



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1874/2024

Rio de Janeiro, 30 de outubro de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

O Autor, 15 anos (DN: 31/03/2009), portador de síndrome de Bartter, baixa estatura grave e atraso puberal, com idade óssea atrasada e disfunção endócrina. Seu quadro de baixa estatura grave, extremo baixo peso e atraso puberal são secundários à doença sistêmica (síndrome de Bartter). Consta solicitação do medicamento Somatropina 12mg (36UI) (Genotropin®), aplicar 0,7mg subcutâneo (SC) diariamente (Evento 7, LAUDO3, Página 1; Evento 7, RECEIT4, Página 1).

Referente à indicação da Somatropina, informa-se que o uso do referido medicamento não apresenta indicação em bula no tratamento da baixa estatura secundária a síndrome de Bartter. Isto significa que o medicamento não está aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) para o manejo dessa doença, o que caracteriza uso off label.

O uso off-label de um medicamento significa que o mesmo ainda não foi autorizado por uma agência reguladora. Entretanto, isso não implica que seja incorreto. Pode, ainda, estar sendo estudado, ou em fase de aprovação pela agência reguladora. 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. Entretanto, em grande parte das vezes, trata-se de uso essencialmente correto, apenas ainda não aprovado.

A Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022, que dispõe sobre os processos de incorporação de tecnologias ao SUS e sobre a utilização pelo SUS de medicamentos cuja indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro da ANVISA, desde que seu uso tenha sido recomendado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), demonstradas as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança, e esteja padronizado em protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde.

O medicamento Somatropina ainda não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor.

Segundo um artigo científico publicado no Journal of Pediatric Metabolism and Endocrinology por Spector-Cohen et al. (2019), foi investigada a prevalência de deficiência de hormônio de crescimento (GH) em crianças com síndrome de Bartter pré-natal e a eficácia da terapia com GH para promover o crescimento. O estudo concluiu que, além de outros fatores que afetam o crescimento, a deficiência de GH pode contribuir para a baixa estatura nesses pacientes. A terapia com GH mostrou-se benéfica para alguns casos, resultando em um ganho significativo de altura em pacientes que responderam bem ao tratamento. Esses achados sugerem a importância de uma avaliação clínica do eixo GH em crianças com essa síndrome para identificar possíveis benefícios da terapia com GH. A terapia com GH tem um papel no tratamento da falha de crescimento em alguns indivíduos com síndrome de Bartter.

Considerando o exposto, este Núcleo entende que o estudo apresentado e as demais evidências consultados apontam para o uso seguro, com níveis aceitáveis de eficácia, da somatropina para o tratamento da baixa estatura secundária à síndrome de Bartter.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que o medicamento Somatropina (nas concentrações 4UI e 12UI) é disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Deficiência de Hormônio do Crescimento – Hipopituitarismo e do PCDT da Síndrome de Turner, e conforme o disposto na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS.

- Somatropina é disponibilizado pelo CEAF perfazendo o grupo de financiamento 1A do referido componente: medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estado e Distrito Federal,.

Convém destacar ainda que Somatropina está padronizada pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), sendo disponibilizada pelo Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF5, somente para os CIDs: E23.0, Q96.0, Q96.1, Q96.2, Q96.3, Q96.4 e Q96.8.

Os medicamentos do CEAF somente serão autorizados e disponibilizados para as doenças descritas na Classificação Internacional de Doenças (CID-10) contempladas. Assim, a doença do demandante, a saber: baixa estatura



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

grave e síndrome de Bartter (CID-10: E26.8) não estão dentre as contempladas para a retirada do medicamento pela via do CEAf, impossibilitando a obtenção da Somatropina de forma administrativa.

Considerando o caso em tela, informa-se que no momento não há publicado pelo Ministério da Saúde, Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para baixa estatura grave e síndrome de Bartter e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Acrescenta-se ainda que a síndrome de Bartter é uma doença rara. Assim, cumpre salientar que o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras.

O medicamento pleiteado Somatropina 12mg (36UI) (Genotropin®) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED).

De acordo com publicação da CMED, o Preço Fábrica (PF) deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG) é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o Somatropina 12mg (36UI) (Genotropin®) pó liofilizado frasco-ampola de 1mL possui preço de fábrica R\$ 1.842,16 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 1.445,547.

É o parecer.

À 23ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.