Nota Técnica 472341

Data de conclusão: 26/02/2026 11:52:21

Paciente

Idade: 16 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Porto Alegre/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 2° Núcleo de Justiça 4.0 - RS

Tecnologia 472341

CID: Q87.1 - Síndromes com malformações congênitas associadas predominantemente com nanismo

Diagnóstico: síndromes com malformações congênitas associadas predominantemente com nanismo (Q87.1)

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Laudo médico

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo:

SOMATROPINA

Via de administração: SC

Posologia: somatropina 4 UI/ml, diluir 1 frasco em 1 ml de diluente e aplicar 0,6 ml (60UI na seringa de insulina) subcutâneo à noite, todas as noites - corresponde a 2,4 UI de somatropina por dia.

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Não

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: SOMATROPINA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Não há.

Existe Genérico? Sim

Existe Similar? Sim

Descrever as opções disponíveis de Genérico ou Similar: Vide CMED

Custo da Tecnologia

Tecnologia: SOMATROPINA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: SOMATROPINA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: SOMATROPINA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O hormônio do crescimento (do inglês, growth hormone ou GH) é um polipeptídio produzido e secretado por células especializadas localizadas na hipófise anterior, cuja principal função é a promoção do crescimento e desenvolvimento corporal; além disso, participa da regulação do metabolismo de proteínas, lipídeos e carboidratos. O hormônio do crescimento humano recombinante (somatropina) está disponível desde 1985, logo após o GH de hipófises humanas cadavéricas ter sido retirado de uso devido à sua associação com a transmissão da doença de Creutzfeldt-Jakob (3). A somatropina é produzida pela tecnologia do DNA recombinante e possui uma sequência idêntica à do GH humano (5).
Não foram encontradas revisões sistemáticas ou ensaios clínicos randomizados que avaliaram o tratamento com somatropina em pacientes com síndrome de Silver-Russell. As evidências científicas sobre este tratamento nesta condição clínica são majoritariamente oriundas de séries de casos e estudos observacionais.
Uma estudo de coorte, que incluiu 26 pacientes com SRS, teve como objetivo avaliar o efeito do tratamento em longo prazo com hormônio de crescimento (GH) na altura final (FH) (6). Todos os pacientes eram pré-púberes no início do tratamento. Eles receberam tratamento com GH humano biossintético por 9,8 anos (mediana) e todos atingiram FH. A altura mediana no início do tratamento foi de -2,7 desvios padrão e aumentou para -1,3 desvio padrão (P=0,001). Contudo, a FH não atingiu a altura alvo (-0,90 desvio padrão, P=0,003). O modelo de predição geral foi responsável por 67,6% do ganho de altura. Estes resultados devem ser vistos com cuidado, uma vez que não havia grupo comparador.
Um segundo estudo objetivou comparar as alturas adultas de pacientes tratados com GH e não tratados com GH com síndrome de Silver-Russell (SRS) que foram epigenotipados (7). Este foi um estudo retrospectivo não randomizado com controles pareados em um único centro. A análise molecular de 32 dos 37 pacientes tratados com GH (16 mulheres) revelou epimutações de IGF2-H19 em 12 e dissomia uniparental materna do cromossomo 7 (matUPD7) em 5 pacientes; 15 foram negativos. No início do GH, a idade média era de 7,2 anos e a altura média era de -3,34 desvio padrão (SDS). A dose média de GH utilizada foi de 51 µg/kg·dia, a duração média da terapia foi de 5,6 anos. A puberdade foi bloqueada por análogos do GnRH em 16 pacientes. O grupo não tratado compreendeu 13 indivíduos (5 mulheres, idade média de 6,8 anos e altura média -3,34 SDS). Os desfechos finais foram a altura adulta e o ganho geral de altura. Os pacientes tratados com GH atingiram uma altura adulta de -2,12 ± 0,98 SDS, ganhando 1,22 SDS em comparação com a linha de base. O SDS da altura adulta dos não tratados foi de -3,13 ± 1,37 SDS. Os pacientes tratados correspondentes eram significativamente mais altos do que os seus homólogos não tratados. O resultado dependeu da altura no início do GH e da duração da terapia. O ganho de altura foi maior nos pacientes mais baixos.
Um terceiro estudo avaliou altura, índice de massa corporal (IMC) e tratamento com GH em

