



Terapias Inovadoras para a Deficiência de Hormônio do Crescimento: Uma Abordagem Abrangente

Beatriz Fonseca Andrade Anjos ¹, Ana Flávia Cerqueira Silva ², Giovanna Prata Silva Melo ³, Ana Luiza Loureiro Prado ⁴, Yasmin Bulkool Isaac ⁵

REVISÃO DE LITERATURA

RESUMO

O tratamento por meio de terapias inovadoras para a deficiência de hormônio do crescimento representa uma abordagem avançada para lidar com essa condição endócrina que pode impactar significativamente a qualidade de vida dos pacientes. Essas terapias oferecem alternativas valiosas para aqueles que não respondem adequadamente aos tratamentos convencionais ou outras intervenções disponíveis. No entanto, a escolha da terapia mais adequada é crucial, pois existem várias opções disponíveis, incluindo diferentes formulações e regimes de administração. Cada uma dessas opções tem seus próprios requisitos técnicos e considerações clínicas, e é essencial examinar essas diferenças para ajudar os profissionais de saúde e os pacientes a tomar decisões informadas.

Ao explorar as diferentes opções de terapias inovadoras para a deficiência de hormônio do crescimento, é importante considerar não apenas a eficácia em termos de melhoria dos níveis hormonais, mas também fatores como segurança, tolerabilidade e impacto na qualidade de vida. Além disso, é necessário avaliar o desfecho geral dos pacientes após o início da terapia, incluindo a adesão do paciente, os efeitos colaterais e a satisfação com o tratamento. Essa avaliação abrangente pode fornecer insights valiosos sobre o impacto da terapia na vida cotidiana e no bem-estar dos pacientes.

Outro aspecto importante a considerar é a personalização do tratamento, levando em conta as necessidades individuais e preferências do paciente, bem como sua condição clínica específica. Isso pode envolver uma avaliação cuidadosa do histórico médico do paciente, suas



expectativas em relação ao tratamento e seu estilo de vida. Ao adotar uma abordagem centrada no paciente, os profissionais de saúde podem garantir que a terapia escolhida atenda às necessidades específicas e proporcione os melhores resultados possíveis.

Em resumo, o estudo e a compreensão das opções de terapias inovadoras para a deficiência de hormônio do crescimento e sua avaliação do desfecho geral são essenciais para garantir o sucesso do tratamento e a satisfação do paciente. Ao considerar uma variedade de fatores, desde a eficácia clínica até o impacto na qualidade de vida, os profissionais de saúde podem tomar decisões mais informadas e personalizadas, melhorando assim o cuidado e os resultados para os pacientes com essa condição endócrina.

Palavras-chaves: Terapias; Inovação; Deficiência de Hormônio do Crescimento.

Innovative Therapies for Growth Hormone Deficiency: A Comprehensive Approach

ABSTRACT

Treatment through innovative therapies for growth hormone deficiency represents an advanced approach to addressing this endocrine condition that can significantly impact patients' quality of life. These therapies offer valuable alternatives for those who do not respond adequately to conventional treatments or other available interventions. However, choosing the most suitable therapy is crucial as there are various options available, including different formulations and administration regimens. Each of these options has its own technical requirements and clinical considerations, and it is essential to examine these differences to assist healthcare professionals and patients in making informed decisions.

Exploring the different options of innovative therapies for growth hormone deficiency, it is important to consider not only efficacy in terms of improving hormone levels but also factors such as safety, tolerability, and impact on quality of life. Additionally, assessing the overall outcome of patients after starting therapy, including patient adherence, side effects, and



satisfaction with treatment, is necessary. This comprehensive evaluation can provide valuable insights into the impact of therapy on daily life and patients' well-being.

Another important aspect to consider is the customization of treatment, taking into account individual patient needs and preferences, as well as their specific clinical condition. This may involve a careful assessment of the patient's medical history, expectations regarding treatment, and lifestyle. By adopting a patient-centered approach, healthcare professionals can ensure that the chosen therapy meets specific needs and provides the best possible outcomes.

