

NOTA TÉCNICA Nº 2715/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000418-84.2026.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 30/03/2026
- 1.4. Data da Resposta: 06/04/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 28/03/2016 – 10 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Bernardo/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.

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.

3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?

A paciente apresenta, como provável causa da baixa estatura a deleção do braço curto do cromossomo 18, a qual é responsável também pelo atraso do desenvolvimento neuropsicomotor.

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?

A somatotropina (hormônio de crescimento recombinante humano) não possui aprovação específica para a síndrome 18p-, embora haja relatos de caso com o seu uso, demonstrando benefício.

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

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?

Não. Dada a raridade da doença, existem relatos e séries de caso, somente.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

- a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS? Não se aplica
- b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? Não se aplica
- c) Ganho de sobrevida livre de progressão? Não se aplica
- d) Melhora de qualidade de vida mensurável? Não se aplica

9. O esquema proposto está em conformidade com:

- a) Protocolos internacionais reconhecidos? Não se aplica
- b) Bula aprovada pela ANVISA? Sim

c) Literatura científica de qualidade? Não se aplica

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 – 6ampolas/mês, 2,4U/dia	Somatropina	1064601370025	Sim	Somatropina	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	12 frascos/mês	R\$ 14.086,08
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 14.086,08		

* 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

A síndrome da deleção 18p (monossomia 18p) é uma anomalia cromossômica rara causada pela perda total ou parcial do braço curto do cromossomo 18, com incidência estimada de 1:50.000 nascidos vivos (Turleau, 2008). A baixa estatura é uma das manifestações cardinais, e embora a somatropina não seja aprovada especificamente para esta síndrome, relatos de casos demonstram resposta favorável ao tratamento com hormônio de crescimento (GH) (Sun, 2018; Rogers, 2013), sendo outras manifestações dismorfismos faciais (face arredondada, filtro curto, ptose palpebral, orelhas grandes e de implantação baixa, hipertelorismo, nariz largo e achatado, micrognatia); Deficiência intelectual leve a moderada (QI médio na faixa de funcionamento intelectual limítrofe); Hipotonia; Anomalias cardíacas congênitas; Alterações em ressonância magnética cerebral; Disfunção endócrina (incluindo hipopituitarismo em alguns casos); Estrabismo e erros refrativos; Holoprosencefalia e suas microformas (10–15% dos casos, representando o espectro mais grave).

A somatropina (hormônio de crescimento recombinante humano) não possui aprovação específica para a síndrome 18p-. As indicações aprovadas incluem: deficiência de GH, síndrome de Turner, síndrome de Prader-Willi, síndrome de Noonan, insuficiência renal crônica, nascidos pequenos para idade gestacional (PIG) sem recuperação do crescimento, deficiência do gene SHOX e baixa estatura idiopática (altura SDS \leq -2,25). No entanto, relatos de casos demonstram eficácia significativa do tratamento com GH em pacientes com síndrome 18p-:

Caso 1: Uma menina com deleção 18p (15,3 Mb) iniciou tratamento com GH aos 7 anos e 1 mês com altura de 110,8 cm (-2,5 DP). Após 27 meses de tratamento, a altura aumentou para 129,6 cm (-1,0 DP), demonstrando resposta efetiva ao GH (Sun, 2018).

Caso 2: Uma paciente com deleções 18p- e 14p- apresentou falha grave de crescimento aos 2 anos e 9 meses. O tratamento com GH (0,3 mg/kg/semana) foi iniciado aos 6 anos e 3 meses, com melhora dramática do crescimento linear ao longo de 7 anos de acompanhamento (Rogers, 2013).

Caso 3: O primeiro relato de benefício do GH em paciente com síndrome 18p- e hipopituitarismo documentado foi publicado em 1992, demonstrando que pacientes com esta síndrome e deficiência de crescimento devem ser avaliados para hipopituitarismo (Artman, 1992).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Aumento do crescimento somático e melhora da composição corporal.

6. Conclusão

6.1. Parecer

- (x) Favorável
() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Embora não haja deficiência do hormônio do crescimento, a paciente tem quadro genético relacionado com baixa estatura, bastante raro. Existem relatos de caso que demonstram benefício do uso da somatropina.

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

Artman HG, Morris CA, Stock AD. 18p- syndrome and hypopituitarism. J Med Genet. 1992 Sep;29(9):671-2. doi: 10.1136/jmg.29.9.671. PMID: 1404301; PMCID: PMC1016104.

Rogers DG, Aswini RS. Response to growth hormone treatment in a patient with 18p-syndrome. J Pediatr Endocrinol Metab. 2012;25(9-10):1023-5. doi: 10.1515/jpem-2012-0100. PMID: 23426837.

Sun H, Wan N, Wang X, Chang L, Cheng D. Genotype-Phenotype Analysis, Neuropsychological Assessment, and Growth Hormone Response in a Patient with 18p Deletion Syndrome. Cytogenet Genome Res. 2018;154(2):71-78. doi: 10.1159/000487371. Epub 2018 Mar 16. PMID: 29544220.

Turleau C. Monosomy 18p. Orphanet J Rare Dis. 2008 Feb 19;3:4. doi: 10.1186/1750-1172-3-4. PMID: 18284672; PMCID: PMC2265258.

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, norteada 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 COLOS 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.