



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1320/2019

Rio de Janeiro, 30 de dezembro de 2019.

Processo nº 5060583-27.2019.4.02.5101,
ajuizado por [REDACTED]
representada por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **1º Juizado Especial Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Somatropina 12U**.

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração deste parecer técnico foi considerado apenas o documento médico datado e com identificação legível do profissional emissor (Evento 1_ANEXO7, págs. 1 a 6).
2. De acordo com formulário médico da Defensoria Pública da União no Rio de Janeiro (Evento 1_ANEXO7, págs. 1 a 6), emitido em 21 de agosto de 2019, pela médica [REDACTED] a Autora, pré-escolar, **síndrome de Silver Russell**, sendo indicado uso de **Somatropina**, pelos protocolos de uso de GH devido ao histórico de **baixa estatura ao nascimento (PIG)**. Para tal condição indica-se a posologia 0,12UIKg/dia subcutânea, até determinação de estatura final. Foi relatado que a eficácia do tratamento padronizado pelo SUS foi boa, estudos demonstram boa resposta ao uso de Somatropina em pacientes com histórico de terem sido pequenos para idade gestacional (PIG) e que não recuperam nos primeiros 2 anos de vida. Caso não seja submetida ao tratamento indicado pode ter como consequência prejuízo na estatura final e possíveis danos psicossociais. Não é configurado urgente, entretanto, quanto mais cedo o início do tratamento, melhor resposta clínica. Foi informada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **Q87.1 - Síndromes com malformações congênicas associadas predominantemente com nanismo**.

**II - ANÁLISE
DA LEGISLAÇÃO**

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, alterada por diversas portarias, sendo a mais recente a Portaria nº 702/GM/MS, de 21 de março de 2018, e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 06 de maio de 2004.
2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, cuja alteração mais recente consta na Portaria nº 3.550/GM/MS, de 01º de novembro de 2018, dispõe, também, sobre as normas para o financiamento da assistência farmacêutica, promovendo a sua organização em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, alterada pela Portaria nº 702/GM/MS, de 21 de março de 2018, considera, inclusive, as normas de execução dos Componentes Básico e Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012, relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
5. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743, de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de financiamento e de execução do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
6. A Resolução SMS/RJ nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **síndrome de Silver–Russell (SSR)**, também conhecida como síndrome de Russell–Silver (SRS), é uma condição clínica caracterizada por retardo de crescimento, que afeta 1 em cada 30.000 a 100.000 crianças. As manifestações características incluem criança nascida pequena para idade gestacional (PIG), déficit de crescimento persistente pós-natal, perímetro cefálico preservado (macrocefalia relativa) ao nascimento, fronte proeminente em relação ao plano da face (mais visível entre 12 e 36 meses), assimetria corporal e dificuldades alimentares/baixo índice de massa corporal (IMC). Causas genéticas/epigenéticas podem ser identificadas em aproximadamente 60% dos pacientes clinicamente diagnosticados com SSR: as mais comuns são 1) perda de metilação no cromossomo 11p15 (11p15 LOM: loss of methylation) em 30-60% dos casos e 2) dissomia uniparental materna do cromossomo 7 (upd(7)mat) em 5-10% dos casos¹.

DO PLEITO

1. A **Somatropina** é o hormônio somatotrófico (r-hGH) obtido por tecnologia de DNA recombinante. É destinado ao tratamento em longo prazo de crianças que apresentam problemas de crescimento devido à deficiência de hormônio de crescimento².

¹THE MAGIC FOUNDATION. Principais tópicos e resumo do “Diagnóstico e manejo da Síndrome de Silver-Russell: Primeiro Consenso Internacional”. Disponível em: <

<https://www.magicfoundation.org/Downloads/FamilySRSPortugueseConsensus.pdf>>. Acesso em: 02 jan. 2020.

