



Terapias Avançadas no Brasil: Redes de Conhecimento, Desafios para o SUS e Oportunidades para o Complexo Econômico-Industrial da Saúde

Marco Antonio Vargas¹; Rafael Macharete²; Paula Teixeira Neto³; Igor Ferreira Bueno⁴

Resumo: Este artigo discute a importância do segmento de terapias avançadas no âmbito da nova Estratégia Nacional para o Desenvolvimento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (CEIS). O artigo analisa o estado atual das redes de conhecimento científico e tecnológico em terapias avançadas, em âmbito nacional e mundial, tendo em vista a identificação de instituições-chave, principais comunidades científicas e redes de colaboração. Em termos metodológicos, o artigo se baseia no uso de técnicas de análise bibliométrica e modelagem de redes complexas a partir de dados de publicações científicas e patentes. A análise mostra um aumento significativo nas publicações científicas em terapias avançadas a partir da década de 1990, num contexto em que países como Estados Unidos e a China emergiram como atores dominantes, não somente na produção de conhecimento científico, mas também na apropriação do domínio tecnológico e na produção. O Brasil ocupa a 16ª posição em termos de publicações científicas em terapias avançada, o que representa cerca de 1,52% do total global de publicações no período analisado entre 1947 e 2024. Apesar do papel central de instituições como a USP que responde por cerca de um terço da produção científica nacional em terapias avançadas, a análise das redes de colaboração científica no Brasil evidencia a existência de diversas comunidades científicas que apresentam um caráter regionalizado, apresentam particularidades importantes nas suas linhas de pesquisa e apresentam diferentes graus de articulação entre diferentes segmentos de atores instituições como universidades, institutos de pesquisa e hospitais.

Palavras-chave: terapias avançadas; redes complexas, políticas de CT&I; inovação em saúde, Complexo Econômico-Industrial da Saúde

Código JEL: C02; O33; I15

Área Temática: 4.4. Redes de inovação alianças de P&D, interações universidade-empresa, outras redes

¹ Universidade Federal Fluminense, mvargas@id.uff.br

² Universidade Federal Fluminense, rafael_macharete@id.uff.br

³ Instituto Nacional de Infectologia Evandro Chagas -INI/Fiocruz, paulatneto@gmail.com

⁴ Financiadora de Estudos e Projetos – Finep, bueno.if@gmail.com

Advanced Therapies in Brazil: Knowledge Networks, Challenges for the SUS and Opportunities for the Health Economic-Industrial Complex

Abstract: This article discusses the importance of the advanced therapies segment within the scope of the new National Strategy for the Development of the Health Economic-Industrial Complex (CEIS). The article analyzes the current state of scientific and technological knowledge networks in advanced therapies, at national and global levels, with a view to identifying key institutions, main scientific communities and collaboration networks. In methodological terms, the article is based on the use of bibliometric analysis techniques and complex network modeling from data on scientific publications and patents. The analysis shows a significant increase in scientific publications in advanced therapies since the 1990s, in a context in which countries such as the United States and China have emerged as dominant players, not only in the production of scientific knowledge, but also in the appropriation of the technological domain and in production. Brazil ranks 16th in terms of scientific publications on advanced therapies, which represents approximately 1.52% of the global total of publications in the period analyzed between 1947 and 2024. Despite the central role of institutions such as USP, which accounts for approximately one third of the national scientific production on advanced therapies, the analysis of scientific collaboration networks in Brazil highlights the existence of several scientific communities that have a regionalized character, present important particularities in their lines of research and present different degrees of articulation between different segments of actors - institutions such as universities, research institutes and hospitals.

Keywords: advanced therapies; complex networks, ST&I policies; health innovation, Health Economic-Industrial Complex

1. Introdução

No processo de retomada da política industrial e de inovação no Brasil a partir de 2022, o governo federal lançou, em janeiro de 2024, o Plano Nova Indústria Brasil (NIB). Esta nova rodada da política industrial parte de um diagnóstico consensual acerca da vulnerabilidade da indústria brasileira, e define áreas estratégicas, metas e ações para investimento até 2033, considerando o impacto potencial no desenvolvimento social e econômico do país, e a partir de uma perspectiva orientada por missões (MAZZUCATO, 2019).

Uma das seis missões definidas a partir da NIB, coloca como um dos seus focos centrais a superação e gargalos estruturais nos diversos segmentos do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (CEIS) para reduzir as vulnerabilidades do Sistema Único de Saúde (SUS) e ampliar o acesso à saúde (Missão 2). Diante de um cenário atual no qual a produção nacional responde por 42% da demanda total em produtos e insumos de saúde, a principal meta da política reside na nacionalização de 70% das demandas em medicamentos, vacinas, equipamentos e dispositivos médicos, materiais e outros insumos e tecnologias em saúde. (BRASIL, 2024). Os desafios e metas estabelecidos no âmbito do Plano Nova Indústria Brasil (NIB) para a Missão 2, refletem integralmente a nova Estratégia Nacional para o Desenvolvimento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (BRASIL, 2023), instituída através de um decreto presidencial em setembro de 2023. Neste novo cenário, O CEIS volta a assumir o protagonismo no desenho da nova política industrial brasileira e na construção de uma nova agenda nacional de desenvolvimento centrada na redução da desigualdade e na promoção do acesso universal à saúde (BRASIL, 2024)⁵. Dentre os desafios propostos na Matriz de Desafios Produtivos e Tecnológicos, que orienta a nova estratégia de desenvolvimento do CEIS, destaca-se o domínio de plataformas tecnológicas e produtivas para terapias avançadas.

As terapias avançadas, como imunoterapia adotiva, engenharia tecidual e terapia gênica, estão revolucionando o tratamento de doenças complexas e raras, oferecendo novas possibilidades de cura e manejo. Contudo, o alto custo desses tratamentos, aliado à dependência tecnológica do país, tem gerado desafios significativos para o Sistema Único de Saúde (SUS) no Brasil. Tal quadro evidencia as limitações da base produtiva e tecnológica em saúde no Brasil, particularmente no tocante aos medicamentos e terapias com maior complexidade tecnológica, e amplia a vulnerabilidade do sistema de saúde brasileiro. Neste aspecto, a consolidação de competências tecnológicas e produtivas nacionais no segmento de terapias avançadas representa um nicho estratégico para o país tanto por razões de ordem sanitária como econômica, e suscita a implementação de políticas públicas voltadas ao fortalecimento da infraestrutura de CT&I neste segmento. Entretanto, o desenho de tais políticas pressupõe uma maior compreensão sobre o estado atual das competências científicas e tecnológicas em terapias avançadas no Brasil.

O objetivo do artigo é analisar o estado atual das redes de conhecimento científico e tecnológico em terapias avançadas, em âmbito nacional e mundial, tendo em vista a identificação de instituições-chave, principais comunidades científicas, redes de colaboração e áreas de especialização tais como imunoterapia adotiva, engenharia tecidual e terapia gênica. Em particular, o artigo busca explorar um conjunto de elementos analíticos que contemplam: i) o mapeamento dos principais atores globais e nacionais na produção de competências científicas e tecnológicas em terapias avançadas ii) identificação das principais comunidades científicas e padrões de patenteamento em terapias avançadas no Brasil; iii) análise do perfil de fomento público à inovação nos diferentes segmentos de terapias avançadas no Brasil.

Em termos conceituais, o artigo fundamenta-se numa discussão sobre o processo de inovação no setor farmacêutico (GELIJNS; ROSENBERG, 1995; CORIAT, ORSI, e WEINSTEIN, 2003, MALERBA e ORSENIGO, 2015; ARORA. GAMBARDELLA, 1995) que destaca o caráter complexo, interativo, não linear e crescentemente dependente do estabelecimento de redes de colaboração científica e tecnológica

⁵ As diretrizes da nova Estratégia Nacional para o Desenvolvimento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde foram anunciadas pelo MS, em dezembro de 2023, e encontram-se sintetizadas na “Matriz de Desafios Produtivos e Tecnológicos”. Essa matriz foi estruturada em torno de treze grandes desafios relacionados a dois grandes blocos temáticos: i) preparação do sistema nacional de saúde para emergências sanitárias e, ii) doenças e agravos críticos para o SUS.

que permitem o acesso de empresas farmacêuticas e biofarmacêuticas a fontes externas de conhecimento. Adicionalmente, a análise assume que tais redes de colaboração e os processos de aprendizado interativo estabelecido entre os diferentes agentes do sistema de inovação biofarmacêutico, se encontram fortemente condicionadas pela natureza específica dos sistemas nacionais de inovação que decorrem de processos históricos e de condições socioeconômicas, políticas, culturais e institucionais de cada país (FREEMAN, 1987; LUNDVALL, 1992, EDQUIST, 1997). Por fim, assume-se que essa visão sistêmica da inovação em saúde deve necessariamente estar vinculada a uma visão normativa que contemple a articulação entre as dimensões da inovação, da base produtiva e do bem-estar social (GADELHA et al, 2013).

O artigo encontra-se organizado em torno de quatro seções, além desta introdução. A próxima seção discute os aspectos metodológicos do estudo, com ênfase na aplicação da análise bibliométrica e na modelagem de redes complexas. A terceira seção discute a importância do segmento de terapias avançadas como um dos nichos estratégicos para a produção em saúde, avalia o impacto orçamentário decorrente da incorporação destes produtos no Sistema Único de Saúde e busca identificar o panorama atual de financiamento de inovações no campo das terapias avançadas no Brasil a partir do papel da Finep (Financiadora de Estudos e Projetos). A quarta seção, traz a análise das redes de colaboração científica e tecnológica em terapia avançada no Brasil e no mundo com foco particular no segmento de terapia gênica. A análise permite identificar as diferentes redes de colaboração científica e tecnológica que atuam com pesquisa e inovação neste segmento no país. Por fim, a quinta seção apresenta as conclusões do estudo e busca apontar os principais desafios e oportunidades para promoção de avanços no desenvolvimento do segmento de terapias avançadas no âmbito das políticas de fomento ao Complexo Econômico-Industrial da Saúde.

