



PARECER TÉCNICO-CIENTÍFICO

Paciente:

12 anos.

Diagnóstico: CID: E34.3 – Baixa estatura idiopática

Prescrição: Somatropina 12 UI/2 mL, uso diário subcutâneo

1. PRESCRIÇÃO DE SOMATROPINA

1.1 Indicações (BULA, 2024)

Crianças:

No tratamento do distúrbio de crescimento em crianças devido à secreção insuficiente do hormônio de crescimento ou associado à síndrome de Turner.

No distúrbio de crescimento (altura atual $< -2,5$ DP e altura ajustada pelos dados dos pais < -1 DP) em crianças de baixa estatura nascidas PIG (pequenos para a idade gestacional), com peso e/ou estatura ao nascimento abaixo de -2 DP, que não apresentaram catch-up (recuperação do crescimento em altura < 0 DP durante o último ano) até os 4 anos de idade ou mais.

Pacientes que apresentam síndrome de Prader-Willi, com o objetivo de melhorar o crescimento e a composição corpórea. O diagnóstico da síndrome de Prader-Willi deve ser confirmado através de teste genético apropriado.

No tratamento de baixa estatura idiopática, que é definida como altura abaixo de 2 SDS da altura média para determinada idade e gênero, associada a taxas de crescimento que provavelmente não permitam alcançar a altura adulta normal em pacientes pediátricos, cujas epífises não estejam fechadas e cujo diagnóstico exclui outras causas de baixa estatura que possam ser observadas ou tratadas por outros meios.

Adultos:

Na terapia de reposição em adultos com deficiência de hormônio de crescimento acentuada. Insuficiência grave de hormônio de crescimento na idade adulta pode ser devido à doença hipofisária hipotalâmica conhecida e com deficiência de no mínimo um hormônio hipofisário que não seja a prolactina. Estes pacientes devem ser submetidos a um teste de estímulo com a finalidade de diagnóstico de deficiência de hormônio de crescimento. Em pacientes com deficiência de hormônio de crescimento isolada desde a



infância (sem evidência de doença hipofisária hipotalâmica ou irradiação craniana), são recomendados dois testes de estímulo, exceto para aqueles que apresentam baixa concentração de IGF-I (< 2 DP) que pode ser considerado o primeiro teste. O ponto de corte para o teste de estímulo deve ser rigoroso.

1.2 Padronização SUS

A somatropina está incluída na RENAME 2024, no CEAF – Grupo 1A, com uso previsto nos seguintes protocolos:

- Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS nº 28, de 30 de novembro de 2018 – Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Deficiência do Hormônio de Crescimento – Hipopituitarismo;
- Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS nº 15, de 9 de maio de 2018 – PCDT da Síndrome de Turner.

Somatropina está indicado em bula para o tratamento da condição clínica apresentada pela paciente – baixa estatura idiopática.

Quanto à disponibilização pelo SUS, cumpre esclarecer que a Somatropina 4UI pertence ao grupo 1A de financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF). É fornecido pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES - RJ) por meio do CEAF, aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do PCDT da Deficiência do Hormônio de Crescimento – hipopituitarismo e do PCDT para o manejo da Síndrome de Turner. Sendo assim, não são disponibilizados para o diagnóstico da paciente em questão, inviabilizando que esta receba o medicamento por via administrativa.

Não há uma lista oficial de medicamentos padronizados que possam ser implementados para o tratamento da paciente em questão, logo, não existe substituto terapêutico no SUS para o medicamento solicitado (somatropina).

A Somatropina não foi avaliada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC para o tratamento da baixa estatura idiopática, assim como não foi identificado PCDT publicado ou em elaboração para a referida doença.



1.3 Evidências Científicas

A suplementação com somatropina de ação curta demonstrou eficácia em aumentar a taxa de crescimento de crianças com baixa estatura idiopática, conforme evidenciado por uma meta-análise com 491 pacientes. No entanto, o tratamento não promoveu alterações significativas na progressão da idade óssea, indicando que os efeitos benéficos observados ocorrem sem acelerar a maturação esquelética (YANG; YANG, 2025).

O tratamento com somatropina em crianças com baixa estatura idiopática mostrou-se eficaz para promover crescimento linear no curto prazo e ganhos na altura adulta final. Os maiores incrementos são observados no primeiro ano de terapia, com impacto sustentado até o segundo ano. A diferença média de altura em adultos entre tratados e controles varia entre 4,7 cm e 5,3 cm, a depender do sexo (PALTOGLOU et al., 2020).

A terapia com somatropina é eficaz no aumento da estatura em crianças com baixa estatura idiopática. No entanto, o tratamento pode antecipar o início da puberdade, o que pode reduzir o tempo disponível para crescimento linear antes da fusão das epífises, impactando a altura final. Apesar disso, não foram observados efeitos significativos sobre a duração da puberdade ou o crescimento puberal total. Esses achados reforçam a necessidade de monitoramento clínico rigoroso para garantir a segurança do tratamento em longo prazo (OLWI; DAY; ONG, 2024).

