4) Crescimento da Criança de zero a 5 anos.

https://www.saude.pr.gov.br/sites/default/arquivos_restritos/files/documento/2020-04/crescimento.pdf

https://www.sbp.com.br/fileadmin/user_upload/sbp/2022/abril/27/OMS._Altura_para_Idade__Meninas_.5-19_anos._Em_Z_score..pdf

5) Curvas de crescimento. Orientações para profissionais de Saúde. Fiocruz. www.portaldeboaspraticas.iff.fiocruz.br

<file:///C:/Users/f0263285/Downloads/curvascrescinterpretcsc.pdf>

6) 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>

7) Grimberg A, Kanter GP. US Growth Hormone Use in the Idiopathic Short Stature Era: Trends in Insurer Payments and Patient Financial Burden. J. Endocr. Soc. 2019;3(11):2023–31. Disponível em:

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6795021/pdf/js.2019-00246.pdf>.

8) 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. Disponível em: <http://www.scielo.br/pdf/abem/v54n5/01.pdf>.

9) 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/Pdf/452150>.

10) 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 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>

11) 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>.

12) 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-hormonio-crescimento-v-3-n-8-2005-8&category_slug=uso-racional-medicamentos-685&Itemid=965 .

13) Grimberg A, Allen DB. Growth hormone treatment for growth hormone deficiency and idiopathic short stature: new guidelines shaped by the presence and absence of evidence. *Curr Opin Pediatr.* 2017;29(4):466-71. doi: 10.1097/MOP.0000000000000505.

Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28525404/>

14) Treatment of growth hormone deficiency in children. 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

V – DATA:

02/06/2025

NATJUS – TJMG