2. Aspectos metodológicos

Em termos metodológicos, além do uso de técnicas de análise bibliométrica⁶ e modelagem de redes complexas a partir de dados de publicações científicas e patentes, o artigo baseia-se na revisão de literatura e sistematização de informações e dados secundários, relativos ao contexto atual das ações de regulação e fomento relacionadas ao segmento de terapias avançadas a partir de dados da ANVISA e da Finep.

Para a análise da produção científica, utilizou-se a base de dados Web of Science, uma das plataformas mais abrangentes e reconhecidas internacionalmente para indexação de publicações científicas. Essa base permitiu a extração de artigos publicados entre 1946 e 2024, abrangendo um período representativo da evolução científica em áreas como terapia gênica, terapia celular e engenharia tecidual. Informações como títulos, palavras-chave, resumos, autoria e filiação institucional foram analisadas para construir redes de coautoria e explorar padrões colaborativos globais.

O mapeamento dos depósitos de patentes relacionadas às terapias avançadas no mesmo período envolveu o uso da base Derwent Innovations Index. Essa plataforma, amplamente reconhecida por oferecer dados detalhados e padronizados sobre patentes, facilitou a identificação de tendências em inovação tecnológica, destacando atores institucionais relevantes e pontos de convergência entre a pesquisa acadêmica e o desenvolvimento tecnológico.

Para contextualizar o cenário brasileiro, foram utilizados dados da ANVISA (Agência Nacional de Vigilância Sanitária), com foco nos produtos de terapias avançadas regulamentados no país. Além disso, foi mapeada a infraestrutura clínica, destacando centros clínicos brasileiros envolvidos na pesquisa e aplicação de terapias avançadas. Essa análise forneceu uma visão sobre o panorama local, incluindo desafios regulatórios, capacidades produtivas e áreas de destaque na adoção de tecnologias como terapias CAR-T e terapia gênica. Além disso, complementarmente foram mapeadas as regulamentações e aprovações de produtos de terapias avançadas (PTAs) em diferentes países⁷.

⁶ A análise bibliométrica é uma abordagem metodológica que analisa e forma quantitativa e qualitativa a dinâmica de produção científica a partir da análise de periódicos, e pode ser usada para análise de redes de colaboração científica em termos de áreas, autores e regiões mais influentes no contexto de publicações.

⁷ Nos Estados Unidos, dados foram extraídos do banco de dados da FDA (Food and Drug Administration), supervisionado pelo Center for Biologics Evaluation and Research (CBER), que regula produtos biológicos, incluindo terapias avançadas

Essa integração de informações foi essencial para mapear os principais polos de desenvolvimento clínico em terapias avançadas e forneceu uma visão abrangente e integrada da produção científica, tecnológica e clínica em terapias avançadas, permitindo uma análise detalhada e comparativa entre diferentes países e regiões. Esse conjunto de informações foi fundamental para identificar tendências globais, lacunas locais e oportunidades estratégicas para o avanço das terapias avançadas no Brasil e no mundo.

Para análise bibliométrica, utilizou-se o pacote Bibliometrix no ambiente R, amplamente reconhecido por sua eficiência na análise de grandes volumes de dados científicos. O objetivo foi identificar padrões de produção acadêmica, colaboração entre autores e instituições, e tendências temáticas no campo das terapias avançadas (ARIA & CUCCURULLO, 2017). A estruturação da busca bibliográfica baseou-se em três temas principais — imunoterapia adotiva, engenharia tecidual e terapia gênica —, cada um associado a um conjunto modular de descritores. Esses descritores foram obtidos inicialmente a partir das bases controladas DeCS (Descritores em Ciências da Saúde) e MeSH (Medical Subject Headings), que forneceram terminologias padronizadas em português, inglês e espanhol. Em uma etapa posterior, novas palavras-chave foram identificadas por meio de técnicas de mineração de texto nas bases Web of Science e Derwent Innovations Index, ampliando e refinando os termos empregados. A análise iniciou-se com a extração de metadados das publicações, abrangendo títulos, palavras-chave, resumos, autores e afiliações institucionais.

A modelagem das redes complexas envolveu o uso de medidas de centralidade. A centralidade é uma métrica fundamental para compreender a importância de nós em redes, especialmente no contexto de redes científicas, onde os nós representam pesquisadores ou instituições, e as arestas indicam relações como coautorias ou colaborações institucionais. Diferentes tipos de centralidade oferecem perspectivas complementares sobre a influência e o papel estratégico desses atores. A centralidade de grau, por exemplo, mede o número de conexões diretas de um nó, sendo útil para identificar pesquisadores ou instituições com o maior volume de colaborações. Esse tipo de análise pode destacar os indivíduos ou entidades mais ativas dentro de uma rede, os quais frequentemente desempenham papéis significativos na disseminação de conhecimento e na formação de novos vínculos (BARABÁSI, 2015; NEWMAN, 2018; BASTIAN, HEYMANN, JACOMY, 2009)).

3. Terapias avançadas: panorama do mercado, impactos no SUS e estratégias de fomento no Brasil

As tendências tecnológicas na indústria biofarmacêutica e têm apontado para transformações significativas nas áreas de conhecimento e plataformas tecnológicas associadas aos diversos estágios da cadeia de PD&I. Tais transformações decorrem da crescente integração e convergência entre diferentes plataformas, como a da biologia molecular (genômica, proteômica etc.), bioinformática e bioimagem, nanobiotecnologia, ciências de materiais e as novas plataformas tecnológicas digitais. Essa convergência, além de alterar os padrões de demanda dos serviços de saúde e as tecnologias disponíveis para atendimento dessas demandas, traz importantes implicações para o País em termos do investimento na formação de recursos humanos qualificados em novas áreas de conhecimento e tecnologias (VARGAS, 2024)

Os produtos de terapia avançada são produtos farmacêuticos, obtidos a partir de células e tecidos humanos que foram submetidos a um processo de fabricação, ou que consistem em ácidos nucleicos recombinantes e que tem como objetivo regular, reparar, substituir, adicionar, deletar ou editar uma sequência genética ou modificar a expressão de um gene (Anvisa, 2024a).

Embora esses produtos também possam ser considerados como “produtos biológicos”, possuem características distintas e únicas que justificam sua classificação como um tipo diferente de medicamentos. De forma geral, consistem em três tipos: i) *medicamentos de terapia gênica*: são aqueles que contêm genes que conduzem a um efeito terapêutico, profilático ou de diagnóstico. Eles trabalham inserindo genes 'recombinantes' no corpo, geralmente para tratar uma variedade de doenças,

como CAR-T e engenharia tecidual. A análise incluiu informações sobre produtos aprovados, desenvolvedores e padrões regulatórios. Na China, os dados foram obtidos da NMPA (National Medical Products Administration), responsável pela regulação de terapias avançadas no contexto de uma biotecnologia em rápida expansão no país. Já na União Europeia, a EMA (European Medicines Agency) foi a principal fonte de dados, com ênfase em aprovações específicas na Alemanha, verificadas através do Paul-Ehrlich-Institut (PEI), que desempenha um papel central na regulação de produtos biológicos

incluindo distúrbios genéticos, câncer ou doenças de longo prazo. Um gene recombinante é um trecho de DNA criado em laboratório, reunindo DNA de diferentes fontes; ii) *medicamentos de terapia com células somáticas*: contêm células ou tecidos que foram manipulados para alterar as suas características biológicas ou células ou tecidos não destinados a serem utilizados para as mesmas funções essenciais do organismo. Eles podem ser usados para curar, diagnosticar ou prevenir doenças; iii) *medicamentos de engenharia de tecidos*: contêm células ou tecidos que foram modificados para que possam ser usados para reparar, regenerar ou substituir tecidos humanos (GOULA e al., 2020).

De acordo com dados da consultoria Straitsresearch (2024), o mercado global de produtos medicinais de terapia avançada (ATMP) estava estimado em US\$ 11,99 bilhões em 2023, e projeta-se um crescimento para US\$ 35,59 bilhões até 2032. Este crescimento será impulsionado pelo aumento de investimentos em terapias genéticas e celulares, avanços na medicina regenerativa e expansão de aprovações regulatórias, que estão acelerando o desenvolvimento e a comercialização de novas terapias. Esse crescimento reflete também a crescente incorporação de produtos ou procedimentos de engenharia de tecidos na prática médica, particularmente em tratamentos que exigem a restauração funcional de qualquer parte doente ou lesionada do corpo. Entre as principais empresas neste mercado destacam-se: Spark Therapeutics, Inc.; Bluebird Bio, Inc.; Novartis AG; UniQure N.V.; Celgene Corporation; Gilead Lifesciences, Inc.; Kolon TissueGene, Inc.; JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.; MEDIPOST; Corporação Vericel; PHARMICELL Co., Ltd; e Organogenesis Inc.

Segundo informações da Rede Nacional de Especialistas em Terapias Avançadas (Reneta), entre 2001 e 2018, havia 36 produtos com características de Produto de Terapia Avançada em âmbito mundial, sendo 30 relativos a produtos de terapia celular e 6 de terapia gênica. Atualmente já existem 111 produtos de terapia avançada aprovados em pelo menos um país e há mais de 3700 novos produtos em testes clínicos (CHANCELLOR et al., 2023). Essa quantidade de novos candidatos em desenvolvimento aponta para um aumento de novos produtos disponíveis nos próximos anos.

No Brasil, há oito produtos de terapia avançada com registro vigente junto a ANVISA, conforme Quadro 1 (Anvisa 2024c) e até janeiro de 2025 mais de 50 ensaios clínicos relacionados a esses produtos já haviam sido autorizados pela agência (Anvisa, 2024d).