In summary, studying and understanding the options for innovative therapies for growth hormone deficiency and their overall outcome evaluation are essential to ensure treatment success and patient satisfaction. By considering a variety of factors, from clinical efficacy to impact on quality of life, healthcare professionals can make more informed and personalized decisions, thus improving care and outcomes for patients with this endocrine condition.

Keywords: Therapies; Innovation; Growth Hormone Deficiency.

Dados da publicação: Artigo recebido em 27 de Fevereiro e publicado em 17 de Abril de 2024.

DOI: <https://doi.org/10.36557/2674-8169.2024v6n4p1653-1666>

Autor correspondente: Beatriz Fonseca Andrade Anjos - biafanjos@hotmail.com

This work is licensed under a [Creative Commons Attribution 4.0 International License](https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/).



INTRODUÇÃO

A pesquisa sobre o tratamento da deficiência de hormônio do crescimento em crianças tem sido objeto de estudo de diversos pesquisadores e instituições ao redor do mundo. A segurança e eficácia desses tratamentos são cruciais para garantir o bem-estar e o desenvolvimento saudável das crianças afetadas por essa condição endócrina. Estudos recentes têm explorado diferentes abordagens terapêuticas, desde o uso de biossimilares do hormônio do crescimento até a comparação entre diferentes regimes de administração, como a administração semanal versus diária (Loche et al., 2024).

As pesquisas clínicas têm desempenhado um papel fundamental na avaliação da eficácia e segurança dessas terapias inovadoras. Ensaios clínicos de fase 3 e estudos de vigilância pós-comercialização têm fornecido dados importantes sobre a resposta ao tratamento, efeitos colaterais e adesão do paciente, contribuindo para uma melhor compreensão do manejo da deficiência de hormônio do crescimento em crianças (Deal et al., 2022).

Além disso, a introdução de novas tecnologias e formulações, como biossimilares e terapias de longa duração, tem ampliado o espectro de opções terapêuticas disponíveis para crianças com deficiência de hormônio do crescimento. A análise cuidadosa dos dados desses estudos clínicos e o acompanhamento contínuo por meio de programas de vigilância pós-comercialização são fundamentais para garantir a eficácia e segurança dessas terapias inovadoras (Maniatis et al., 2022).

Por fim, é essencial ressaltar a importância da colaboração entre pesquisadores, médicos e instituições de saúde para avançar no conhecimento e no desenvolvimento de tratamentos eficazes para a deficiência de hormônio do crescimento em crianças. A pesquisa contínua nessa área é fundamental para melhorar os resultados clínicos e a qualidade de vida desses pacientes (Thornton et al., 2021).

METODOLOGIA

A metodologia empregada neste artigo de revisão de literatura sobre terapias inovadoras para a deficiência de hormônio do crescimento teve como base uma pesquisa abrangente de artigos publicados nos últimos cinco anos, cobrindo o período de 2019 a 2024. Para garantir uma revisão abrangente, a busca foi conduzida em duas importantes bases de dados acadêmicas: Scopus e PubMed. Utilizamos palavras-chave específicas, como "Therapies", "Innovation" e "Growth Hormone Deficiency", com o intuito de abranger estudos relevantes sobre o tema.

Durante o processo de seleção dos artigos, priorizamos a inclusão de trabalhos completos em língua inglesa e categorizados como Ensaio Clínico, Metanálise, Teste Controlado e Aleatório, e Análise. Essa abordagem foi adotada para garantir a qualidade e a pertinência das informações obtidas, visando à elaboração de uma revisão robusta e atualizada sobre as terapias inovadoras para a deficiência de hormônio do crescimento.

A seleção dos artigos seguiu uma abordagem sistemática e criteriosa, onde inicialmente os títulos foram analisados para priorizar aqueles diretamente relacionados ao escopo da pesquisa. Posteriormente, os resumos foram avaliados para uma triagem mais detalhada, considerando a relevância e a contribuição dos estudos para o tema em questão. Por fim, os artigos selecionados passaram por uma análise completa, garantindo a inclusão apenas daqueles que apresentavam informações substanciais e pertinentes para a revisão.

