

# Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

## NOTA TÉCNICA

### IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO

**SOLICITANTE:** MM. Juiz de Direito Dr. Espagner Wallyssen Vaz Leite

**PROCESSO Nº.:** 512190015960

**SECRETARIA:** Juizado Especial Cível e Criminal

**COMARCA:** Pirapora

### I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

**REQUERENTE:** A. C. O.

**IDADE:** 09 anos

**PEDIDO DA AÇÃO:** Medicamento Saizen 12mg/1,5mli

**DOENÇA(S) INFORMADA(S):** K 3 E 10 E 34.4

**FINALIDADE / INDICAÇÃO:** Doença celíaca

**REGISTRO NO CONSELHO PROFISSIONAL:** CRM: 25.266

**NOTA TÉCNICA:** NT 2017.0001106

**II – PERGUNTAS DO JUÍZO:** 1) O medicamento solicitado (Saizen 12mg) é aprovado pela Anvisa? 2) O medicamento solicitado está incluído na lista do RENAME dentre os componentes básicos da assistência farmacêutica? 3) Em caso negativo, há protocolo para inclusão na lista de medicamentos de alto custo para o tratamento da moléstia do solicitante? 4) O medicamento e os suplementos pretendidos pela autora são produzidos-fornecidos por empresa sediada no País ou dependem de importação? 5) Qual o prazo necessário para o seu fornecimento? 6) Qual o custo médio do medicamento e suplemento requeridos? 7) Existem medicamentos e suplementos similares aos requeridos pela autora fornecidos pela rede pública? 8) Existe alguma outra observação a ser feita?

### III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

Dados do caso conforme documentos médicos pediátricos, datados de 21/08/2018 e 13/03/2019, trata-se de ACO, **09 anos** com diagnóstico de

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

**baixa estatura idiopática, apresentando as seguintes classificações pelo CID E10 Diabetes mellitus insulino-dependente e E 34.4 Alta estatura constitucional. Tem receitas de Saizen 1,5 e 1,6 mg diariamente a noite antes de deitar e solicitação ao Componente Especializado de Assistência Farmacêutica de negativa do fornecimento dessa medicação para os CID apresentados.**

Vale ressaltar que **não há relação do diagnóstico citado com o CID E 34.4 Alta estatura constitucional que são categoricamente opostos, além de não haver evidências no documentos apresentados de história clínica do paciente e medidas efetivas já implementadas para seu tratamento e tão pouco do CID apresentado na solicitação dessa nota K 03 como Doença celíaca e que representa outras doenças dos tecidos dentários duros.**

**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-se 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. Na prática, uma parcela substancial de casos apresenta elementos comuns a mais de uma subclasse diagnóstica. Isso se deve ao fato de existir um espectro de variação

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

na estatura dos pais, na maturação óssea e no momento de início e rapidez evolutiva do evento puberal. Na BEI

as crianças são mais baixas do que seus pares por razões desconhecidas ou hereditárias, tiveram tamanho normal para a idade gestacional ao nascer, apresentam velocidade de crescimento normal ou baixa, têm proporções corporais normais e não apresentam doenças crônicas ou deficiência endócrina, principalmente defeito de secreção de hormônio de crescimento (GH, do inglês growth hormone), além de se mostrar bem adaptada psicologicamente. Apesar de muito enfatizada, a relação da BEI e psicopatologia verdadeira é rara. A BEI pode ser um fator de risco para problemas psicossociais, mas não pode ser relacionada como fator causal.