Produto	Princípio Ativo	Empresa Detentora da Regularização	Indicação terapêutica
Carvykti®	Ciltacabtageno autoleucel	JANSSEN-CILAG FARMACÊUTICA LTDA	Mieloma múltiplo recidivado ou refratário
Elevidys	Delandistrogeno moxeparvoveque	PRODUTOS ROCHE QUÍMICOS E FARMACÊUTICOS S.A.	Distrofia muscular de Duchenne (DMD).
Kymriah	Tisagenlecleucel	NOVARTIS BIOCIENTIAS S.A	Leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B, linfoma difuso de grandes células B (LDGCB) recidivado ou refratário e Linfoma folicular (LF) recidivado ou refratário.
Roctavian	Valoctocogeno roxaparvoveque	BIOMARIN BRASIL FARMACÊUTICA LTDA	Hemofilia A grave (deficiência congênita do fator VIII)
Tecartus	Brexucabtageno autoleucel	GILEAD SCIENCES FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA	Leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B precursoras recidivante ou refratária.
Upstaza	Eladocogeno exuparvoveque	PTC FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.	Deficiência da descarboxilase de Aminoácido aromático (AADC) com fenótipo grave.
Yescarta	Axicabtageno ciloleucel	GILEAD SCIENCES FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA	Linfoma de grandes células B e Linfoma folicular
Zolgensma	Onasemnogeno abeparvoveque	NOVARTIS BIOCIENTIAS S.A	Atrofia muscular espinhal (AME)

Quadro 1. Produtos de terapia avançada com registro vigente na ANVISA (janeiro/2025).

Fonte: Elaborado pelos autores a partir de Anvisa (2024c) e European Commission (2024).

Dado os resultados clínicos promissores, incluindo demonstração de eficácia no tratamento de doenças genéticas raras, oferecendo perspectiva de tratamento para condições graves antes consideradas incuráveis, a pressão pelo acesso aos produtos de terapia avançadas, tem sido crescente no Brasil, seja pela via da incorporação ao Sistema Único de Saúde, ou pela judicialização. Entretanto, apesar da importância que assumem essas novas terapias no tratamento de enfermidades complexas, a garantia do direito de acesso da população a esses tratamentos inovadores representa um enorme desafio para os sistemas públicos de saúde devido aos seus custos extremamente elevados. Um estudo recente estimou que a eventual incorporação dos principais produtos de terapia avançadas já em comercialização no cenário internacional representaria um impacto orçamentário de R\$16,7 bilhões a R\$53,2 bilhões para o SUS, ao longo de 5 anos (VIANNA et al., 2024).

Entre 2011 e 2021, os custos com terapias imunológicas para câncer, como tratamentos baseados em células CAR-T, aumentaram drasticamente de R\$ 40 mil para R\$ 951 mil por paciente por ano, resultando em um aumento de 30% nas ações judiciais relacionadas à saúde

No Brasil, foi realizado um estudo sobre os investimentos feitos pelo Ministério da Saúde (MS) do Brasil e parceiros voltados para área de medicamentos de terapia avançada, entre 2004 e 2020, revelou que investimentos coordenados pelo Ministério da Saúde (61,5%) em parceria com os setores de C&T, educação e economia (38,5%) somaram um total 137,35 milhões, divididos em 282 projetos. Em relação à convergência global, a terapia celular foi o tipo que mais se beneficiou do investimento público, totalizando 82,23% do financiamento total no período analisado e, seguindo a tendência global de financiamento de P&D do setor público, o número de projetos de pesquisa básica e pré-clínica representou 78,06% do número total de projetos (SACHETTI et al., 2022). Apesar do avanço do financiamento nos últimos anos, a busca por autonomia nacional requer uma compreensão sobre as redes de instituições que podem promover capacitações científicas e tecnológicas para o desenvolvimento de plataformas tecnológicas na área de terapias avançadas.

A atuação da Finep no financiamento de terapias avançadas

Para as ações de inovação, a NIB se organizou, em uma das ações, através do Programa Mais Inovação, operados pelo BNDES e pela Finep. Os recursos da Finep, oriundos do Fundo Nacional de Desenvolvimento Científico e Tecnológico (FNDCT), são realizados por meio de recursos não reembolsáveis para as Instituições Científicas e Tecnológicas (ICTs), subvenção econômica e crédito com taxas subsidiadas para as empresas. No que diz respeito ao setor de saúde, foram definidas prioridades de financiamento à inovação com linhas de recursos não reembolsáveis, para as ICTs e para as empresas, além de prioridade de crédito, com taxas subsidiadas, à inovação.

Em relação ao uso dos recursos não reembolsáveis para apoiar a ciência, tecnologia e inovação nas ICTs, a Finep lançou, em janeiro de 2024, uma chamada pública (**MCTI/FINEP/FNDCT – MAIS INOVAÇÃO BRASIL – SAÚDE – ICTs**)⁸ com o objetivo de fomentar a pesquisa, desenvolvimento tecnológico e inovação em projetos que envolvam risco tecnológico e que contribuam para ampliar o acesso da população à saúde, por meio de pesquisas para o aproveitamento das potencialidades nacionais e para a autonomia tecnológica e produtiva do CEIS.

Nesse contexto, foram reservados, inicialmente, R\$ 150 milhões para uso exclusivo em projetos de Terapias Avançadas. Nessa linha temática, o foco é apoiar projetos que apresentem o desenvolvimento de plataformas tecnológicas que gerem produtos estratégicos para o SUS. O apoio abrange plataforma de RNA, plataforma Biológica, plataforma de Anticorpo Conjugada a Droga, plataforma de Vetor Viral para Doenças Raras e ensaios clínicos de outras plataformas de terapias avançadas. Ao final da chamada foram aprovados 16 projetos em terapias avançadas, que somam R\$ 315 milhões. Esse valor é superior ao limite orçamentário definido no texto da Chamada, no entanto, o Ministério de Ciência, Tecnologia e Inovação (MCTI), em novembro de 2024, concedeu recursos suplementares e todas os projetos aprovados foram contratados.

A análise dos dados de financiamento revela uma concentração significativa dos recursos em alguns

⁸ <http://www.finep.gov.br/chamadas-publicas/chamadapublica/730>

estados, com Rio Grande do Sul (RS), Rio de Janeiro (RJ) e São Paulo (SP) liderando os investimentos. O estado do Rio de Janeiro recebeu R\$ 94 milhões, consolidando-se como um dos principais polos de inovação em terapias avançadas, seguido por São Paulo, com R\$ 79 milhões, onde os investimentos são predominantemente voltados para terapia gênica. O Rio Grande do Sul captou R\$ 82 milhões, refletindo um ecossistema de pesquisa robusto e estruturado. Outros estados, como Ceará (R\$ 18 milhões), Mato Grosso do Sul (R\$ 15 milhões) e Bahia (R\$ 16 milhões), também receberam financiamento, mas em volumes inferiores, evidenciando uma concentração regional dos investimentos, predominantemente na região Sudeste e Sul do país.

Total Geral por Estado (Financiamento FINEP)



Gráfico 1. Distribuição dos recursos da chamada pública Finep MCTI/FINEP/FNDCT – Mais Inovação Brasil – Saúde/ICTs por unidades da federação

A análise dos projetos aprovados, permite identificar a participação dos segmentos de terapias avançadas no total de recursos liberados para os projetos. Neste aspecto, observa-se uma forte predominância do segmento de terapia gênica, que recebeu 53,4% do total de recursos, consolidando-se como a área mais financiada. A imunoterapia aditiva captou 30,8% dos investimentos, sendo especialmente relevante nos estados de São Paulo e Rio de Janeiro, enquanto a engenharia tecidual recebeu 15,7% do financiamento total, com projetos concentrados em Goiás, Mato Grosso do Sul e Bahia. Essa distribuição evidencia a predominância da terapia gênica no cenário nacional de inovação em saúde, refletindo o avanço dessa abordagem e seu potencial impacto no SUS

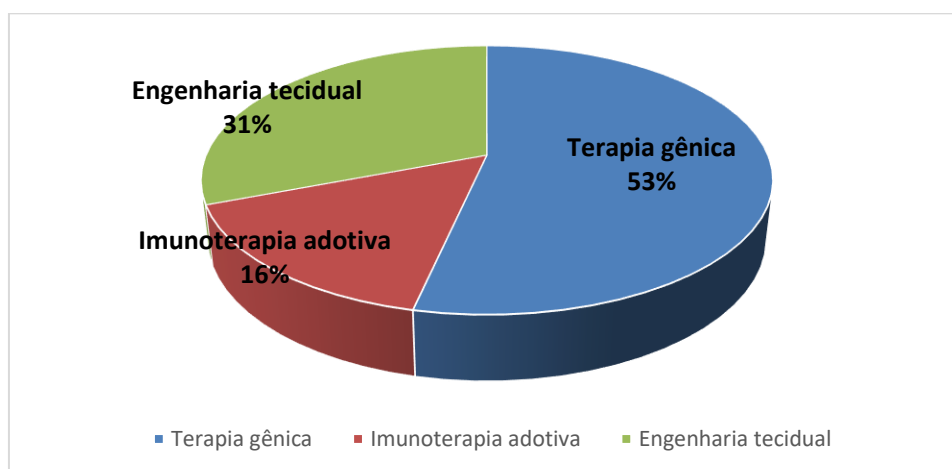


Gráfico 2. Distribuição de recursos da chamada pública Finep MCTI/FINEP/FNDCT – Mais Inovação Brasil – Saúde/ICTs, por tipo de projeto apoiado/segmento de terapia avançada

A análise das instituições beneficiadas pelo financiamento revela que o apoio da FINEP contemplou universidades, hospitais, fundações e institutos de pesquisa, com algumas entidades concentrando os maiores volumes de recursos, como A UBEA - União Brasileira de Educação e Assistência, Fundação Hemocentro de Ribeirão Preto e Fundação Para O Desenvolvimento Científico e Tecnológico Em Saúde. Outras instituições relevantes incluem Fiocruz, UFRJ, INCA, SENAI e a Fundação Octacílio Gualberto, que aparecem como excutores ou coexecutores. A participação de hospitais como Albert Einstein e Instituto D'Or demonstra a importância da integração entre hospitais e ICTs na pesquisa e desenvolvimento de terapias avançadas, reforçando a necessidade de colaboração entre diferentes setores para impulsionar a inovação biomédica no Brasil.