A estratégia em etapas na seleção dos artigos, aliada aos critérios de inclusão bem definidos, permitiu uma abordagem rigorosa na busca e seleção dos estudos relevantes. Isso assegurou a qualidade e a confiabilidade da revisão, proporcionando uma análise aprofundada das terapias inovadoras para a deficiência de hormônio do crescimento. O objetivo deste estudo é contribuir para uma melhor compreensão das opções terapêuticas disponíveis e a avaliação do desfecho geral dessas terapias na gestão da deficiência de hormônio do crescimento.

RESULTADOS E DISCUSSÃO

Deal et al., (2022) conduzem um estudo de fase 3 para avaliar a eficácia e segurança do somatogon semanal em comparação com somatropina diária em crianças com deficiência de hormônio do crescimento (DHC). Esta pesquisa oferece uma contribuição significativa para a compreensão das opções terapêuticas disponíveis para o tratamento da DHC em crianças. Ao analisar cuidadosamente os dados, os autores fornecem insights valiosos sobre os benefícios e os potenciais riscos associados a cada regime de tratamento. Essa abordagem abrangente destaca a importância de considerar múltiplos aspectos, incluindo eficácia clínica, segurança e conveniência, ao tomar decisões sobre a terapia de reposição hormonal em crianças com DHC. Esses resultados são essenciais para orientar a prática clínica e garantir o melhor cuidado possível para os pacientes pediátricos afetados por essa condição endócrina.

Maniatis et al., (2022) apresentam os resultados de dois anos do ensaio enliGHten, investigando a segurança e eficácia do lonapegsomatropin em crianças com deficiência de hormônio do crescimento (DHC). Essa pesquisa fornece insights valiosos sobre a utilização desse agente terapêutico em crianças, contribuindo significativamente para a compreensão e gestão da DHC na população pediátrica. Ao analisar os dados do estudo, os autores destacam os aspectos de segurança e eficácia do lonapegsomatropin, oferecendo uma avaliação abrangente do seu perfil terapêutico. Esses resultados são fundamentais para informar a prática clínica e orientar a seleção de tratamento para crianças com DHC, visando otimizar os resultados de saúde e a qualidade de vida desses pacientes.

Miller et al., (2022) lançam luz sobre a lonapegsomatropina, uma injeção semanal com potencial no tratamento da deficiência de hormônio do crescimento (DHC) em pacientes pediátricos. Essa terapia inovadora oferece uma alternativa promissora às injeções diárias convencionais, abordando desafios como adesão ao tratamento e conveniência. Ao fornecer uma visão abrangente da eficácia e do perfil de segurança da lonapegsomatropina, os

autores oferecem insights valiosos sobre seu papel na otimização dos resultados de crescimento e no aprimoramento do cuidado ao paciente para crianças com DHC. Destaca-se a importância de explorar abordagens terapêuticas inovadoras para atender às diversas necessidades dos pacientes pediátricos com DHC, abrindo caminho para estratégias de tratamento e resultados aprimorados nessa população.

Grillo et al., (2023) apresentam uma atualização sobre a terapia com hormônio do crescimento de longa duração (LAGH), destacando seu papel em constante evolução no manejo da DHC. Essa revisão abrangente explora os mais recentes avanços nas formulações de LAGH e seus potenciais benefícios na melhoria dos resultados do tratamento e na adesão do paciente. Ao sintetizar evidências atuais e experiências clínicas, os autores oferecem insights valiosos sobre a eficácia, segurança e considerações práticas da terapia com LAGH, informando clínicos e pesquisadores sobre seu lugar no arsenal de estratégias de manejo da DHC. Essa discussão destaca os esforços contínuos para otimizar as opções e resultados de tratamento para indivíduos com DHC, impulsionando a inovação e o progresso no campo da endocrinologia pediátrica.

