

NOTA TÉCNICA Nº 2681/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000299-26.2026.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 27/03/2026
- 1.4. Data da Resposta: 06/04/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 03/06/2013 – 12 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Hipopituitarismo – CID E23.0

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

Desde já, seguem os quesitos apresentados pelo magistrado, já que o formulário veio previamente preenchido pela parte:

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?

Não, pois a incorporação é somente prevista para pessoas com deficiência comprovada do hormônio do crescimento, e as medidas são superiores ao valor de corte do PCDT, o que justifica o indeferimento pelo médico autorizador.

2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?

Medicamento incorporado para o tratamento da deficiência comprovada de GH com pelo menos 2 testes de estímulo com dosagem de GH abaixo de 5ng/mL. Foi apresentado um teste compatível com deficiência e um incompatível. A ressonância é normal, mantendo-se a necessidade de 2 testes.

3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS? **O quadro clínico que se depreende, baixa estatura idiopática, não tem proposta de tratamento através dos PCDT.**

4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

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 DPs 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.

5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Sim.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

Indicação de acordo com a bula aprovada pela ANVISA.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Mesmo que não haja comprovação da deficiência do hormônio do crescimento, os dados de curva de crescimento anexados permitem entender que se trataria de baixa estatura idiopática. Para esta situação, a evidência clínica demonstra que o uso de somatropina resulta em aumento significativo da velocidade de crescimento e ganho de altura final em relação a controles não tratados. Ensaios clínicos randomizados e revisões sistemáticas mostram que o ganho médio de altura final varia de 4,7 a 5,2 cm (aproximadamente 0,8–1,0 desvio-padrão de altura) em comparação com controles

(Grimberg, 2016; Cohen, 2014; Allen, 2013). O benefício absoluto é modesto e há variabilidade individual na resposta, sendo que fatores como idade mais jovem ao início do tratamento, atraso na maturação esquelética e altura dos pais influenciam positivamente a resposta (Allen, 2013).

Estudos recentes reforçam a eficácia da somatropina em aumentar a altura e a velocidade de crescimento em crianças pré-púberes com baixa estatura idiopática, com diferenças estatisticamente significativas em relação ao grupo controle após 1 ano de tratamento (Yuan, 2022).

8. Os estudos disponíveis demonstram:

a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?

Não há outras opções terapêuticas disponíveis no SUS.

b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo?

Não se aplica, pois a baixa estatura não compromete a sobrevida.

c) Ganho de sobrevida livre de progressão?

Não se aplica.

d) Melhora de qualidade de vida mensurável?

Sim.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos?

Sim.

b) Bula aprovada pela ANVISA?

Sim.

c) Literatura científica de qualidade?

Sim, descrito acima.

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Não se aplica, pois a baixa estatura não compromete a sobrevida e não há outros medicamentos que tenham a mesma função biológica.

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?

Não se aplica, pois a baixa estatura não compromete a sobrevida e não há outros medicamentos que tenham a mesma função biológica.



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **MEDICAMENTO**

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
SOMATROPINA 12UI/ml - 0,26ml (3,15UI) por dia, seis vezes por semana, totalizando 7 unidades	Somatropina	1064601370025	Sim	Somatropina 4 UI solução injetável 4 UI pó para solução injetável 12 UI solução injetável 12 UI pó para solução injetável 15 UI solução injetável 15 UI pó para solução injetável PCDT Deficiência do Hormônio de Crescimento PCDT Síndrome de Turner 16 UI solução injetável	Sim

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
SOMATROPINA	HORMOTROP	LABORATORIO QUIMICO FARMACEUTICO BERGAMO LTDA	12 UI PO LIOF CT FA VD INC + DIL BACTERIOSTATICO X 2ML	R\$195,64	7 frascos/mês	R\$ 16.433,76
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 16.433,76		

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência março/2026.

4.3. Recomendações da CONITEC: (x) RECOMENDADO () NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO
Aprovado o PCDT da deficiência do hormônio do crescimento (Brasil, 2018)

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

No PCDT de deficiência do hormônio do crescimento e hipopituitarismo (Brasil, 2018), os critérios de inclusão para fornecimento da medicação para a população pediátrica são:

- déficit de crescimento;
- deficiência comprovada de GH (por meio de dois testes de estímulo quando houver deficiência isolada sem alteração anatômica de hipófise; por uma dosagem de GH em hipoglicemia em caso de sintomas presentes quando lactente; por meio de 1 teste de estímulo na presença de múltiplas deficiências hormonais (pan-hipopituitarismo) ou lesão hipofisária (alteração e exame de imagem).

São excluídas do protocolo, entre outros, crianças com outras causas de baixa estatura. De acordo com o mesmo PCDT, 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.