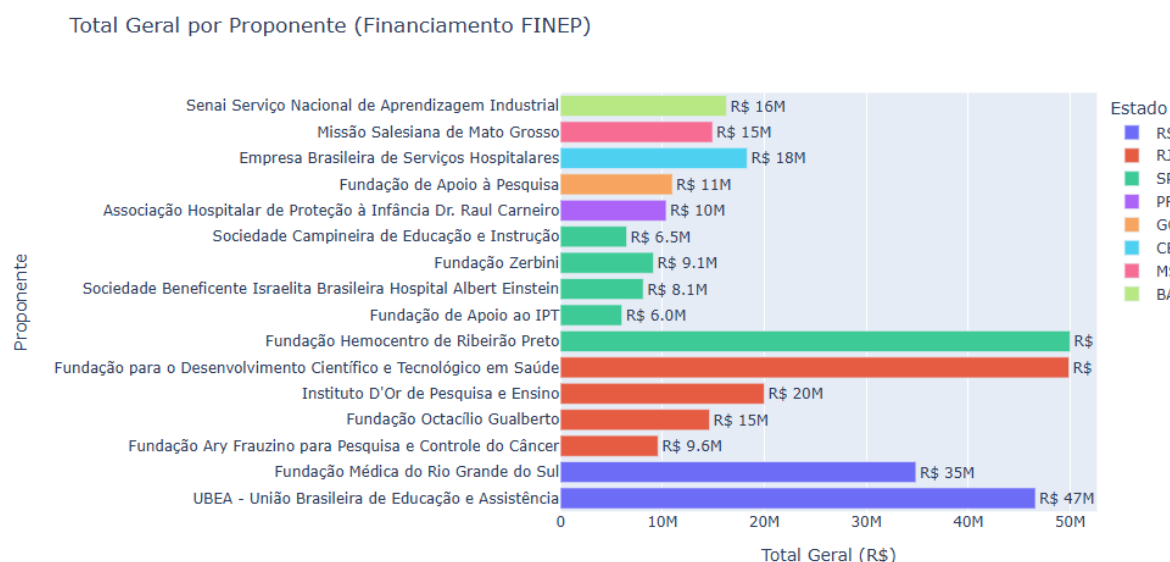


Gráfico 3. Distribuição de recursos da chamada pública Finep MCTI/FINEP/FNDCT – Mais Inovação Brasil – Saúde/ICTs, por instituição proponente

Por fim, o **Gráfico 4** apresenta grafo tripartite que mostra as redes de interação entre proponentes, executores e coexecutores. O grafo de conexões revela que UBEA, Instituto D'or, Fundação de Apoio ao Instituto de Pesquisas Tecnológicas – FIPT e Fiocruz atuam como hubs centrais, desempenhando papel fundamental na difusão e desenvolvimento do conhecimento. Além disso, instituições como Senai, Ministério da Ciência e Fundação Ary Frauzino aparecem como relevância na rede, auxiliando na implementação dos projetos financiados. A forte presença de diversas instituições dentro dessa rede de colaboração reforça a interdisciplinaridade e a disseminação do conhecimento, promovendo um ambiente de inovação.



Gráfico 4. Distribuição de recursos da chamada pública Finep MCTI/FINEP/FNDCT – Mais Inovação Brasil – Saúde/ICTs, Grafo tripartite segundo redes de instituições proponentes, executoras e coexecutoras

4. Redes de conhecimento em terapias avançadas no mundo e no Brasil

Esta seção traz uma análise exploratória sobre as redes de conhecimento em terapias avançadas que permite evidenciar a centralidade de determinados países e instituições na produção científica e tecnológica do setor. Além disso, a análise busca ampliar a compreensão sobre as dinâmicas de inovação e colaboração que impulsionam o avanço desse campo a partir da articulação entre diferentes atores do sistema de inovação em saúde, particularmente no tocante ao papel de universidades, institutos de pesquisa e empresas farmacêuticas na constituição de redes de colaboração científica e tecnológica.

Para compreender plenamente as dinâmicas de inovação e colaboração que impulsionam o avanço desse campo, optou-se por uma desagregação dessas redes de conhecimento científico e tecnológico para os principais segmentos de terapias avançadas. Entretanto, por limitações de espaço no artigo a seção s limita apresentar esse detalhamento para o espectro específicos terapia gênica. Tal escolha se justifica pelo fato desta ser, atualmente, uma das áreas com maior participação nas ações de fomento à pesquisa em terapias avançadas no Brasil, e contar com uma rede ampla de instituições no campo da produção científica.

a. Panorama geral

A análise bibliométrica sobre os padrões de produção científica em terapias avançadas abrangeu um período amplo entre 1947-2024, resultando num total de 642.550 publicações, produzidas por 14.027 instituições em âmbito global. Apesar do longo período de análise, observa-se efetivamente um aumento expressivo no número de publicações em terapias avançadas a partir da década de 1990.

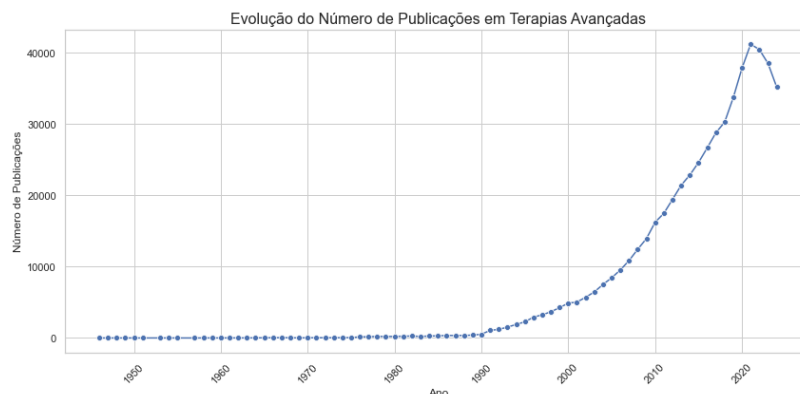


Gráfico 5. Evolução no número mundial de publicações em Terapias Avançadas, 1947-2024

Dentre os países com maior número de publicações, Estados Unidos e China lideram a produção de conhecimento científico em terapias avançadas com, respectivamente, 219.647 e 128.895 publicações. Em seguida observamos as participações de países como Alemanha (48.247), Japão (45.036), Inglaterra (40.216), Itália (31.762), Coreia do Sul (24.406), França (25.903), Canadá (33.877), Espanha (18.405) e Índia (17.197). O Brasil ocupa a 16ª. posição em termos de publicações científicas no período (9.869), o que representa cerca de 1,52% do total global de publicações no período analisado.

Em termos globais observa-se, portanto, uma elevada assimetria na produção de conhecimento científico relacionado com terapias avançadas que se encontra fortemente concentrado em países da Europa (43,64%) e América do Norte (37,96%), sendo que a participação da Ásia (41,87%) se relaciona principalmente com as publicações da China e, em menor medida, do Japão, Irã e Índia.

A análise dos depósitos de patentes em terapias avançadas revela a dinâmica de apropriação do conhecimento tecnológico e a concentração da inovação em determinados atores e regiões.

A análise dos 100 principais depositantes categorizados por tipo de instituição permite destacar o predomínio das universidades e empresas farmacêuticas, seguidos por institutos de pesquisa e de biotecnologia. Nos Estados Unidos, observa-se uma liderança significativa, com um número expressivo de patentes depositadas por universidades e instituições de pesquisa, como a Universidade da Califórnia, MIT, Universidade Texas System, Harvard College e Universidade de Pennsylvania. Esse padrão reflete o papel das universidades norte-americanas na geração de conhecimento aplicado, frequentemente em parceria com a indústria. A China também aparece como um ator relevante, com um volume crescente de patentes depositadas, especialmente por universidades como a Zhejiang University. Esse crescimento reflete os investimentos chineses em pesquisa e inovação, consolidando sua posição no campo das terapias avançadas.

O **Gráfico 6** mostra o detalhamento dos depósitos de patentes por categoria institucional. A predominância das universidades nesse volume indica que grande parte da inovação em terapias avançadas ainda se origina no ambiente acadêmico. No entanto, a presença de empresas farmacêuticas como Genentech e Novartis sinaliza um processo de transição do conhecimento científico para aplicações comerciais, um aspecto que será explorado ao longo deste estudo. Além disso, destaca-se a participação de institutos de pesquisa como o Broad Institute, que desempenham um papel central no desenvolvimento de novas plataformas biotecnológicas