O diagnóstico de BEI deve ser de exclusão, considerando-se a história clínica cuidadosa e o exame físico detalhado que inclua dados antropométricos, como estatura, peso, IMC e relação entre os seguimentos superior e inferior, também evidenciada pela relação da estatura sentada em comparação à estatura do paciente. São ainda necessários exames laboratoriais de triagem, como hemograma, VHS, proteínas totais e frações, creatinina, cálcio, fósforo e fosfatase alcalina, gasometria venosa, enzimas hepáticas, anticorpos antitransglutaminase ou antiendomísio, cariótipo, T4, TSH, IGF-1 e IO. Em casos específicos, o diagnóstico de BEI poderá requerer o diferencial com a insuficiência hipofisária, quando os testes de estímulo do GH e a ressonância nuclear magnética (RNM) hipotálamo-hipofisária poderão ser necessários. Quando um dos pais é baixo, deve-se admitir a possibilidade da presença de doença hereditária de caráter dominante. É possível que, no futuro, a disponibilidade de estudos moleculares possa permitir o reconhecimento de alterações gênicas que isoladamente ou em conjunto determinem a perda estatural. Com isso, pacientes que hoje são classificados como portadores de BEI passarão a ter o diagnóstico etiológico conhecido.

**A decisão terapêutica de pacientes com BEI deve considerar diversos aspectos, entre os quais a severidade da BE, o prognóstico de**

---

## **Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais**

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

**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 superestimar 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 estatural 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.

Uma vez afastadas outras causas de baixa estatura, o tratamento com GH pode ser indicado. Esse hormônio é um polipeptídeo produzido e secretado por células especializadas da hipófise anterior e tem por principal

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

função a promoção do crescimento e do desenvolvimento corporal. É indispensável durante o período de crescimento e sem ele a estatura adulta normal não pode ser alcançada. Além disto, participa da regulação do metabolismo de proteínas, lipídios e carboidratos. A sua forma sintética é chamado de **somatropina humana recombinante nome comercial Saizen** ou **hormônio do crescimento humano recombinante**, produzido laboratorialmente desde 1985, inicialmente, como fármaco para promover crescimento em **situações de insuficiência do hormonal e em situações não patológicas**. 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.

A despeito do uso de GH em pacientes com BEI, ter sido aprovado pelo Food Drug Administration (FDA) em 2003, pelos motivos já citados sua indicação permanece controversa até a atualidade. Via de regra a

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

variabilidade de resposta é grande, incluindo indivíduos que não respondem e o ganho médio estimado na altura adulta final é de aproximadamente 4 a 6 cm (2,3-8,7 cm). Assim o uso de GH em crianças normais na prática médica, visando uma maior altura deve ser contrabalançado com riscos e custo. Por vários estudos, evidencia-se eficácia que deve ser comparada à de outras alternativas ou a não-tratamento, para definir o benefício clínico real. A questão de riscos não é absoluta, levando em conta se eles são aceitáveis em face da gravidade da condição a ser tratada. Na BEI não há doença, a morbidade decorrente é escassa e a qualidade de vida não parece ser afetada pela baixa estatura. Quando se considera o custo, ele se mostra muito alto, já que para cada 2,54 cm ganhos na idade adulta correspondem a mais de 35.000 dólares. Considerar que essas crianças devam receber injeções de GH pode significar assumir que baixa estatura seja uma doença e que conduza a discriminação social. Além de benefício mostrar-se marginal, desconhecem-se efeitos adversos de longo prazo, porém é descrito a piora da escoliose da coluna vertebral.

**Os estudos disponíveis do uso de 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

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

deles apresenta divergência de aspectos críticos, que não permite a comparação entre seus resultados.