Terapia com hormônio do crescimento proporciona aumento da estatura em crianças com baixa estatura idiopática; porém, esse aumento é pequeno (com relevância clínica questionável), e mesmo as crianças com baixa estatura idiopática tratadas ainda são consideravelmente menores do que indivíduos sem baixa estatura idiopática da mesma idade, colocando em dúvida a relação custo/benefício da intervenção. Além disso, as respostas no paciente individual são imprevisíveis (Quigley, 2007; Bryant, 2007).

Revisão sistemática que avaliou o uso de somatropina em crianças e adolescentes com baixa estatura idiopática incluiu 10 ensaios clínicos randomizados (Bryant, 2007). Um estudo relatou altura quase final em meninas e descobriu que as meninas tratadas com GH eram 7,5 cm mais altas do que os controles não tratados (grupo GH, 155,3 cm +/- 6,4; controle, 147,8 cm +/- 2,6; P = 0,003); outro estudo que relatou o escore de desvio padrão da altura do adulto descobriu que as crianças tratadas com GH eram 3,7 cm mais altas do que as crianças em um grupo tratado com placebo (intervalos de confiança de 95% 0,03 a 1,10; P < 0,04). Os outros ensaios relataram resultados de curto prazo. Os resultados sugerem que os ganhos de altura a curto prazo podem variar de nenhum a aproximadamente 0,7 DP ao longo de um ano. Um estudo relatou qualidade de vida relacionada à saúde e não mostrou melhora significativa em crianças tratadas com GH em comparação com as do grupo controle, enquanto outro não encontrou evidências significativas de que o tratamento com GH afeta a adaptação psicológica ou a autopercepção em crianças com baixa estatura idiopática. Nenhum efeito adverso grave do tratamento foi relatado.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Melhora do crescimento somático, da composição corporal e da qualidade de vida.

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

No SUS, o medicamento só está disponível para pessoas com deficiência do hormônio do crescimento comprovada. O paciente apresenta o diagnóstico de baixa estatura idiopática, doença para a qual o PCDT reconhece que em certas situações pode haver benefício do uso de somatropina, sugerindo o acompanhamento em centros de referência do SUS, sendo essa a via sugerida. Não há alternativas terapêuticas disponíveis.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

() SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

(x) NÃO

7. Referências bibliográficas

Al Shaikh A, Daftardar H, Alghamdi AA, Jamjoom M, Awidah S, Ahmed ME, Soliman AT. Effect of growth hormone treatment on children with idiopathic short stature (ISS), idiopathic growth hormone deficiency (IGHD), small for gestational age (SGA) and Turner syndrome (TS) a tertiary care center. *Acta Biomed.* 2020 Mar 19;91(1):29-40

Allen DB, Cuttler L. Clinical practice. Short stature in childhood--challenges and choices. *N Engl J Med.* 2013 Mar 28;368(13):1220-8. doi: 10.1056/NEJMcp1213178. PMID: 23534561; PMCID: PMC5754004.

Altobaishat O, Abouzid M, Moawad MHED, Sharaf A, Al-Ajlouni Y, Umar TP, Bani-Salameh A, Tanashat M, Bataineh OA, Nashwan AJ. Efficacy, safety, and patient satisfaction of norditropin and sogroya in patients with growth hormone deficiency: a systematic review and meta-analysis of randomized controlled trials. *Endocrine.* 2024 Aug;85(2):545-557. doi: 10.1007/s12020-024-03834-z. Epub 2024 Apr 24. PMID: 38658475; PMCID: PMC11291597.

Bangalore Krishna K, Fuqua JS, Rogol AD, Klein KO, Popovic J, Houk CP, Charmandari E, Lee PA, Freire AV, Ropelato MG, Yazid Jalaludin M, Mbogo J, Kanaka-Gantenbein C, Luo X, Eugster EA, Klein KO, Vogiatzi MG, Reifschneider K, Bamba V, Garcia Rudaz C, Kaplowitz P, Bäckeljauw P, Allen DB, Palmert MR, Harrington J, Guerra-Junior G, Stanley T, Torres Tamayo M, Miranda Lora AL, Bajpai A, Silverman LA, Miller BS, Dayal A, Horikawa R, Oberfield S, Rogol AD, Tajima T, Popovic J, Witchel SF, Rosenthal SM, Finlayson C, Hannema SE, Castilla-Peon MF, Mericq V, Medina Bravo PG. Use of Gonadotropin-Releasing Hormone Analogs in Children: Update by an International Consortium. *Horm Res Paediatr*. 2019;91(6):357-372

Brasil, Ministério da Saúde. Secretaria de atenção à saúde. PORTARIA CONJUNTA Nº 28, DE 30 DE NOVEMBRO DE 2018. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Deficiência do Hormônio de Crescimento – Hipopituitarismo Brasília, 2018.

Bryant J, Baxter L, Cave CB, Milne R. Recombinant growth hormone for idiopathic short stature in children and adolescents. *Cochrane Database Syst Rev*. 2007 Jul 18;(3):CD004440.