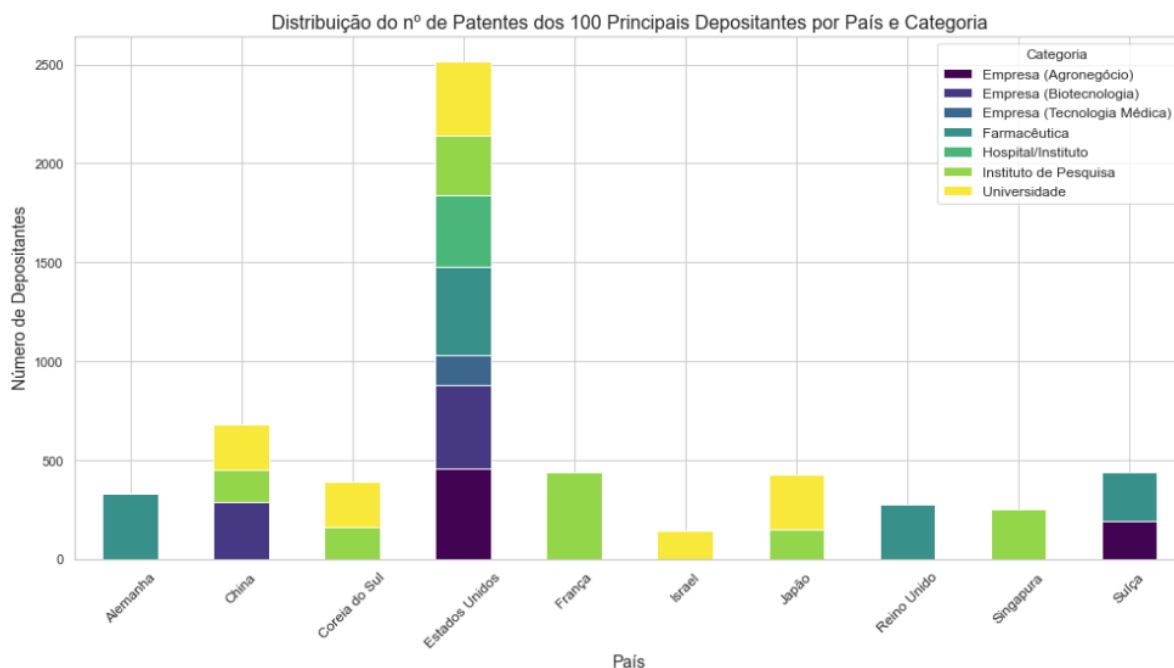


Gráfico 6. Distribuição do número de patentes em terapias avançadas dos 100 principais depositantes por país e categoria

Outro aspecto relevante é a atuação de empresas oriundas do setor agro biotecnológico, como Pioneer e Monsanto, tradicionalmente associadas ao desenvolvimento de sementes e tecnologias agrícolas. Essas empresas têm conduzido diversos estudos utilizando a tecnologia CRISPR em células vegetais, demonstrando o potencial de aplicação de ferramentas de edição genética em diferentes setores, com elevado potencial de transferência para o campo da saúde.

A exemplo do que se observa em âmbito mundial, a inserção do Brasil na produção de conhecimento científico na área de terapias avançadas passou a apresentar um crescimento acelerado a partir de 2011. Do total de 8.738 artigos científicos produzidos no período analisado, cerca de um terço (2.556) estiveram associados a autores com vinculação institucional na Universidade de São Paulo (USP). Outras instituições como a Universidade Estadual Paulista e a Universidade Estadual de Campinas também lideram o número de publicações científicas na área de terapias avançadas, mostrando o claro predomínio de instituições públicas localizadas na região sudeste como mostra o **Quadro 2** abaixo:

Instituição	Publicações
UNIVERSIDADE DE SAO PAULO	2556
UNIVERSIDADE ESTADUAL PAULISTA	937
UNIVERSIDADE ESTADUAL DE CAMPINAS	784
UNIVERSIDADE FEDERAL DO RIO DE JANEIRO	778
UNIVERSIDADE FEDERAL DE SAO PAULO UNIFESP	752
UNIVERSIDADE FEDERAL DO RIO GRANDE DO SUL	587
UNIVERSIDADE FEDERAL DE MINAS GERAIS	578
FUNDACAO OSWALDO CRUZ	378
UNIVERSIDADE FEDERAL DE SAO CARLOS	243
UNIVERSIDADE FEDERAL DE SANTA CATARINA UFSC	224
UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANA	184
UNIVERSIDADE FEDERAL FLUMINENSE	164
PONTIFICIA UNIVERSIDADE CATOLICA DO PARANA	164
UNIVERSIDADE DE BRASILIA	142
HOSPITAL ISRAELITA ALBERT EINSTEIN	138
INSTITUTO BUTANTAN	135
UNIVERSIDADE DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO	129
UNIVERSIDADE FEDERAL DA BAHIA	129
EMPRESA BRASILEIRA DE PESQUISA AGROPECUARIA EMBRAPA	125
HOSP CLIN PORTO ALEGRE	124
UNIVERSIDADE FEDERAL DO CEARA	119
UNIVERSIDADE FEDERAL DO PIAUI	113
NATIONAL CANCER INSTITUTE INCA	109
COMISSAO NACIONAL DE ENERGIA NUCLEAR CNEN	107
UNIVERSIDADE FEDERAL DE PERNAMBUCO	103

Quadro 2. Instituições com maior número de publicações em terapias avançadas no Brasil, 1947-2024 (número de publicações)

De um modo geral, o panorama das publicações científicas em terapias avançadas no Brasil revela uma

forte concentração em instituições nas regiões Sudeste e Sul, com alguma participação de instituições na região Nordeste e ausência de instituições nas regiões Norte e Centro-Oeste. Tal quadro reflete claramente a forte assimetria regional existente no Brasil em termos da infraestrutura científica e tecnológica.

b. Redes de conhecimento científico e tecnológico em terapia gênica

De acordo com os dados da Web of Science (WoS), o primeiro documento sobre terapia gênica foi publicado em 1947, marcando o início de um campo que, nos primeiros anos, desenvolveu-se de forma limitada e esporádica. Em 1972, Theodore Friedmann e Richard Roblin publicaram, na revista *Science*, um artigo teórico que propôs o uso de genes terapêuticos para tratar doenças genéticas. Este trabalho delineou tanto o potencial da terapia gênica quanto os desafios científicos, técnicos e éticos associados à sua aplicação clínica. Os autores enfatizaram as limitações do conhecimento genético da época e recomendaram cautela no avanço da área, dada a complexidade envolvida.

A partir da década de 1990, a terapia gênica começou a ganhar destaque, acompanhada por um aumento expressivo no número de publicações científicas. Esse crescimento foi impulsionado por avanços em biologia molecular, engenharia genética e no desenvolvimento de vetores virais mais eficientes. Contudo, durante os anos 2000, o campo enfrentou uma desaceleração, marcada por preocupações relacionadas à segurança, especialmente devido a eventos adversos em ensaios clínicos. Esse período de estagnação começou a ser revertido a partir de 2013, quando a área registrou um crescimento significativo, impulsionado por novas tecnologias, como o CRISPR/Cas9, e pelo sucesso de terapias gênicas aprovadas clinicamente. Esses avanços trouxeram maior viabilidade para aplicações clínicas e renovaram o interesse global no campo (Farhan, 2020).

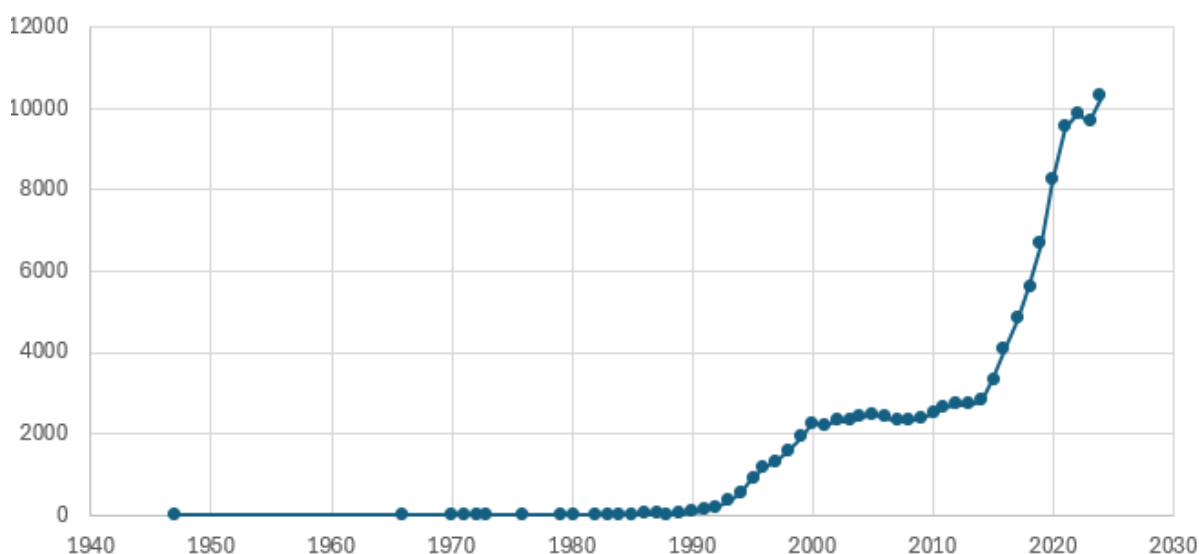


Gráfico 7. Evolução no número mundial de publicações em terapia gênica, 1947-2024

Em 1990, foi realizado o primeiro ensaio clínico de terapia gênica no National Institute of Health nos Estados Unidos. Ashanthi DeSilva, uma criança com imunodeficiência combinada severa (SCID), recebeu um tratamento ex vivo, no qual suas células foram geneticamente modificadas com um vetor viral contendo o gene funcional da enzima ADA. Este procedimento restaurou parcialmente sua função imunológica e demonstrou o potencial clínico da terapia gênica, marcando um ponto de partida para novos estudos (Marshall, 1995). No entanto, a década de 1990 também trouxe contratempos significativos, como a morte de Jesse Gelsinger, em 1999, durante um ensaio clínico experimental na Universidade da Pensilvânia. O jovem sofreu uma reação imunológica fatal ao vetor viral utilizado, o que levou a um escrutínio rigoroso sobre a segurança dos vetores e à necessidade de regulamentações mais robustas, impactando temporariamente o progresso da área. O FDA suspendeu a pesquisa e abriu investigação em âmbito nacional nas pesquisas em Terapia Avançadas (Baker, 2020).

