iDNA Saúde

TERAPIAS AVANÇADAS

Desafios e oportunidades para a garantia da assertividade e sustentabilidade ao Sistema de Saúde no Brasil

INTRODUÇÃO

As terapias avançadas representam um dos progressos mais significativos da medicina moderna, revolucionando o cuidado à saúde por meio de soluções inovadoras e personalizadas. Estas tecnologias são especialmente importantes no tratamento de doenças complexas, muitas vezes consideradas incuráveis pelos métodos convencionais. Entre os maiores avanços estão as terapias gênicas, que corrigem ou modificam o material genético; as terapias celulares, que utilizam células vivas para regenerar tecidos e combater doenças; e a engenharia tecidual, que combina células, biomateriais e biofatores para criar tecidos e órgãos artificiais. Juntas, essas abordagens estão transformando o tratamento de condições raras, cânceres agressivos, doenças degenerativas, e outras enfermidades graves.

Apesar do imenso potencial, as terapias avançadas também trazem desafios significativos. No Brasil, e em nível global, questões como alto custo de desenvolvimento, infraestrutura insuficiente e a complexidade regulatória limitam sua ampla aplicação. No entanto, essas dificuldades são acompanhadas de oportunidades, como o estímulo à colaboração entre governo, indústria e instituições de pesquisa, e o desenvolvimento de estratégias que promovam o acesso equitativo a essas inovações. Além disso, o impacto dessas terapias vai além do campo médico, desafiando sistemas de saúde, estruturas econômicas e regulamentações a se adaptarem a esse novo paradigma, pavimentando o caminho para uma medicina mais precisa, regenerativa e centrada no paciente.

CAPÍTULO 1 - O que são Terapias Avançadas

As terapias avançadas representam um marco na medicina moderna, utilizando tecnologias inovadoras para manipular células, genes ou tecidos a fim de tratar, prevenir ou curar doenças de maneira altamente personalizada e eficaz. Elas se dividem em três categorias principais:

1. TERAPIA GÊNICA

A terapia gênica atua diretamente no material genético das células humanas, com o objetivo de corrigir alterações genéticas ou introduzir novas funções. Suas principais abordagens incluem:

- **Correção de mutações genéticas:** Alteração ou reparo de genes defeituosos que causam doenças hereditárias, como fibrose cística ou distrofia muscular.
- **Inibição de genes prejudiciais:** Bloqueio da expressão de genes que favorecem o desenvolvimento de doenças, como genes associados ao câncer.
- **Inserção de novos genes:** Adição de genes terapêuticos que ajudam as células a combater doenças, como o uso de vetores virais para tratar deficiências genéticas ou estimular respostas imunológicas.
- **Avanços notáveis:** Tecnologias como CRISPR e vetores virais de última geração têm permitido maior precisão e segurança no direcionamento genético, reduzindo os riscos de efeitos adversos.

2. TERAPIA CELULAR AVANÇADA

Essa modalidade utiliza células vivas para restaurar, reparar ou substituir tecidos e funções danificadas. Entre suas principais aplicações estão:

- **Células-tronco:** Uso de células pluripotentes ou adultas para regenerar tecidos específicos, como na reparação de lesões cardíacas ou na regeneração óssea.
- **Células CAR-T:** Reprogramação de linfócitos T para identificar e destruir células tumorais, sendo especialmente eficaz em leucemias e linfomas.
- **Outras células especializadas:** Emprego de células progenitoras ou modificadas para tratar doenças autoimunes, distúrbios neurodegenerativos e lesões crônicas.
- **Vantagens únicas:** A capacidade de regeneração e a plasticidade das células vivas permitem abordar doenças que antes eram consideradas intratáveis.

3. ENGENHARIA TECIDUAL

A engenharia tecidual combina células vivas, biomateriais e fatores bioativos para criar estruturas que substituam ou regenerem tecidos e órgãos.