Cohen LE. Idiopathic short stature: a clinical review. *JAMA*. 2014 May 7;311(17):1787-96. doi: 10.1001/jama.2014.3970. PMID: 24794372.

de Fries Jensen L, Antavalis V, Odgaard-Jensen J, Rossi A, Pietropoli A, Højby M. Efficacy and Safety of Somapacitan Relative to Somatrogon and Lonapegsomatropin in Pediatric Growth Hormone Deficiency: Systematic Literature Review and Network Meta-analysis. *Adv Ther*. 2024 Nov;41(11):4098-4124. doi: 10.1007/s12325-024-02966-y. Epub 2024 Sep 11. PMID: 39261416; PMCID: PMC11480202.

Deal CL, Steelman J, Vlachopapadopoulou E, Stawerska R, Silverman LA, Phillip M, Kim HS, Ko C, Malievskiy O, Cara JF, Roland CL, Taylor CT, Valluri SR, Wajnrajch MP, Pastrak A, Miller BS. Efficacy and Safety of Weekly Somatrogon vs Daily Somatropin in Children With Growth Hormone Deficiency: A Phase 3 Study. *J Clin Endocrinol Metab*. 2022 Jun 16;107(7):e2717-e2728. doi: 10.1210/clinem/dgac220. PMID: 35405011; PMCID: PMC9202717.

Grimberg A, DiVall SA, Polychronakos C, Allen DB, Cohen LE, Quintos JB, Rossi WC, Feudtner C, Murad MH; 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(6):361-397. doi: 10.1159/000452150. Epub 2016 Nov 25. PMID: 27884013.

Organização mundial da saúde. WHO Growth reference data for 5-19 years, 2007. Disponível em <http://www.who.int/growthref/en/>

Quigley CA. Growth hormone treatment of non-growth hormone-deficient growth disorders. *Endocrinol Metab Clin North Am.* 2007 Mar;36(1):131-86

Lazar L, Kauli R, Pertzalan A, Phillip M. Gonadotropin-suppressive therapy in girls with early and fast puberty affects the pace of puberty but not total pubertal growth or final height. *J Clin Endocrinol Metab.* 2002 May;87(5):2090-4

Lazar L, Padoa A, Phillip M. Growth pattern and final height after cessation of gonadotropin-suppressive therapy in girls with central sexual precocity. *J Clin Endocrinol Metab.* 2007 Sep;92(9):3483-9.

Soliman AT, Elawwa A, Itani M, Jour C, De Sanctis V. Responses to growth hormone (GH) therapy in short children with normal GH secretion and no bone age delay: an analysis of potential factors affecting their response to rhGH therapy. A controlled study. *Acta Biomed.* 2019 Sep 23;90(8-S):43-51

Takeda A, Cooper K, Bird A, Baxter L, Frampton GK, Gospodarevskaya E, Welch K, Bryant J. Recombinant human growth hormone for the treatment of growth disorders in children: a systematic review and economic evaluation. *Health Technol Assess.* 2010 Sep;14(42):1-209

Yuan J, Fu J, Wei H, Zhang G, Xiao Y, Du H, Gu W, Li Y, Chen L, Luo F, Zhong Y, Gong H. A Randomized Controlled Phase 3 Study on the Efficacy and Safety of Recombinant Human Growth Hormone in Children With Idiopathic Short Stature. *Front Endocrinol (Lausanne).* 2022 Apr 29;13:864908. doi: 10.3389/fendo.2022.864908. PMID: 35573994; PMCID: PMC9102803.

Yuen KCJ, Biller BMK, Radovick S, Carmichael JD, Jasim S, Pantalone KM, Hoffman AR. AMERICAN ASSOCIATION OF CLINICAL ENDOCRINOLOGISTS AND AMERICAN COLLEGE OF ENDOCRINOLOGY GUIDELINES FOR MANAGEMENT OF GROWTH HORMONE DEFICIENCY IN ADULTS AND PATIENTS TRANSITIONING FROM PEDIATRIC TO ADULT CARE. *Endocr Pract.* 2019 Nov;25(11):1191-1232. doi: 10.4158/GL-2019-0405. PMID: 31760824.

Zaeri H, Omidvar S, Servatian N, Arefnia S, Khademolreza N, Amini H, Taghavi B, Hashemipour M, Eshraghi P, Ghasemi M, Ghergherehchi R, Maleki E, Moravej H, Noorian S, Soheilipour F, Dalili S, Kharazmi H, Didban A, Akhlaghi A, Ghaznavi S, Shahbazi M. Evaluation of the safety and efficacy of biosimilar recombinant growth hormone in children with growth hormone deficiency: non-inferiority, randomized, parallel, multicentric and Phase III trial. *Expert Opin Drug Saf.* 2025 Jan;24(1):111-119. doi: 10.1080/14740338.2024.2348576. Epub 2024 May 8. PMID: 38682328.

8. Outras Informações – conceitos

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

https://bvsm.sau.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde

prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

PROTOS COLS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento

medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.