Embora a decisão seja sempre difícil pela presença dos diversos aspectos já citados é necessário que tanto o médico quanto a família tenha ciência de que a precocidade com que o tratamento seja instituído é fator importante de sua eficiência. **Revisões recentes demonstram que o início precoce do tratamento com GH, bem como o uso de doses iniciais mais elevadas parecem ser críticas na obtenção de resposta terapêutica mais adequada.** Diversos fatores são determinantes da resposta terapêutica ao uso de GH em pacientes com BEI, incluindo substancial variação na sensibilidade entre os indivíduos. Entre os **principais fatores que determinam a amplitude de resposta ao GH, durante o primeiro ano de tratamento, pode-se destacar a idade cronológica ao início do GH** (melhor quanto menor a IC), a **dose do GH** (melhor quanto maior a dose) e a **severidade da baixa estatura em relação a estatura final para idade** (melhor resposta quanto mais abaixo for a estatura). **A resposta terapêutica em longo prazo é influenciada pelos mesmos fatores, adicionados da TH** (melhor resposta quanto maior o TH). Alguns fatores como a idade puberal, permitem identificar os casos de maior ou menor potencial de resposta clínica ao tratamento com GH, e assim, influenciam a decisão do uso de GH. São mais propensos a apresentarem boa resposta os pacientes com BEI, estatura alvo familiar normal e atrasos das IO e IC e puberal do que aqueles com BEI, histórico de estatura familiar baixa, IO compatível com a IC e puberdade em idade inferior à média populacional (11 e 12 anos na menina; 12 e 13 anos no menino). A tentativa de tratamento da BEI com GH em pacientes já em plena fase puberal apresenta baixa eficiência. Vários estudos realizados nesta fase propõem a associação de bloqueadores da puberdade, como os GnRH agonistas de ação prolongada e/ ou inibidores da aromatase. O bloqueio puberal com os GnRHa, especialmente os de depósito, são

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

eficazes no controle da progressão puberal, permitindo maior tempo de uso de GH. Sua eficácia em promover ganho estatural satisfatório é maior quando iniciado nas fases precoces do desenvolvimento puberal, adicionando ganho médio de 4 a 5 cm na estatura final. Maior tempo de uso do GH está habitualmente relacionado a maior ganho na estatura final. Porém, o prolongamento da terapia com GH acima de determinado ponto passa a ser de pouco benefício e adiciona custos e riscos desnecessários, podendo ainda gerar crescimento desproporcional das extremidades e risco de processo compressivo de nervos periféricos distais. A velocidade de crescimento (VC) inferior a 2 cm/ano tem sido um limitante para a continuidade do uso de GH, habitualmente presente em meninas com IO superior a 14 anos ou meninos com IO superior a 16 anos.

Assim, ainda hoje **pela literatura, a indicação do tratamento com GH na 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.** 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

---

## **Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais**

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

comprovada.

**A rede pública disponibiliza a somatropina, através de protocolo para pacientes portadores de hipopituitarismo (deficiência do hormônio); não há previsão de fornecimento regular para o quadro apresentado pelo requerente, BEI.**

**Conclusão:** o caso em tela trata de adolescente de 09 anos com diagnóstico de baixa estatura idiopática e CID apresentando E 34.4 Alta estatura, requerendo terapia com hormônio de crescimento. Vale ressaltar que não há relação do diagnóstico citado com o CID E 34.4 Alta estatura constitucional que são categoricamente opostos, além de não haver evidências no documentos apresentados de história clínica do paciente e medidas efetivas já implementadas para seu tratamento e tão pouco do CID apresentado na solicitação dessa nota K 03 como Doença celíaca e que representa outras doenças dos tecidos dentários duros.

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 BEI, não há consenso do seu uso **em crianças consideradas BEI.** Assim, o fato de que **BEI possa ser tratada com GH não significa que deva ser necessariamente tratada em crianças definidas como normais.** Nessa situação, o consenso mostrar 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.**

**O SUS disponibiliza o hormônio do crescimento através de protocolo para pacientes portadores de hipopituitarismo; não havendo previsão de fornecimento regular para o quadro apresentado pelo requerente, BEI.**

Vale ressaltar que não **está demonstrado, que uma maior estatura**

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

**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.**

### **IV – 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. Disponível em:
- 6) Cohen P, Rogol AD, Deal CL, Saenger P, Reiter E. OJ, Ross L, Chernausek 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

---

## Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette  
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

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-hormonio-crescimento-v-3-n-8-2005-8&category\\_slug=uso-racional-medicamentos-685&Itemid=965](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).

### V – DATA:

12/04/2019 NATJUS – TJMG