- **Criação de órgãos artificiais:** Desenvolvimento de órgãos completos, como fígados e corações, em laboratório para transplantes, reduzindo a dependência de doadores.
- **Regeneração de tecidos específicos:** Produção de tecidos, como pele ou cartilagem, para reparar lesões traumáticas ou tratar condições degenerativas.
- **Uso de biomateriais avançados:** Aplicação de scaffolds biocompatíveis que fornecem suporte estrutural e estimulam o crescimento celular em áreas danificadas.
- **Fatores bioativos:** Integração de moléculas sinalizadoras, como fatores de crescimento, para acelerar a regeneração natural do tecido.
- **Impactos futuros:** Combinada à bioimpressão 3D, a engenharia tecidual tem potencial para transformar o transplante de órgãos e a medicina regenerativa.

CAPÍTULO 2 - Cenário Global e Brasileiro

Os países desenvolvidos têm consolidado o protagonismo na pesquisa e aplicação de terapias avançadas, moldando o futuro da medicina com inovações tecnológicas. Nos Estados Unidos, a agência americana FDA (Food and Drug Administration) adota uma abordagem estruturada e dinâmica, promovendo vias aceleradas como o Fast Track, que prioriza tratamentos para doenças graves ou sem alternativas terapêuticas, e o Breakthrough Therapy Designation, que agiliza o desenvolvimento de terapias com evidências preliminares de eficácia superior. Na União Europeia, a agência EMA (European Medicines Agency) desempenha um papel central ao avaliar segurança e eficácia, implementando regulamentações robustas que oferecem incentivos como exclusividade de mercado e suporte técnico para empresas que desenvolvem medicamentos órfãos.

As terapias avançadas estão transformando a medicina ao introduzirem tecnologias disruptivas. Ferramentas como CRISPR e TALENs possibilitam edições genéticas altamente precisas, corrigindo mutações associadas a doenças graves. A bioimpressão 3D permite a criação de tecidos e órgãos, como pele e vasos sanguíneos, abrindo caminho para transplantes personalizados e regeneração de tecidos. Além disso, a inteligência artificial (IA) desempenha um papel estratégico ao personalizar tratamentos, prever eficácia com base em perfis genéticos e otimizar os processos de descoberta de novas terapias. Entretanto, os desafios permanecem significativos: os tratamentos atualmente disponíveis têm custos que ultrapassam milhões de dólares e apresentam barreiras financeiras consideráveis para sistemas de saúde pública. Além disso, a desigualdade no acesso é intensificada pela falta de infraestrutura adequada e financiamento insuficiente em países de baixa e média renda, onde os avanços chegam de forma limitada.

No Brasil, as terapias avançadas ainda estão em fase de consolidação, mas têm registrado avanços significativos nos últimos anos. A Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) regula esse campo emergente com normas específicas para o registro, fabricação e aplicação clínica, oferecendo um arcabouço regulatório alinhado aos padrões internacionais. Iniciativas públicas e privadas começam a criar uma base para o desenvolvimento local dessas terapias, com projetos de pesquisa em universidades e investimentos em centros especializados.

Contudo, as barreiras ainda são expressivas. A infraestrutura limitada restringe sua aplicação a poucos centros de excelência certificados, com falta de laboratórios e equipamentos essenciais para a produção local de componentes críticos, como vetores virais e células CAR-T. Essa dependência de importação eleva ainda mais os custos, dificultando a incorporação dessas terapias ao Sistema Único de Saúde (SUS). Além disso, a escassez de profissionais capacitados para integrar equipes multidisciplinares compromete a expansão e o uso efetivo dessas inovações no país. A capacitação de médicos, biólogos, farmacêuticos e engenheiros biomédicos é essencial para que o Brasil não apenas adote essas terapias, mas também participe ativamente de seu desenvolvimento. Nesse contexto, a criação de programas de formação especializados e investimentos em parcerias público-privadas são fundamentais para superar os desafios e viabilizar um sistema de saúde mais equitativo e inovador. Embora o caminho seja longo, os passos dados já indicam que o Brasil pode se tornar um ator relevante na revolução das terapias avançadas.