Nos anos 2000, a terapia gênica apesar da estagnação academia nos anos iniciais colheu avanços

tecnológicos que melhoraram a segurança e eficiência dos vetores virais. Em 2003, a China aprovou o Gendicine, destinado ao tratamento de câncer de cabeça e pescoço, e, em 2011 (Zhang, 2018), a Rússia aprovou o Neovascugen, voltado para doença arterial periférica (Han, 2020). Na Europa, o Glybera foi aprovado em 2012 para tratar a deficiência de lipoproteína lipase, mas dificuldades comerciais relacionadas ao alto custo resultaram em sua retirada em 2017 (Bryant, 2013). Apesar desses desafios, essas aprovações representaram um marco na transição da terapia gênica para aplicações clínicas, e estimularam novos estudos de base.

Na década de 2010, a terapia gênica consolidou-se como uma abordagem terapêutica mais viável. Em 2017, o FDA aprovou o Luxturna, a primeira terapia gênica destinada a uma doença hereditária ocular, marcando o início de uma nova etapa na aplicação da técnica para condições genéticas raras (Russell, 2017). Outros tratamentos surgiram para doenças como beta-talassemia, anemia falciforme e distrofia muscular. Vetores de vírus adeno-associados (AAVs) estabeleceram-se como uma plataforma segura e eficiente para aplicações in vivo, permitindo a entrega precisa de genes terapêuticos a tecidos específicos. A década de 2020 trouxe avanços ainda mais significativos com a introdução de tecnologias de edição genética, como o CRISPR/Cas9, que ampliaram as possibilidades terapêuticas. A aprovação de terapias gênicas baseadas em edição genética, como a Casgevy para anemia falciforme, ilustra o rápido amadurecimento do campo (Laurent, 2024). Até 2024, o FDA havia aprovado 43 produtos em terapias gênicas e celular (U.S. Food and Drug Administration, 2025). Esses avanços refletem o crescimento e a consolidação da terapia gênica como uma abordagem essencial para tratar doenças anteriormente intratáveis.

A terapia gênica evoluiu de uma ideia teórica para uma realidade terapêutica consolidada. Apesar dos desafios enfrentados, como preocupações de segurança, regulamentações rigorosas e altos custos, os avanços científicos e tecnológicos transformaram o campo em uma ferramenta promissora para a medicina moderna. Atualmente, a terapia gênica está permitindo o tratamento de uma ampla gama de condições genéticas e adquiridas, com potencial para continuar expandindo suas aplicações e impactar significativamente o cuidado à saúde global.

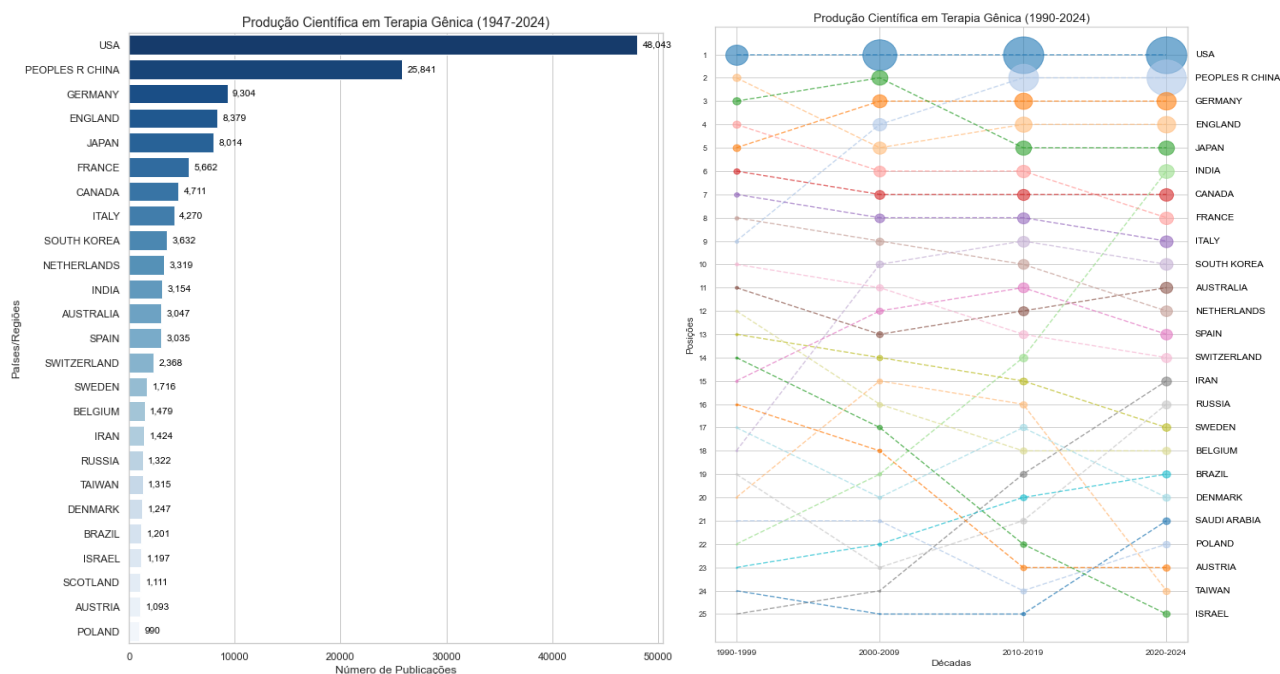


Gráfico 8. Produção científica em terapias gênicas 1947-2024, principais países em número de publicações

A análise das redes de conhecimento em terapia gênica evidencia a forte centralidade dos Estados Unidos e da China na produção científica global. A **Figura 1** demonstra que esses países funcionam como os principais hubs na disseminação do conhecimento, estabelecendo conexões amplas com nações da Europa, Ásia e América Latina. A rede apresenta três grandes comunidades. A primeira, central, é dominada pelos Estados Unidos e pela China, que concentram o maior volume de interações e lideram

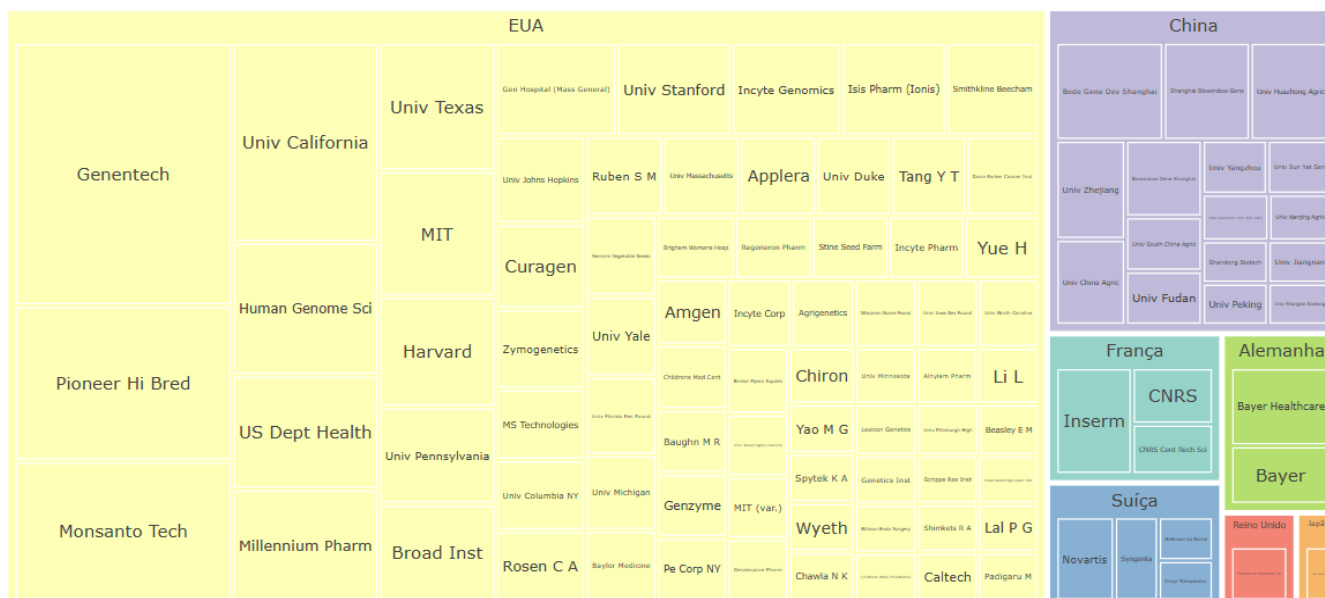


Figura 2. Principais depositantes de patentes em terapia gênica segundo nacionalidade do principal depositante

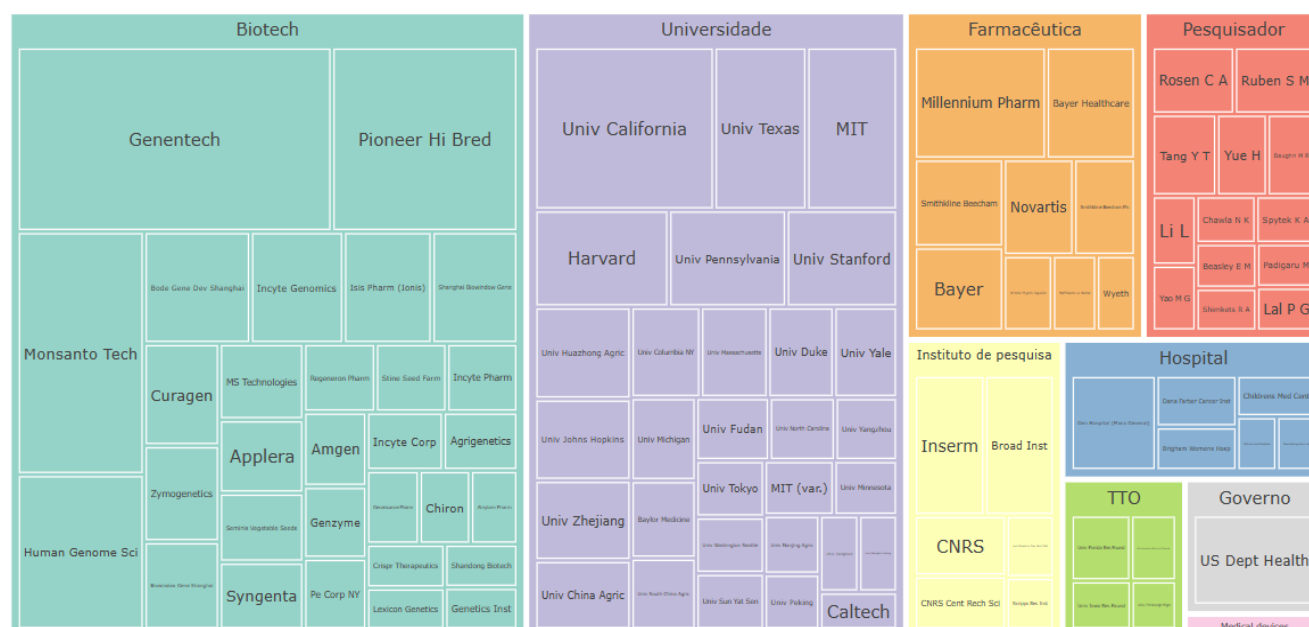


Figura 3. Principais depositantes de patentes em terapia gênica segundo tipo de instituição