Høybye (2023) empreende uma análise metódica das complexidades subjacentes à comparação entre as opções de tratamento destinadas a adultos com deficiência de hormônio do crescimento (DHC), especialmente ao contrastar as formulações diárias e de longa duração do hormônio do crescimento. Esta análise perspicaz adentra as questões desafiadoras enfrentadas pelos profissionais da saúde ao selecionar a terapia mais apropriada, examinando minuciosamente os benefícios e os riscos inerentes a cada abordagem terapêutica. Através da síntese de evidências derivadas de estudos clínicos e sua própria expertise clínica, o autor oferece orientações preciosas para a tomada de decisões individualizadas no manejo da DHC em adultos. Ressalta-se a importância crucial de considerar uma gama abrangente de fatores, incluindo eficácia, segurança e praticidade do tratamento, no esforço para alcançar resultados ótimos e melhorar a qualidade de vida desses pacientes.

Mancini et al., (2023) deliberam descobertas do Estudo Observacional

Multicêntrico Retrospectivo de Crescimento Hormonal Adulto, oferecendo insights sobre monitoramento de adesão e resultados de tratamento em adultos com DHC. Por meio de uma experiência italiana de 24 meses usando o Easypod™, os autores exploram padrões de adesão do mundo real e seu impacto na eficácia do tratamento. Ao avaliar fatores relacionados à adesão e resultados clínicos, o estudo fornece dados valiosos para informar a prática clínica e otimizar o cuidado do paciente em adultos com DHC. Destaca-se a importância do monitoramento da adesão e engajamento do paciente na maximização dos benefícios da terapia de reposição hormonal, enfatizando a necessidade de abordagens personalizadas para enfrentar as barreiras e preferências individuais de adesão.

Mameli et al., (2023) conduzem uma metódica revisão sistemática e meta-análise, dedicando-se a explorar a eficácia, segurança, qualidade de vida, adesão e custo-efetividade da terapia de reposição hormonal com hormônio do crescimento de longa duração em comparação com a terapia diária, especialmente em crianças com deficiência de hormônio do crescimento (DHC). A ampla análise dos dados coletados revela as potenciais vantagens associadas à terapia de longa duração, proporcionando valiosas percepções sobre a escolha de tratamento e aprimoramento de resultados para essa parcela pediátrica da população. Esse exame minucioso ressalta a relevância de abordar não apenas a eficácia clínica, mas também outros aspectos cruciais da terapia, na tomada de decisões sobre o manejo da DHC em crianças. O objetivo principal é promover a melhoria da qualidade de vida e alcançar resultados otimizados a longo prazo.

Loche et al., (2024) mostram desfechos conclusivos do estudo PATRO Children, uma pesquisa internacional de vigilância pós-comercialização que visa examinar a segurança e eficácia de um biossimilares do hormônio do crescimento humano recombinante em crianças que necessitam de tratamento com hormônio do crescimento. A análise aprofundada dos dados coletados oferece insights abrangentes sobre o perfil de segurança e eficácia dessa terapia em uma ampla população pediátrica afetada pela deficiência de hormônio do crescimento. Esses resultados não apenas corroboram a eficácia terapêutica, mas também ressaltam a importância crucial da vigilância contínua

após a introdução de terapias hormonais no mercado. Essa vigilância contínua é fundamental para monitorar e mitigar quaisquer efeitos adversos, garantindo assim a segurança e o bem-estar dos pacientes. Além disso, os dados fornecidos pelo estudo PATRO Children são de inestimável valor para orientar a prática clínica, ajudando os profissionais de saúde a tomar decisões fundamentadas e personalizadas para crianças com DHC.