CAPÍTULO 3 - Regulamentação e Leis no Brasil

As terapias avançadas estão em rápida expansão, impulsionadas pelo desenvolvimento tecnológico, investimentos robustos em pesquisa e parcerias público-privadas. Mercados como os Estados Unidos e a União Europeia lideram a implementação, graças a regulamentações claras e suporte financeiro expressivo. No Brasil, embora em estágio inicial, as terapias avançadas estão ganhando relevância, com a ANVISA desempenhando um papel essencial na regulamentação e monitoramento.

A ANVISA tem publicado resoluções e instruções normativas para alinhar o Brasil com padrões internacionais:

- **RDC nº 505/2021:** Estabelece critérios para o registro de produtos de terapias avançadas.
- **RDC nº 506/2021:** Define diretrizes para a realização de ensaios clínicos com produtos de terapia avançada investigacionais.
- **RDC nº 836/2023:** Normatiza boas práticas de manipulação de células humanas para terapias.

A Lei nº 14.874, de 28 de maio de 2024, estabelece princípios e diretrizes para pesquisas envolvendo seres humanos no Brasil, e representa um marco significativo no avanço científico e na regulamentação da pesquisa no país. A lei institui o Sistema Nacional de Ética em Pesquisa com Seres Humanos, responsável por supervisionar e garantir a integridade ética dessas pesquisas. A legislação também incluiu termos importantes, como "acesso direto", que se refere à permissão concedida a agentes ou instituições autorizadas para examinar registros e relatórios de pesquisa, comprometendo-se a manter o sigilo e a confidencialidade dos dados. Outro termo é "assentimento", que é a anuência de crianças, adolescentes ou indivíduos legalmente incapazes em participar voluntariamente da pesquisa, após serem devidamente informados e esclarecidos, respeitando sua capacidade de compreensão e singularidades, sem prejuízo do necessário consentimento dos responsáveis legais.

A lei também aborda procedimentos como auditorias, definidas como exames sistemáticos e independentes das atividades e documentos relacionados à pesquisa, com o objetivo de verificar a conformidade com o protocolo estabelecido, os Procedimentos Operacionais Padrão (POPs), as boas práticas e demais exigências regulamentares. Essa legislação alinha o Brasil às melhores práticas internacionais, reduzindo barreiras burocráticas e atraindo investimentos para a realização de estudos clínicos. Além disso, ao integrar comitês éticos e fortalecer a fiscalização, promove a proteção dos participantes e a confiabilidade científica. No entanto, para que a lei alcance todo seu potencial, é essencial que sua implementação seja realizada de forma eficaz.

Diversos projetos de lei também visam transformar o cenário de acesso e desenvolvimento de terapias avançadas no Brasil, abordando aspectos cruciais para a incorporação dessas inovações à prática médica e ao SUS. Estes são alguns exemplos:

O projeto de lei (PL) 1613/2023 propõe permitir a dedução no Imposto de Renda de despesas médicas relacionadas a terapias avançadas, como terapia gênica, terapia celular (incluindo CAR-T cell), fertilização in vitro e procedimentos com robôs cirúrgicos. Essa iniciativa tem como objetivo aliviar o peso financeiro para pacientes que necessitam de tratamentos de alto custo, utilizando incentivos fiscais para ampliar o acesso às inovações tecnológicas.

O PL 758/2024 determina que pelo menos 30% dos recursos destinados a programas de pesquisa em saúde sejam aplicados no desenvolvimento de terapias voltadas para doenças raras e negligenciadas. Essa medida busca fomentar a pesquisa nacional e incentivar a criação de medicamentos e tecnologias adaptados ao SUS, promovendo soluções acessíveis para populações vulneráveis e reduzindo a dependência de importações.

O PL 667/2021 introduz o conceito de Acordo de Compartilhamento de Risco no SUS, permitindo a incorporação de terapias inovadoras mesmo com incertezas iniciais sobre eficácia ou custos. Essa abordagem inclui o monitoramento contínuo de resultados clínicos e financeiros, garantindo a alocação eficiente de recursos públicos com base em evidências. Além disso, promove maior transparência ao incluir a participação da sociedade civil no acompanhamento desses acordos.