²Bula do medicamento Somatropina (Hormotrop[®]) por Laboratório Químico Farmacêutico Bergamo Ltda. Disponível em:

<http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/frmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=10043442018&pIdAnexo=10812368>. Acesso em: 02 jan. 2020.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento **Somatropina 12U** possui indicação clínica, que não consta em bula² aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), para o tratamento do quadro clínico que acomete a Autora – **síndrome de Silver–Russell**, conforme descrito em documento médico (Evento 1_ANEXO7, págs. 1 a 6). Nesses casos, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) caracteriza o uso como “*off label*”.
2. O uso off-label é, por definição, não autorizado por uma agência reguladora (no Brasil a ANVISA), ou seja, não tem aprovação em bula para o tratamento de determinada patologia. Porém isso não implica que seja incorreto. Em geral, esse tipo de prescrição é motivado por uma analogia da patologia do indivíduo com outra semelhante, ou por base fisiopatológica, que o médico acredite que possa vir a beneficiar o paciente. A classificação de uma indicação como *off label* pode variar temporalmente e de lugar para lugar³.
3. Destaca-se que a **síndrome de Silver–Russell (SSR)** é associada com significativa baixa estatura na vida adulta - estudos mostram altura adulta de aproximadamente 151-154cm em homens não tratados e de 139-147cm em mulheres não tratadas. A maioria das crianças com SSR qualifica-se para tratamento com GH pela indicação para PIG de acordo com as agências regulatórias dos EUA e da Europa (FDA e EMA, respectivamente), bem como com a Anvisa brasileira. A deficiência de GH não é comum em SSR e testes de liberação de GH podem ter riscos, uma vez que necessitam jejum. Além disso, crianças PIG e não-deficientes de GH respondem similarmente ao GH àquelas que são PIG e deficientes de GH. Assim, testes de liberação de GH devem ser evitados na maioria das crianças SSR. Estudos clínicos de tratamento com GH em pacientes PIG (incluindo SSR) têm mostrado um aumento na altura adulta prevista de 7-11cm. Os benefícios adicionais do tratamento com GH incluem apetite aumentado e aumento de massa magra e de força muscular, os quais podem levar à melhora da mobilidade e à redução de hipoglicemia. A maioria dos efeitos negativos do uso de GH são transitórios (desaparecem após suspensão do GH), ocorrem raramente e não parecem ser mais frequentes em SSR do que em PIG não-SSR¹.
4. No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado insta mencionar que: **Somatropina 12U é disponibilizada** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro, no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para Deficiência de Hormônio do Crescimento – Hipopituitarismo (Portaria SAS/MS nº 110, de 10 de março de 2010), e segundo o PCDT de Síndrome de Turner (Portaria SAS/MS nº 223, de 10 de maio de 2010), e conforme o disposto no Título IV da Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelece as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS.

³ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Uso *off label* de medicamentos. Disponível em: <http://portal.anvisa.gov.br/resultado-de-busca?p_p_id=101&p_p_lifecycle=0&p_p_state=maximized&p_p_mode=view&p_p_col_id=column-1&p_p_col_count=1&_101_struts_action=%2Fasset_publisher%2Fview_content&_101_assetEntryId=352702&_101_type=content&_101_groupId=33836&_101_urlTitle=como-a-anvisa-ve-o-uso-off-label-de-medicamentos&redirect=http%3A%2F%2Fportal.anvisa.gov.br%2Fresultado-de-busca%3Fp_p_id%3D3%26p_p_lifecycle%3D0%26p_p_state%3Dnormal%26p_p_mode%3Dview%26p_p_col_id%3Dcolumn-1%26p_p_col_count%3D1%26_3_groupId%3D0%26_3_keywords%3Dlabel%26_3_cur%3D1%26_3_struts_action%3D%252Fsearch%252Fsearch%26_3_format%3D%26_3_formDate%3D1441824476958&inheritRedirect=true>. Acesso em: 30 dez 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

5. Assim, conforme o Anexo IV da Portaria supramencionada, a dispensação do medicamento **Somatropina** não está autorizada para a **Síndromes com malformações congênitas associadas predominantemente com nanismo (CID-10: Q87.1) inviabilizando que a Autora receba o medicamento por via administrativa.**

6. Ressalta-se ainda que o medicamento pleiteado **Somatropina não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC⁴** para o tratamento de **Síndromes com malformações congênitas associadas predominantemente com nanismo (CID-10: Q87.1)**, quadro clínico apresentado pela Autora.

7. Até o momento **não se encontra disponível** Protocolo Clínico do Ministério da Saúde para o tratamento da **síndrome de Silver-Russell**, e, portanto, **não há lista oficial de medicamentos** que possam ser implementados nestas circunstâncias⁵.

É o parecer.

Ao 1º Juizado Especial Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS

Farmacêutica
CRF-RJ 14680

MARCELA MACHADO DURAQ

Assistente de Coordenação
CRF-RJ 11517
ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02

⁴Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao#S>>. Acesso em: 30 dez 2019.

⁵BRASIL. Ministério da Saúde. Portal da Saúde – Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes#S>>. Acesso em: 30 dez 2019.