A análise sobre o registro de patentes em terapias gênicas no Brasil, revela um cenário de forte dependência tecnológica em relação a instituições estrangeiras. Empresas como Novartis, Genentech e Hoffmann-La Roche lideram os depósitos, com destaque também para instituições acadêmicas como a Universidade da Califórnia e a Universidade da Pensilvânia. A ausência de empresas e centros de pesquisa brasileiros como depositantes prioritários reforça os desafios na capacidade de geração de propriedade intelectual no país.

A análise da rede de conhecimento em terapias gênicas no Brasil revela uma estrutura colaborativa mais desenvolvida em comparação aos demais ramos de especialização das terapias avançadas, como imunoterapia aditiva e engenharia tecidual, com maior conectividade entre os atores e uma distribuição modular que agrupa diferentes instituições em comunidades específicas. A Universidade de São Paulo (USP) se destaca como o principal hub da rede, concentrando o maior volume de publicações (382) e desempenhando um papel central na disseminação do conhecimento e na articulação de parcerias estratégicas. Outras universidades paulistas, como a Universidade Estadual de Campinas (Unicamp), a Universidade Estadual Paulista (Unesp) e a Universidade Federal de São Paulo (Unifesp), também

apresentam elevada centralidade, formando um núcleo altamente conectado de instituições acadêmicas, reforçando a predominância da região Sudeste na pesquisa nacional em terapias avançadas.

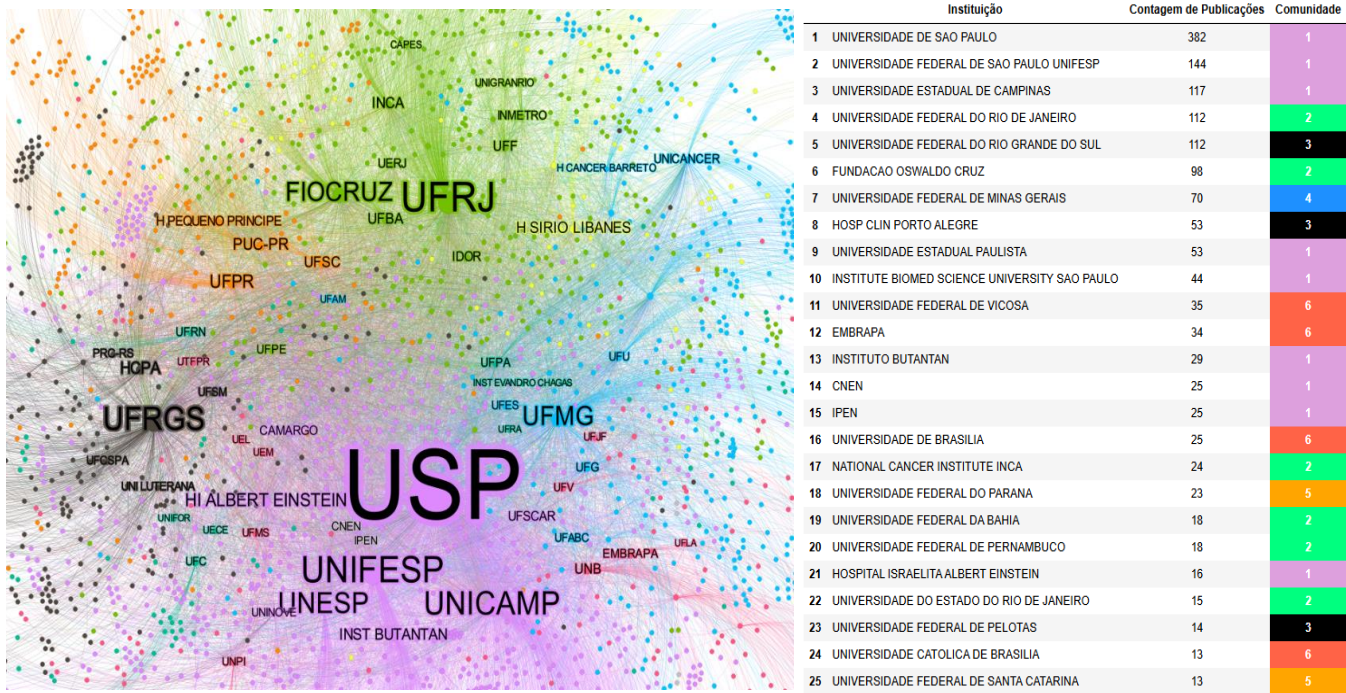


Figura. 4. Redes de colaboração científica em terapias gênicas no Brasil e principais instituições em termos do número de publicações

É importante observar que a rede de conhecimento em terapias gênicas no Brasil apresenta divisões claras por comunidades, identificadas por cores na visualização. A **Comunidade 1** (rosa) é dominada pela USP e inclui Unifesp, Unesp e Unicamp, além de instituições como o Instituto Butantan e o Centro Nacional de Energia Nuclear (CNEN), que possuem papel relevante na pesquisa biomédica e em biotecnologia. Esse grupo representa o eixo paulista da produção científica, que lidera a inovação no Brasil.

A **Comunidade 2** (verde) é liderada pela Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz) e pela Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ), refletindo a forte tradição do Rio de Janeiro na pesquisa em saúde pública e biotecnologia. A Fiocruz aparece como um dos principais centros de pesquisa translacional no país, com colaborações significativas dentro e fora do Brasil.

A **Comunidade 3** (cinza) engloba a Universidade Federal do Rio Grande do Sul (UFRGS) e o Hospital de Clínicas de Porto Alegre. Essa comunidade possui boa conectividade com as comunidades 1 e 2, além da comunidade (azul) que possui como Hub a UFMG, evidenciando um polo de pesquisa biomédica no Sul e Sudeste do país. Essas instituições demonstram forte integração com hospitais universitários, essenciais para a pesquisa clínica e a aplicação de terapias avançadas.

Além dessas, destacam-se **pequenas comunidades periféricas**, como a que envolve a Universidade Federal do Paraná (UFPR) e a Pontifícia Universidade Católica do Paraná (PUC-PR), além de interações no Nordeste e Norte do país, ainda que menos expressivas em termos de volume de produção científica. Por fim, a análise da centralidade das instituições revela que, além da USP, universidades como a UFRJ, UFMG e UFRGS desempenham papéis essenciais na conectividade do sistema, atuando como pontos de articulação na disseminação do conhecimento. Embora a produção científica esteja fortemente concentrada na região Sudeste, o mapeamento da rede indica um potencial significativo de expansão colaborativa para outras regiões, especialmente por meio do fortalecimento de redes institucionais e da maior integração de hospitais e institutos de pesquisa em programas nacionais de fomento. Hospitais como o Sírio-Libanês, o Hospital Israelita Albert Einstein, o A.C. Camargo e o Hospital de Clínicas de Porto Alegre (HCPA) apresentam um bom nível de desenvolvimento na rede, mas sua influência ainda é menor em comparação às universidades, que continuam sendo os principais polos de produção e articulação do conhecimento em terapias avançadas no Brasil, como na rede de engenharia tecidual.

5. Considerações Finais

A análise sobre redes de conhecimento em terapias avançadas apresentada neste artigo procurou explorar a complexa rede de entre instituições envolvidas na pesquisa de terapias avançadas em âmbito mundial e no Brasil. Esta análise permitiu evidenciar, inicialmente, um aumento significativo nas publicações científicas em terapias avançadas a partir da década de 1990, num contexto em que países como Estados Unidos e a China emergiram como atores dominantes, seguidos por um grupo de nações europeias. A distribuição desigual da pesquisa científica no segmento de terapias avançadas destaca as elevadas disparidades globais em termos da produção do conhecimento neste segmento, que se reflete também nos padrões de financiamento das atividades de CT&I e nos padrões de apropriação do conhecimento através do domínio de ativos intangíveis como patentes. Cabe ressaltar também que nos países que exercem a liderança na produção de conhecimento científico e tecnológico em terapias avançadas, como Estados Unidos, apesar de se observar um número expressivo de patentes depositadas por universidades e instituições de pesquisa como a Universidade da Califórnia, MIT e Universidade de Pennsylvania, a análise das redes de colaboração revela uma parceria frequente com empresas do setor biofarmacêutico. Conforme foi destacado, O Brasil ocupa a 16ª posição em termos de publicações científicas em terapias avançadas (9.869), o que representa cerca de 1,52% do total global de publicações no período analisado. A exemplo do que foi observado em âmbito mundial, a inserção do Brasil na produção de conhecimento científico na área de terapias avançadas passa a crescer de forma mais significativa a partir de 2011. Do total de artigos científicos produzidos no período analisado, cerca de um terço estiveram associados a autores com vinculação institucional na Universidade de São Paulo (USP), além de outras instituições paulistas, como a Universidade Estadual Paulista e a Universidade Estadual de Campinas, e de outros estados da região sudeste, como a Universidade Federal do Rio de Janeiro e Universidade Federal de Minas Gerais.