O PL 1531/2021 busca garantir o acesso de pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) à terapia gênica pelo SUS e isenta tributos sobre medicamentos essenciais como o Zolgensma.® A proposta também incentiva deduções fiscais para doações destinadas à aquisição desses tratamentos, mobilizando recursos privados para fortalecer o sistema público.

O PL 3499/2021 propõe critérios diferenciados para a precificação de terapias avançadas pelo Conselho de Monitoramento de Medicamentos (CMED), considerando os altos custos de desenvolvimento dessas tecnologias. A medida busca viabilizar a inclusão de tratamentos inovadores no SUS, equilibrando a sustentabilidade financeira com o acesso da população.

Essas iniciativas legislativas e regulatórias criam um arcabouço integrado para promover a pesquisa, o desenvolvimento e o acesso às terapias avançadas no Brasil, fortalecendo o sistema de saúde no país.

CAPÍTULO 4 - Passo a Passo para Incorporação de Terapias Avançadas

A incorporação de terapias avançadas no SUS envolve identificar prioridades de saúde, analisar evidências científicas, submeter propostas à Conitec e realizar consultas públicas. Para que esse processo ocorra de forma eficaz, é essencial avaliar a sustentabilidade financeira, buscar parcerias, capacitar equipes, adequar a infraestrutura e estimular a produção nacional. Após regulamentar e certificar centros, as terapias devem ser implementadas gradualmente, com monitoramento contínuo e educação da sociedade e profissionais para garantir acesso seguro e sustentável.

A lista de produtos de terapias avançadas é disponibilizada pela ANVISA, visando à transparência à população.

REGISTROS EM 2020:

Luxturna®(Voretigeno neparvoveque)

O Luxturna®foi o primeiro produto de terapia gênica registrado no Brasil. Ele foi aprovado pela ANVISA para tratar a perda de visão causada por uma mutação genética no gene RPE65, comum em pessoas com distrofia hereditária da retina. O tratamento é indicado para crianças a partir de 4 anos e adultos que ainda tenham células da retina viáveis. Essa terapia permite o restabelecimento da visão funcional, especialmente em ambientes de baixa luminosidade, devolvendo aos pacientes uma parte significativa de sua capacidade visual. Com uma única aplicação subretiniana, o Luxturna® proporciona benefícios de longo prazo, reduzindo a progressão da doença e melhorando a qualidade de vida.

Zolgensma®(Onasemnogeno abeparvoveque)

O Zolgensma é uma terapia gênica inovadora aprovada pela ANVISA para tratar a Atrofia Muscular Espinhal (AME), uma doença genética grave que afeta os neurônios motores, levando à fraqueza muscular progressiva e, em casos severos, à morte precoce. O tratamento é indicado para crianças com até 2 anos, com AME tipo 1, e consiste em uma infusão intravenosa única que introduz uma cópia funcional do gene SMN1, ausente ou defeituoso nos pacientes, permitindo a produção da proteína essencial para a sobrevivência dos neurônios motores.

Devido ao seu alto custo, o Ministério da Saúde firmou um acordo de compartilhamento de risco com a fabricante Novartis. Nesse modelo, o pagamento pelo tratamento é feito de forma parcelada ao longo de cinco anos e condicionado aos resultados clínicos positivos apresentados pelos pacientes. Essa abordagem visa tornar a terapia acessível e sustentável para o SUS, garantindo que recursos públicos sejam alocados com base em resultados mensuráveis.

No entanto, a implementação do acordo enfrentou atrasos. O prazo inicial de 180 dias para a oferta da tecnologia no SUS expirou em junho de 2024. Isso levou muitas famílias a recorrerem à judicialização para obter o tratamento, gerando custos adicionais ao governo e dificultando o acesso equitativo.

Além disso, a ANVISA firmou um Termo de Compromisso com a Novartis para garantir a segurança e eficácia do medicamento no Brasil. Esse acordo inclui a realização de estudos de acompanhamento até 2031, monitorando os resultados clínicos em longo

prazo e possíveis efeitos adversos. A Novartis também deve apresentar relatórios anuais detalhando esses resultados e manter transparência com os dados coletados.