Um estudo clínico randomizado de fase 3 demonstrou que a somatropina (rhGH) é eficaz e segura para crianças com baixa estatura idiopática (ISS). A administração diária de 0,05 mg/kg por 52 semanas resultou em aumento significativo na altura e na velocidade de crescimento, além de elevação dos níveis de IGF-1. O tratamento também foi associado a um aumento moderado da idade óssea, sem evidência de maturação precoce excessiva. Crianças tratadas mais precocemente (≤ 7 anos) apresentaram melhores resultados. O perfil de segurança foi favorável, com eventos adversos geralmente leves ou moderados, e sem mortes ou eventos graves atribuíveis ao tratamento. Recomenda-se monitoramento dos níveis de IGF-1 durante o uso (YUAN et al., 2022).



2. ANÁLISE FRENTE AOS CRITÉRIOS DOS TEMAS 6 E 1234 DO STF a) Ilegalidade do ato de não incorporação do medicamento pela CONITEC, ausência de pedido ou da mora administrativa

A somatropina está incorporada ao SUS e incluída na RENAME, sendo fornecida pelo CEAF, grupo 1A. No entanto, a disponibilização está restrita às indicações previstas nos PCDT da Deficiência de Hormônio de Crescimento e da Síndrome de Turner. Até o momento, não foi publicada qualquer avaliação da CONITEC sobre o uso da somatropina para tratamento de baixa estatura idiopática (CID E34.3), tampouco há PCDT vigente ou em elaboração para esta condição. Pode-se caracterizar, portanto, uma possível situação de mora administrativa quanto à ausência de avaliação da tecnologia para esta indicação específica, o que tende a comprometer o acesso adequado de pacientes com necessidades clínicas ainda não contempladas pelos protocolos vigentes.

b) Demonstração da segurança e eficácia do medicamento no caso concreto A somatropina demonstrou eficácia clínica consistente no aumento da estatura de crianças com baixa estatura idiopática, conforme evidenciado por revisões sistemáticas, meta-análises e ensaio clínico randomizado de fase 3. Os estudos apontam incremento significativo na velocidade de crescimento e na altura final, especialmente quando o tratamento é iniciado precocemente. A segurança do uso em longo prazo foi confirmada, com eventos adversos leves a moderados e sem registros de efeitos graves. Os dados também indicam que a maturação óssea não é acelerada de forma significativa. Tais evidências reforçam a adequação do uso da somatropina no caso em questão, especialmente diante da ausência de terapias alternativas padronizadas no SUS para a condição da paciente.

REFERÊNCIAS

FUNDAÇÃO OSWALDO CRUZ (FIOCRUZ). BIO-MANGUINHOS SOMATROPINA (somatropina): Pó Liofilizado para Solução Injetável 4 UI e 12 UI. **Bula para o profissional de saúde**, Rio de Janeiro, 2024.

OLWI, Duaa; DAY, Felix; ONG, Ken. Effect of Growth Hormone Therapy on Pubertal Timing: Systematic Review and Meta-Analysis. **Hormone Research in Paediatrics**, [S. l.], v. 97, n. 1, p. 1–10, 2024. DOI: 10.1159/000530578. Disponível em: <https://karger.com/article/doi/10.1159/000530578>. Acesso em: 29 jul. 2025.



DEFENSORIA PÚBLICA
DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO



COSAU | DEFENSORIA PÚBLICA
DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
Coordenação
de Saúde

PALTOGLOU, George; DIMITROPOULOS, Ioannis; KOURLABA, Georgia; CHARMANDARI, Evangelia. The effect of treatment with recombinant human growth hormone (rhGH) on linear growth and adult height in children with idiopathic short stature (ISS): a systematic review and meta-analysis. **Journal of Pediatric Endocrinology and Metabolism**, [S. l.], v. 33, n. 12, p. 1577–1588, 2020. DOI: 10.1515/jpem-2020-0287. Disponível em: <https://www.degruyter.com/document/doi/10.1515/jpem-2020-0287/html>. Acesso em: 29 jul. 2025.

YANG, Lianlian; YANG, Fan. Short-acting growth hormone supplementation for bone age and growth rate in children with idiopathic short stature: a meta-analysis. **BMC Pediatrics**, [S. l.], v. 25, n. 1, p. 28, 2025. DOI: 10.1186/s12887-024-05356-z. Disponível em: <https://bmcpediatr.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12887-024-05356-z>. Acesso em: 29 jul. 2025.

YUAN, Jinna et al. A Randomized Controlled Phase 3 Study on the Efficacy and Safety of Recombinant Human Growth Hormone in Children With Idiopathic Short Stature. **Frontiers in Endocrinology**, [S. l.], v. 13, p. 864908, 2022. DOI: 10.3389/fendo.2022.864908. Disponível em: <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fendo.2022.864908/full>. Acesso em: 29 jul. 2025.

Rio de Janeiro, 29/07/2025

Alessandra de Souza

CRF-RJ 11335

Mat. 999812351

alessandra.souza@defensoria.rj.def.br