SRS confirmada molecularmente (8). Trata-se de um estudo observacional, retrospectivo, no qual foram incluídos 71 indivíduos (40 mulheres). A mediana de idade foi de 22,0 anos (variação de 13,2 a 69,7). O tratamento com GH ocorreu em 77,5% (55/71). O ganho total de altura foi maior no grupo tratado com GH: ganho mediano 1,53 SDS (desvio padrão de altura) vs. 0,53 SDS (P=0,007). O SDS de altura precoce foi menor no grupo tratado com GH do que no grupo não tratado com GH (-3,46 SDS vs. -2,91 SDS, P=0,04). Entretanto, ambos os grupos alcançaram alturas finais comparáveis ??(-2,22 SDS vs. -2,74 SDS, P=0,7). Em indivíduos tratados com GH, o SDS de IMC foi menor na avaliação mais recente (mediana -1,10 vs. 1,66, P=0,002) com menor ganho de IMC (2,01 vs. 3,58, P=0,006), apesar de SDS de IMC inicial semelhante ao GH-indivíduos não tratados (mediana -2,65 vs. -2,78, P=0,3).
Conforme descrito no consenso internacional sobre a síndrome de Silver-Russell, a condição está associada à redução significativa da altura adulta final. Pacientes com SRS foram incluídos nos ensaios clínicos que fundamentaram a indicação de hormônio de crescimento para crianças nascidas pequenas para a idade gestacional (SGA), nos quais foi demonstrada resposta satisfatória em crescimento e incremento na altura adulta prevista. Estudos longitudinais subsequentes indicam que pacientes com SRS podem apresentar resposta ao GH semelhante à observada em crianças SGA não sindrômicas, embora a altura adulta final permaneça inferior, sugerindo possível benefício em parâmetros de crescimento, porém com magnitude variável (2).

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Anual
SOMATROPINA	4 UI PO LIOF CT365 FA VD INC + DIL BACTERIOSTATICO X 1ML		R$ 55,08	R$ 20.104,20

* Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) no Rio Grande do Sul (ICMS 17%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, PMVG = PF*(1-CAP). O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.
A somatropina é produzida por diversas indústrias farmacêuticas e está disponível para comercialização sob vários nomes comerciais. Baseado na prescrição apresentada pela parte autora (Evento 89, RECEIT4, Página 2), foi selecionado na tabela CMED em fevereiro de 2026 o representante com menor custo que atendesse a posologia prescrita.
Não foram localizados estudos de avaliação econômica sobre o tratamento com somatropina em pacientes com síndrome de Silver Russel.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Possível ganho em parâmetros de estatura, com magnitude incerta, tendo em vista que as evidências disponíveis são exclusivamente observacionais, heterogêneas e metodologicamente limitadas.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: SOMATROPINA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: O tratamento com hormônio de crescimento é descrito em diretrizes e consensos internacionais como componente relevante no manejo da síndrome de Silver-Russell, estando associado a melhora de parâmetros de crescimento, velocidade de crescimento e composição corporal. Estes possíveis benefícios são oriundos de resultados de estudos observacionais e de seguimento longitudinal que sugerem que pacientes com SRS podem apresentar resposta ao GH, particularmente quando iniciado precocemente.
Cabe ressaltar que as evidências científicas disponíveis são predominantemente oriundas de estudos observacionais, sem ensaios clínicos randomizados especificamente conduzidos nessa população, o que limita a estimativa precisa da magnitude do benefício e a previsibilidade dos desfechos em nível individual. Os resultados descritos na literatura são heterogêneos, e a altura adulta final frequentemente permanece inferior, mesmo em pacientes tratados.
No caso em análise, diante das limitações metodológicas das evidências disponíveis e da variabilidade esperada na resposta terapêutica, não é possível afirmar, com grau adequado de segurança, que o tratamento pleiteado resultará em benefício clínico objetivo e mensurável para a parte autora. Ainda cabe destacar que a maioria dos estudos foi feito em populações pré púberes, diferente da parte autora.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas: 1. Smeets CC, Zandwijken GR, Renes JS, Hokken-Koelega AC. Long-Term Results of GH Treatment in Silver-Russell Syndrome (SRS): Do They Benefit the Same as Non-SRS Short-SGA? J Clin Endocrinol Metab. 2016 May;101(5):2105-12.
2. Wakeling EL, Brioude F, Lokulo-Sodipe O, O'Connell SM, Salem J, Bliek J, Canton AP, Chrzanowska KH, Davies JH, Dias RP, Dubern B, Elbracht M, Giabicani E, Grimberg A, Grønskov K, Hokken-Koelega AC, Jorge AA, Kagami M, Linglart A, Maghnie M, Mohnike K, Monk D, Moore GE, Murray PG, Ogata T, Petit IO, Russo S, Said E, Toumba M, Tümer Z, Binder G, Eggermann T, Harbison MD, Temple IK, Mackay DJ, Netchine I. Diagnosis and management of Silver-Russell syndrome: first international consensus statement. Nat Rev Endocrinol. 2017 Feb;13(2):105-124.
3. BRASIL. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Deficiência do Hormônio de Crescimento - Hipopituitarismo. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Protocolos/PCDT_DeficienciadoHormoniodeCrescimento_2018.pdf
4. BRASIL. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Síndrome de Turner. Disponível em https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/pcdt/arquivos/2018/pcdt_sindrome_de_turner.pdf
5. Grimberg A, DiVall SA, Polychronakos C, Allen DB, Cohen LE, Quintos JB, et al. 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(6):361–97.
6. Toumba M, Albanese A, Azcona C, Stanhope R. Effect of long-term growth hormone treatment on final height of children with Russell-Silver syndrome. Horm Res Paediatr.