REGISTROS EM 2022:

Carvykti®(Citacabtageno autoleucel)

O Carvykti®é uma terapia gênica inovadora aprovada pela ANVISA para o tratamento de pacientes adultos com mieloma múltiplo, um tipo de câncer que afeta as células plasmáticas da medula óssea. Essa terapia utiliza células T do próprio paciente, modificadas geneticamente para reconhecer e combater as células cancerígenas.

A sua aprovação foi condicionada à apresentação de dados adicionais de eficácia e segurança. A empresa responsável, Janssen-Cilag Farmacêutica Ltda., comprometeu-se a fornecer esses dados conforme um cronograma estabelecido, incluindo relatórios de estudos clínicos em andamento e protocolos de novos estudos envolvendo pacientes brasileiros. Esse compromisso visa garantir que o tratamento ofereça benefícios reais e seguros aos pacientes.

Kymriah®(Tisagenlecleucel)

O Kymriah®é uma terapia gênica inovadora aprovada pela ANVISA para tratar certos tipos de câncer hematológico. Essa abordagem utiliza as próprias células T do paciente, que são coletadas, geneticamente modificadas para reconhecer e combater células cancerígenas, e posteriormente re-infundidas no paciente. O tratamento é indicado para pacientes pediátricos e adultos jovens (até 25 anos) com leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B refratária ou em recidiva, bem como para adultos com linfoma difuso de grandes células B (LDGCB) após falha de pelo menos duas linhas de terapia sistêmica.

Yescarta®(Axicabtageno ciloleucel)

O Yescarta®é uma terapia gênica inovadora aprovada pela ANVISA para o tratamento de pacientes adultos com linfoma de grandes células B (LDGCB) que não responderam a
tratamentos anteriores ou tiveram recaídas. Essa terapia utiliza células T do próprio paciente, modificadas geneticamente para reconhecer e combater as células cancerígenas.

Estudos clínicos demonstraram que a terapia pode alcançar taxas significativas de resposta completa, mesmo em pacientes que já passaram por várias linhas de tratamento sem sucesso. Ademais, por utilizar as células do próprio paciente, a terapia é altamente direcionada, reduzindo o risco de rejeição e maximizando a eficácia no combate às células tumorais.

Para garantir a eficácia e segurança da tecnologia, a ANVISA firmou um Termo de Compromisso com a Gilead Sciences Farmacêutica do Brasil Ltda. Nesse acordo, a empresa se compromete a fornecer dados adicionais de estudos que acompanham os pacientes a longo prazo, assegurando que os benefícios do tratamento sejam mantidos e que possíveis efeitos adversos sejam monitorados. Além disso, a empresa deve submeter protocolos de estudos para avaliação da ANVISA contribuindo para o aprimoramento contínuo do uso dessa terapia no país.

REGISTROS EM 2023:

Tecartus®(Brexucabtageno autoleucel)

O Tecartus®é uma terapia gênica inovadora desenvolvida pelo laboratório Kite, parte do grupo Gilead Sciences Farmacêutica do Brasil. A terapia é indicada para o tratamento de adultos com linfoma de células do manto (LCM) que não responderam ou tiveram recaída após dois ou mais tratamentos anteriores. Além disso, também foi aprovado para tratar leucemia linfoblástica aguda (LLA) recorrente ou refratária a terapias anteriores. Seu funcionamento baseia-se na modificação genética das células T do próprio paciente para que produzam uma proteína chamada receptor antigênico quimérico (CAR). Essa proteína permite que as células T reconheçam e ataquem as células cancerosas que expressam o antígeno CD19, promovendo a eliminação do câncer do organismo. A aprovação do Tecartus® pela ANVISA representa um avanço significativo no tratamento de cânceres hematológicos no Brasil.

REGISTROS EM 2024:

Roctavian®(valoctocogeno roxaparvoveque)

O Roctavian®é uma terapia gênica inovadora aprovada de pacientes adultos com hemofilia A grave, caracterizada pela deficiência do Fator VIII, uma proteína essencial para a coagulação sanguínea. O medicamento utiliza um vetor viral seguro para transportar um gene terapêutico que, ao ser expresso no fígado, aumenta os níveis de Fator VIII no sangue, reduzindo o risco de sangramentos descontrolados.