Autor	Ano	Metodologia do Estudo	Principais Conclusões e Discussões
Deal et al.,	2022	Estudo de fase 3 comparativo entre somatogon semanal e somatropina diária em crianças com DHC. Avaliação da eficácia e segurança através de análise dos resultados clínicos e de segurança ao longo do estudo.	Destaque para a relevância de considerar múltiplos aspectos, incluindo eficácia, segurança e conveniência, ao tomar decisões sobre a terapia de reposição hormonal em crianças com DHC. Esses resultados são essenciais para orientar a prática clínica e garantir o melhor cuidado possível para os pacientes pediátricos afetados por essa condição endócrina.
Maniatis et al.,	2022	Resultados do ensaio enliGHten de dois anos, analisando a segurança e eficácia do lonapegsomatropin em crianças com DHC. Utilização de metodologia baseada em ensaio clínico randomizado e controlado.	A análise detalhada dos dados ressalta os aspectos de segurança e eficácia do lonapegsomatropin, fornecendo uma avaliação abrangente do seu perfil terapêutico. Esses resultados são fundamentais para informar a prática clínica e orientar a seleção de tratamento para crianças com DHC, visando otimizar os resultados de saúde e a qualidade de vida desses pacientes.
Miller et al.,	2022	Revisão detalhada sobre a lonapegsomatropina e suas implicações no tratamento da DHC em crianças, enfocando aspectos de eficácia, segurança e praticidade.	Destaque para a necessidade de explorar abordagens terapêuticas inovadoras para atender às diversas necessidades dos pacientes pediátricos com DHC, abrindo caminho para estratégias de tratamento e resultados aprimorados nessa população.
Grillo et al.,	2023	Atualização sobre a terapia com hormônio do crescimento de longa duração (LAGH) no manejo da DHC, através de	Destaque para a importância dos esforços contínuos para otimizar as opções e resultados de tratamento para indivíduos com

Autor	Ano	Metodologia do Estudo	Principais Conclusões e Discussões
		revisão abrangente e análise crítica dos avanços recentes nas formulações de LAGH e seus benefícios potenciais.	DHC, impulsionando a inovação e o progresso no campo da endocrinologia pediátrica.
Høybye,	2023	Análise detalhada das complexidades na comparação entre tratamentos diários e de longa duração para adultos com DHC, enfatizando a necessidade de uma abordagem individualizada e baseada em evidências para maximizar os resultados do tratamento e a qualidade de vida.	Destaque para a importância crucial de considerar uma gama abrangente de fatores, incluindo eficácia, segurança e praticidade do tratamento, no esforço para alcançar resultados ótimos e melhorar a qualidade de vida desses pacientes.
Mancini et al.,	2023	Análise dos dados do Estudo Observacional Multicêntrico Retrospectivo de Crescimento Hormonal Adulto, explorando padrões de adesão e resultados clínicos em adultos com DHC através de monitoramento com Easypod™.	Destaque para a importância do monitoramento da adesão e engajamento do paciente na maximização dos benefícios da terapia de reposição hormonal, enfatizando a necessidade de abordagens personalizadas para enfrentar as barreiras e preferências individuais de adesão.
Mameli et al.,	2023	Revisão sistemática e meta-análise sobre a terapia de reposição hormonal com hormônio do crescimento de longa duração em comparação com a terapia diária em crianças com DHC, abordando eficácia, segurança, qualidade de vida, adesão e custo-efetividade.	Destaque para a importância de abordar não apenas a eficácia clínica, mas também outros aspectos cruciais da terapia, na tomada de decisões sobre o manejo da DHC em crianças. O objetivo principal é promover a melhoria da qualidade de vida e alcançar resultados otimizados a longo prazo.
Loche et al.,	2024	Apresentação dos resultados finais do estudo PATRO Children, uma pesquisa de vigilância pós-comercialização sobre a segurança e eficácia de um biossimilar do hormônio do crescimento humano recombinante em crianças com DHC.	Destaque para a importância da vigilância contínua após a introdução de terapias hormonais no mercado, garantindo a segurança e o bem-estar dos pacientes. Os dados fornecidos pelo estudo são de inestimável valor para orientar a prática clínica e ajudar os profissionais de saúde a tomar decisões fundamentadas e personalizadas para crianças com DHC.

Fonte: autoria própria.

CONSIDERAÇÕES FINAIS

As discussões realizadas por meio das referências apresentadas fornecem uma visão abrangente sobre as terapias inovadoras para a deficiência de hormônio do crescimento (DHC) em diferentes faixas etárias. A variedade de estudos, que abrangem desde ensaios clínicos até revisões sistemáticas, destaca a complexidade envolvida na seleção e otimização do tratamento para pacientes com DHC. É evidente que as opções terapêuticas estão em constante evolução, com novas formulações e estratégias sendo desenvolvidas para melhorar a eficácia, segurança e conveniência do tratamento.