Entretanto, apesar do papel central de instituições como a USP como um dos *hubs* principais para disseminação de conhecimento em terapias avançadas, a análise sobre as redes de colaboração científica em terapias gênicas evidencia a existência de pelo menos três grandes comunidades científicas que congregam diferentes grupos de instituições conforme discutido na quarta seção. Tais comunidades apresentam um caráter regionalizado, apresentam particularidades importantes nas suas linhas de pesquisa e apresentam diferentes graus de articulação entre diferentes segmentos de atores instituições como universidades, institutos de pesquisa e hospitais. Tais diferenças se expressam também na capacidade de disseminação do conhecimento, particularmente no tocante à articulação entre a produção científica e as fases de pesquisa clínica visando a aplicação das terapias avançadas. Pesquisas futuras podem vir a explorar os mecanismos específicos de transferência de conhecimento e colaboração dentro dessas redes. Compreender os fatores que impulsionam colaborações bem-sucedidas e identificar barreiras à colaboração seria valioso.

O panorama atual dos esforços de fomento a pesquisa, desenvolvimento tecnológico e inovação na área de terapias avançadas, analisado através dos editais de apoio da FINEP revela, em primeiro lugar uma forte concentração de apoio a projetos associados ao desenvolvimento de terapias gênicas. Em termos da distribuição regional dos recursos, observa-se a concentração significativa dos recursos em alguns estados, com Rio Grande do Sul (RS), Rio de Janeiro (RJ) e São Paulo (SP). No caso do Rio Grande do Sul o financiamento esteve direcionado integralmente para projetos na área de terapia gênica e apresenta uma forte articulação com uma das três principais comunidades identificadas na rede de conhecimento desta área. No Rio de Janeiro os projetos apoiados são majoritariamente relacionados com terapia gênica, mas também se observa o apoio a projetos de imunoterapia adotiva. Tais projetos envolvem instituições que também integram uma das três comunidades principais identificadas na rede de conhecimento em terapia gênica, liderada por instituições como FIOCRUZ e UFRJ. No caso de São Paulo, os projetos

apoiados envolvem principalmente a área de imunoterapia adotiva, ainda que se observe, em menor medida, a projetos nas áreas de engenharia tecidual e terapia gênica.

Por fim, a análise exploratória apresentada neste artigo buscou oferecer uma contribuição na compreensão das interdependências complexas das instituições envolvidas na pesquisa de terapias avançadas no Brasil e no mundo, destacando a importância da colaboração e a necessidade de políticas direcionadas para promover o acesso equitativo às terapias avançadas.

REFERÊNCIAS

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (Anvisa). Terapias Avançadas. Atualizado em 31/12/2024. 2024a.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (Anvisa). AnvisaLegis. Portal de Legislação da Anvisa. 2024b. Disponível em: https://anvisalegis.datalegis.net/action/ActionDatalegis.php?acao=apresentacao&cod_modulo=134&cod_menu=1696 . Acesso em 23 jan. 2025.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (Anvisa). Consultas. Medicamentos. 2024c. Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/> . Acesso em 23 jan. 2025.

AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA (Anvisa). Terapias avançadas. Ensaios clínicos autorizados. 2024d. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/ensaios-autorizados> . Acesso em 23 jan. 2025.

ARIA, M. & CUCCURULLO, C. (2017) bibliometrix: An R-tool for comprehensive science mapping analysis, *Journal of Informetrics*, 11(4), pp 959-975, Elsevier.

ARORA, A.; GAMBARDELLA, A. The division of innovative labor in biotechnology. In: ROSEMBERG, N.; GELIJS, A. C.; DAWKINS, H. (org.). *Sources of medical technology: Universities and industry*. Washington, DC: National Academy Press, 1995. p.188-208.

BASTIAN M., HEYMANN S., JACOMY M. (2009). Gephi: an open source software for exploring and manipulating networks. *International AAAI Conference on Weblogs and Social Media*.

BARABÁSI, A. L. (2013). *Network science*. *Philosophical Transactions of the Royal Society A: Mathematical, Physical and Engineering Sciences*, 371(1987), 20120375.

BRASIL. Ministério do Desenvolvimento, Indústria, Comércio e Serviços (2024). *Nova indústria Brasil – Nova indústria Brasil – forte, transformadora e sustentável: Plano de Ação para a neointustrialização 2024-2026 -- Brasília : CNDI, MDIC, 2024. 102 p.*

CHANCELLOR, D. et al. The state of cell and gene therapy in 2023. *Molecular Therapy*, Volume 31, Issue 12, 3376 – 3388, 2023. Disponível em: [https://www.cell.com/molecular-therapy-family/molecular-therapy/fulltext/S1525-0016\(23\)00602-0](https://www.cell.com/molecular-therapy-family/molecular-therapy/fulltext/S1525-0016(23)00602-0). Acesso em 23 jan. 2025.

CORIAT, B.; ORSI, F.; WEINSTEIN, O. Does biotech reflect a new science-based innovation regime? *Industry and Innovation*, v.10, n. 3, p. 231-253, 2003.

EDQUIST, C. *Systems of Innovation: technologies, institutions and organizations*. London, Washington: Pinter, 1997.

EUROPEAN COMMISSION. Union Register. 2024. Disponível em: https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/union-register_en . Acesso em 23 jan. 2025.

FDA (2017). FDA approval of tisagenlecleucel (Kymriah®). <https://www.fda.gov>

FREEMAN, C. *Technology and economic performance: lessons from Japan*. London: Pinter Publishers, 1987.

GADELHA, C. A. G.; VARGAS, M.A; MALDONADO, J.V; BARBOSA, P. O complexo econômico-

industrial da saúde no brasil: dinâmica de inovação e implicações para o sistema nacional de inovação em saúde. *Revista Brasileira de Inovação*, v. 12, n. 2, p. 251-282, 2013.

GELIJNS, A.; ROSENBERG, N. The Changing Nature of Medical Technology Development. In: ROSENBERG, N.; GELIJNS, A.; DAWKINS, H. (eds.). *Sources of Medical Technology: Universities and Industry*. Washington: National Academy Press, 1995.

GOULA A, GKIOKA V, MICHALOPOULOS E, KATSIMPOULAS M, NOUTSIAS M, SARRI EF, STAVROPOULOS C, KOSTAKIS A. Advanced Therapy Medicinal Products Challenges and Perspectives in Regenerative Medicine. *J Clin Med Res*. 2020 Dec;12(12):780-786. Disponível em: <https://doi.org/10.14740/jocmr3964> . Acesso em 23 jan. 2025.

LUNDVALL, B. Introduction. In: LUNDVALL, B (Ed.). *National Systems of Innovation. Toward a theory of innovation and interactive learning*. London: Pinter, 1992.

MALERBA, F.; ORSENIGO, L. The evolution of the pharmaceutical industry. *Business History*, v. 57, n. 5, p. 664-687, 2015.

MAZZUCATO, M. (2018), "Mission-oriented innovation policies: challenges and opportunities", *Industrial and Corporate Change*, Vol. 27/5, pp. 803-815, <http://dx.doi.org/10.1093/icc/dty034>.

NEWMAN, M. E. J. *The structure and function of complex networks*. 2003.

SACHETTI, et al. Landscape of Brazilian research and development public funding in advanced therapies: lessons learned and a roadmap for middle-income economies. *Cytotherapy*, Volume 24, Issue 11, 1158 – 1165, 2022. Disponível em: [https://www.isct-cytotherapy.org/article/S1465-3249\(22\)00708-3/abstract](https://www.isct-cytotherapy.org/article/S1465-3249(22)00708-3/abstract) . Acesso em 23 jan. 2025.

VARGAS, M. O Mercado de Biofármacos no Brasil e no Mundo. In: De Negri, F; Zucoloto, G; Koeller, P; Miranda, P; Chiarini, T. (Org.). *Tecnologias e preços no mercado de medicamentos*. 1ed.Brasilia: Instituto de Pesquisa Econômica Aplicada - IPEA, 2024, v. 1, p. 53-108.

VIANNA, D., SACHETTI, C., CAMPOS DE CARVALHO, A. C., Oliveira, G., Saqueto, L., Pellizzaro, A., Macedo, A., Mussi, J. P., Heck, M. P., & Portal Maia, J. (2024). Impacto Orçamentário dos Produtos de Terapias Avançadas no Sistema Único de Saúde. *Jornal de Assistência Farmacêutica e Farmacoeconomia*, 9(3). Disponível em: <https://doi.org/10.22563/2525-7323.2024.v9.n.3.p.72-84>. Acesso em 23 jan. 2025.

NOVARTIS (2017). Press release: Novartis receives first-ever FDA approval for a CAR-T cell therapy. <https://www.novartis.com>

RUSSELL, S. et al. Efficacy and safety of voretigene neparvovec (AAV2-hRPE65v2) in patients with RPE65-mediated inherited retinal dystrophy: a randomised, controlled, open-label, phase 3 trial. *Lancet* 390, 849–860 (2017).

ZHANG WW, LI L, LI D, LIU J, LI X, LI W, XU X, ZHANG MJ, CHANDLER LA, LIN H, HU A, XU W, LAM DM. 2018. The First Approved Gene Therapy Product for Cancer Ad-p53 (Gendicine): 12 Years in the Clinic. *Hum Gene Ther*. 29(2):160-179. doi: 10.1089/hum.2017.218. PMID: 29338444.

U.S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION. "Approved Cellular and Gene Therapy Products." Last modified January 2025. Accessed January 26, 2025. <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products>.

LAURENT M, GEOFFROY M, PAVANI G, GUIRAUD S. CRISPR-Based Gene Therapies: From Preclinical to Clinical Treatments. *Cells*. 2024 May 8;13(10):800. doi: 10.3390/cells13100800. PMID: 38786024; PMCID: PMC11119143.