A administração do Roctavian®é realizada em dose única por infusão intravenosa. Para ser elegível ao tratamento, o paciente não deve ter histórico de inibidores do Fator VIII nem anticorpos detectáveis contra o vírus adenoassociado do sorotipo 5 (AAV5). Embora os resultados sejam promissores, foram observados efeitos adversos em alguns pacientes, como elevações transitórias das enzimas hepáticas (indicando estresse no fígado) e reações alérgicas leves. Por isso, o acompanhamento clínico após a infusão é essencial para garantir a segurança do tratamento. Para assegurar a segurança e eficácia, em longo prazo, a ANVISA firmou um Termo de Compromisso com a fabricante, que obriga a empresa a realizar estudos de acompanhamento para monitorar os resultados clínicos ao longo dos anos. enviar relatórios periódicos detalhando a eficácia e segurança do medicamento em pacientes brasileiros e implementar protocolos de manejo de possíveis efeitos adversos.

Upstaza®(eladocageno exuparvoveque)

Uma terapia gênica inovadora destinada ao tratamento de crianças de 18 meses a 18 anos com deficiência da descarboxilase de L-aminoácido aromático (AADC) em sua forma grave. Essa condição rara é debilitante e potencialmente fatal, afetando o sistema nervoso e resultando em sintomas como atrasos no desenvolvimento, hipotonia e dificuldades motoras. O Upstaza®é administrado diretamente no putâmen, uma região específica do cérebro, por meio de um procedimento neurocirúrgico estereotáxico. Essa abordagem permite a entrega precisa do gene funcional que codifica a enzima AADC, essencial para a produção de dopamina, um neurotransmissor crucial para o controle motor. Estudos clínicos demonstraram que pacientes tratados com Upstaza apresentaram melhorias significativas em marcos motores, como a capacidade de sentar, ficar em pé e andar, além de avanços cognitivos e de linguagem. Esses benefícios foram observados já nos primeiros meses após o tratamento e mantiveram-se por até dez anos.

Devido à raridade da condição e à necessidade de dados adicionais sobre a eficácia e segurança a longo prazo, a ANVISA estabeleceu um Termo de Compromisso com a empresa PTC Farmacêutica do Brasil Ltda. Este acordo exige que a empresa forneça informações contínuas sobre os pacientes tratados, incluindo um acompanhamento de 15 anos dos participantes dos ensaios clínicos e estudos observacionais de efetividade e segurança dos pacientes tratados no Brasil e globalmente. Esses estudos serão realizados conforme protocolos acordados, assegurando o monitoramento contínuo dos resultados do tratamento.

Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque)

Em dezembro de 2024, a Anvisa aprovou o registro do Elevidys®, a primeira terapia gênica destinada ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) no Brasil. Indicada para crianças deambuladoras entre 4 e 7 anos, essa terapia utiliza um vetor viral para introduzir no organismo um gene que codifica a microdistrofina, uma proteína que substitui parcialmente a função da distrofina ausente ou defeituosa, visando restaurar a função muscular. A administração do Elevidys® é realizada em dose única por infusão intravenosa, com a quantidade ajustada conforme o peso da criança. Estudos clínicos indicaram que o medicamento estabiliza e apresenta tendência de melhorar a doença em desfechos funcionais importantes, como a capacidade de ficar em pé, caminhar e subir escadas. No entanto, foram observados efeitos adversos, incluindo vômitos, náuseas, lesão hepática aguda, febre e trombocitopenia. Portanto, é essencial o monitoramento da função hepática antes do tratamento e semanalmente nos primeiros três meses após a administração.

O registro foi concedido em caráter excepcional, devido à gravidade da DMD e à ausência de alternativas terapêuticas eficazes. A Anvisa firmou um Termo de Compromisso com a empresa responsável, exigindo a realização de estudos de acompanhamento para monitorar a eficácia e segurança do medicamento em longo prazo, assegurando o uso racional e eficaz dos recursos disponíveis e promovendo melhorias na qualidade de vida dos pacientes.