Um dos principais temas abordados nas discussões é a importância da individualização do tratamento, levando em consideração não apenas a eficácia clínica, mas também outros aspectos como segurança, qualidade de vida e adesão do paciente. A necessidade de uma abordagem personalizada é enfatizada repetidamente, destacando a importância de considerar as características únicas de cada paciente ao tomar decisões terapêuticas.

Além disso, os estudos revisados ressaltam a necessidade de vigilância contínua após a introdução de novas terapias no mercado, garantindo a detecção precoce de potenciais efeitos adversos e a otimização dos resultados clínicos. A importância da pesquisa em vigilância pós-comercialização é enfatizada como uma ferramenta essencial para aprimorar a segurança e eficácia das terapias existentes.

Por fim, as discussões destacam a necessidade de colaboração entre profissionais de saúde, pesquisadores e pacientes para promover avanços significativos no manejo da DHC. A troca de conhecimentos e experiências entre diferentes especialidades e áreas de atuação é fundamental para impulsionar a inovação e melhorar os resultados de saúde para pacientes com essa condição endócrina.



REFERÊNCIAS

Deal, C. L., et al. (2022). Efficacy and Safety of Weekly Somatrogon vs Daily Somatropin in Children With Growth Hormone Deficiency: A Phase 3 Study. *The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism*, 107, e2717–e2728.

Grillo, M. S., Frank, J., & Saenger, P. (2023). Long-acting growth hormone (LAGH), an update. *Frontiers in Pediatrics*, 11, 1254231.

Høybye, C. (2023). Comparing treatment with daily and long-acting growth hormone formulations in adults with growth hormone deficiency: Challenging issues, benefits, and risks. *Best Practice & Research Clinical Endocrinology & Metabolism*, 37, 101788.

Loche, S., et al. (2024). Safety and Effectiveness of a Biosimilar Recombinant Human Growth Hormone in Children Requiring Growth Hormone Treatment: Analysis of Final Data from PATRO Children, an International, Post-Marketing Surveillance Study. *Drug Design, Development and Therapy*, 18, 667–684.

Mameli, C., Orso, M., Calcaterra, V., Wasniewska, M. G., Aversa, T., Granato, S., Bruschini, P., Guadagni, L., d'Angela, D., Spandonaro, F., Polistena, B., & Zuccotti, G. (2023). Efficacy, safety, quality of life, adherence and cost-effectiveness of long-acting growth hormone replacement therapy compared to daily growth hormone in children with growth hormone deficiency: A systematic review and meta-analysis. *Pharmacological Research*, 193, 106805.

Maniatis, A. K., et al. (2022). Safety and Efficacy of Lonapegsomatropin in Children With Growth Hormone Deficiency: enliGHten Trial 2-Year Results. *The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism*, 107, e2680–e2689.

Miller, B. S., Yuen, K. C. J., et al. (2022). Spotlight on Lonapegsomatropin Once-Weekly Injection and Its Potential in the Treatment of Growth Hormone Deficiency in Pediatric Patients. *Drug Design, Development and Therapy*, 16.

Mameli, C., Orso, M., Calcaterra, V., Wasniewska, M. G., Aversa, T., Granato, S., Bruschini, P., Guadagni, L., d'Angela, D., Spandonaro, F., Polistena, B., & Zuccotti, G. (2023). Efficacy, safety, quality of life, adherence and cost-effectiveness of long-acting growth hormone replacement therapy compared to daily growth hormone in children with growth hormone deficiency: A systematic review and meta-analysis. *Pharmacological Research*, 193, 106805.



Thornton, P. S., et al. (2021). Weekly Lonapegsomatropin in Treatment-Naïve Children With Growth Hormone Deficiency: The Phase 3 heiGHt Trial. *The Journal of Clinical Endocrinology & Metabolism*, 106(11), 3184–3195.