2010;74(3):212-7. Epub 2010 Apr 29.
7. Binder G, Liebl M, Woelfle J, Eggermann T, Blumenstock G, Schweizer R. Adult height and epigenotype in children with Silver-Russell syndrome treated with GH. Horm Res Paediatr. 2013;80(3):193.
8. Lokulo-Sodipe O, Giabicani E, Canton APM, Ferrand N, Child J, Wakeling EL, Binder G, Netchine I, Mackay DJG, Inskip HM, Byrne CD, Temple IK, Davies JH. Height and body mass index in molecularly confirmed Silver-Russell syndrome and the long-term effects of growth hormone treatment. Clin Endocrinol (Oxf). 2022;97(3):284.

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Conforme laudo médico (Evento 1, ATESTMED8, Página 1), datado de 07 de fevereiro de 2023, a parte autora apresenta diagnóstico de síndrome de Silver-Russell (CID Q87.1). Consta histórico de nascimento prematuro, com idade gestacional de 36 semanas, peso ao nascer de 1.540 g e comprimento não informado. À época do documento, apresentava estatura de 125,8 cm e peso de 15,8 kg, sendo descrita baixa estatura grave associada a importante dificuldade de ganho ponderal, achados clínicos compatíveis com a referida síndrome. Consta radiografia de mãos e punhos para avaliação de idade óssea (Evento 89, EXMMED2, Página 3), realizada em 14 de novembro de 2023. O exame estimou idade óssea entre 12 e 13 anos, com desvio-padrão de 21,3 meses, achado compatível com a idade cronológica informada no documento, que, à época, era de 13 anos e 4 meses. Conforme último laudo médico (Evento 89, LAUDO3, Página 1), datado de 06 de março de 2024, consta estatura de 131 cm, peso de 18,6 kg e velocidade de crescimento de 6 cm/ano. O documento descreve estadiamento puberal M3P2, além de baixa estatura grave associada a importante dificuldade de ganho ponderal, achados compatíveis com o quadro clínico relatado. Registra-se, ainda, informação de estatura materna de 154,5 cm, pai falecido, estatura aproximada de 160 cm e estatura-alvo familiar estimada em 150,5 cm. O laudo refere ausência de indicação para teste de estímulo de hormônio do crescimento, considerando tratar-se de baixa estatura de etiologia já estabelecida. Nesse contexto, pleiteia somatropina.
A síndrome de Silver-Russell (SRS) é caracterizada por retardo de crescimento intrauterino levando a tamanho pequeno ao nascer, dificuldades de alimentação durante a primeira infância, baixa estatura grave, assimetria corporal, face triangular com testa proeminente e várias outras anomalias menores. Globalmente, as estimativas da incidência de SRS variam de 1:30.000 a 1:100.000 (1).
Os testes moleculares podem confirmar o diagnóstico em cerca de 60% dos pacientes e permitem a estratificação de pacientes com SRS em subgrupos, o que pode levar a um tratamento mais personalizado. Os mais comuns são a perda de metilação no cromossomo 11p15 (11p15 LOM; observada em 30–60% dos pacientes) e dissomia uniparental materna do cromossomo 7 (upd(7)mat; observada em 5–10 % dos pacientes). No entanto, a etiologia molecular permanece desconhecida numa proporção substancial de pacientes (2).