CAPÍTULO 5 - Desafios e Oportunidades

As terapias avançadas apresentam desafios importantes para sua ampla adoção e acesso pela população. O alto custo desses tratamentos, resultado de processos complexos de pesquisa e desenvolvimento, faz com que muitos sistemas de saúde e pacientes tenham dificuldade em arcar com os valores envolvidos. Além disso, a burocracia regulatória, necessária para garantir a segurança e eficácia, muitas vezes se torna um entrave, aumentando o tempo necessário para que essas terapias cheguem ao mercado e estejam disponíveis para quem precisa. Outro ponto crítico é a falta de infraestrutura adequada, que inclui laboratórios especializados, equipamentos modernos e profissionais treinados, fatores especialmente limitantes em regiões com menos recursos ou menos investimento em saúde de alta complexidade.

Apesar dessas dificuldades, as terapias avançadas trazem grandes oportunidades de transformação no cuidado à saúde. Elas oferecem tratamentos inovadores para pacientes com doenças raras ou condições graves que antes não tinham opções eficazes. Além disso, incentivam a criação de parcerias estratégicas entre o governo, centros de pesquisa e a indústria farmacêutica, promovendo colaboração para superar barreiras e desenvolver soluções viáveis. Essas parcerias podem facilitar o financiamento sustentável, como subsídios governamentais ou modelos baseados em

valor, que relacionam o custo dos tratamentos aos resultados que eles entregam para os pacientes. Dessa forma, as terapias avançadas têm o potencial de não apenas revolucionar a medicina, mas também de promover um acesso mais amplo e equitativo à saúde.

CAPÍTULO 6 - Conclusão e Próximos Passos

O avanço das terapias avançadas no Brasil exige esforços conjuntos entre o governo, setor privado e sociedade civil, integrando estratégias coordenadas para superar desafios e garantir acesso mais amplo e equitativo. Para consolidar essas inovações, algumas ações práticas se destacam:

1. REGULAMENTAÇÃO E POLÍTICAS PÚBLICAS

- Harmonizar as normas brasileiras com padrões internacionais para agilizar a aprovação de terapias sem comprometer a segurança ou eficácia.
- Criar diretrizes específicas para terapias avançadas, como terapia gênica e celular, considerando as particularidades de cada tecnologia.
- Estabelecer processos regulatórios mais transparentes e previsíveis, reduzindo a burocracia e os custos associados ao desenvolvimento e comercialização.

2. PARCERIAS PÚBLICO-PRIVADAS (PPPS)

- Fomentar a cooperação entre o governo, universidades, e empresas farmacêuticas para compartilhar riscos e custos na pesquisa e desenvolvimento de terapias.
- Criar incentivos para que o setor privado invista em infraestrutura local, como fábricas de vetores virais e centros de terapia celular.
- Ampliar parcerias para a distribuição de terapias, com foco em regiões com infraestrutura limitada.

3. CAPACITAÇÃO E INFRAESTRUTURA

- Investir na formação de profissionais especializados, como pesquisadores, médicos e técnicos, essenciais para a aplicação e acompanhamento das terapias.
- Expandir e modernizar laboratórios, centros de pesquisa e hospitais, garantindo capacidade para desenvolver e aplicar essas terapias no Brasil.
- Estimular a produção nacional de insumos, como vetores virais e materiais biológicos, reduzindo a dependência de importações.

4. ENGAJAMENTO DA SOCIEDADE CIVIL

- Promover campanhas de conscientização sobre os benefícios, desafios e limitações das terapias avançadas, para aumentar a aceitação pública.
- Incluir representantes da sociedade civil nos debates sobre políticas públicas e regulamentações, garantindo que as decisões reflitam as necessidades da população.
- Facilitar o acesso à informação clara e acessível, empoderando pacientes e comunidades a compreenderem e apoiarem essas inovações.

5. SUSTENTABILIDADE FINANCEIRA

- Desenvolver modelos de financiamento que tornem as terapias acessíveis, como incentivos fiscais, subsídios governamentais e parcerias com o setor privado.
- Implementar estratégias baseadas em valor, onde os custos das terapias são relacionados aos benefícios que proporcionam aos pacientes e ao sistema de saúde.
- Criar fundos específicos para financiar o acesso a terapias de alto custo, garantindo que pacientes em situações críticas sejam atendidos.

Com essas ações coordenadas, o Brasil iria acompanhar as tendências globais e se posicionar como referência no desenvolvimento e aplicação de terapias avançadas, promovendo saúde e inovação de forma inclusiva e sustentável.

REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Carta de aprovação de produto de terapia avançada: Carvykti® (Citacabtageno autoleucel). Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/cartas-de-aprovacao/CartadeAprovaoCarvykti.pdf.** Acesso em: 28 nov. 2024.

2. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Carta de aprovação de produto de terapia avançada: Roctavian® (Valoctocogeno roxaparvoveque). Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/cartas-de-aprovacao/CartadeAprovao_Yescarta.pdf.** Acesso em: 28 nov. 2024.

3. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Carta de aprovação de produto de terapia avançada: Tecartus® (Brexucabtageno autoleucel). Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/cartas-de-aprovacao/CartadeAprovaoTecartus.pdf.** Acesso em: 28 nov. 2024.

4. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Carta de aprovação de produto de terapia avançada: Upstaza® (Eladocageno exuparvoveque). Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/cartas-de-aprovacao/CartadeAprovao_Upstaza.pdf.** Acesso em: 28 nov. 2024.

5. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Carta de aprovação de produto de terapia avançada: Yescarta® (Axicabtageno ciloleucel). Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/cartas-de-aprovacao/CartadeAprovao_Yescarta.pdf.** Acesso em: 28 nov. 2024.

6. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Carta de aprovação de produto de terapia avançada: Zolgensma® (Onasemnogeno abeparvoveque). Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/cartas-de-aprovacao/carta-de-aprovacao-zolgensma-diagramada.pdf.** Acesso em: 28 nov. 2024.

7. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Lista de produtos de terapias avançadas registrados. Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/produtos-registr ados.** Acesso em: 28 nov. 2024.

8. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). RDC nº 505, de 27 de maio de 2021. Disponível em: **https://antigo.anvisa.gov.br/documents/10181/6278627/RDC_505_2021_.pdf/43ac298e-1ade-44f0-9f98-22f0b2477255.** Acesso em: 28 nov. 2024.

9. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). RDC nº 506, de 27 de maio de 2021. Disponível em: **https://antigo.anvisa.gov.br/legislacao#/visualizar/451286.** Acesso em: 28 nov. 2024.

10. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). RDC nº 836, de 27 de julho de 2023. Disponível em: **https://antigo.anvisa.gov.br/documents/10181/6633884/RDC_836_2023_.pdf/e48fb173-1c4f-4617-a32e-b4c4c7d4db5f.** Acesso em: 28 nov. 2024.

11. AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (ANVISA). Termo de Compromisso para complementação de dados e provas adicionais comprobatórias de eficácia clínica para registro de produto de terapia avançada classe II: Zolgensma® (Onasemnogeno abeparvoveque). Disponível em: **https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/termos-de-compromisso/tc_ZolgensmaPortal.pdf.** Acesso em: 28 nov. 2024.

12. BRASIL. Lei nº 14.874, de 28 de maio de 2024. Diário Oficial da União.

13. BRASIL. Projeto de Lei nº 1531, de 2021.

14. BRASIL. Projeto de Lei nº 1613, de 2023.

15. BRASIL. Projeto de Lei nº 3499, de 2021.

16. BRASIL. Projeto de Lei nº 667, de 2021.

17. BRASIL. Projeto de Lei nº 758, de 2024.

iDNA Saúde

Apoio

SBGM; Kat; R2F

Patrocinadores

Gilead I Kite; J&J; Novartis; Pfizer;
Roche; Sanofi e Ultragenyx.