

PRODUTOS DE TERAPIA AVANÇADA NO BRASIL: Panorama Regulatório e Perspectivas

Leandra Nascimento Fonseca: Graduanda em Biomedicina pela Unicesumar; Estudante de pós-graduação Lato Sensu em Biotecnologia pela FAMEESP; contato: lfonsecabiomed@gmail.com

Objetivos:

Os Produtos de Terapias Avançadas (PTAs) são medicamentos complexos destinados ao tratamento de doenças raras ou de necessidades clínicas não atendidas. Devido às suas especificidades, estão sujeitos a monitoramento rigoroso mesmo após a aprovação. Esta pesquisa buscou identificar os PTAs atualmente aprovados no Brasil e analisar o percurso regulatório até o acesso pelo Sistema Único de Saúde, destacando inovação, riscos e mecanismos normativos que asseguram segurança e qualidade.

Material e Métodos:

Foi utilizado um painel de *Power BI* previamente estruturado com dados abertos da Agência Nacional de Saúde e documentos oficiais da Anvisa entre 2019 e 2024, permitindo organizar e visualizar indicadores regulatórios relacionados a terapias celulares, gênicas e de engenharia tecidual; a análise envolveu exploração dos registros de PTAs aprovados e normas sanitárias aplicáveis, correlação com requisitos de qualidade, farmacovigilância e rastreabilidade descritos nas normas brasileiras, além de revisão documental de relatórios da FDA, EMA e OPAS/OMS para estabelecer paralelos entre os modelos regulatórios e identificar convergências e divergências, combinando exploração de dados com revisão normativa para avaliar tanto o panorama brasileiro quanto o contexto internacional.

Resultados:

Os PTAs, classificados como medicamentos especiais, exigem registro sanitário para uso e comercialização. O marco regulatório brasileiro contempla vias otimizadas para desenvolvimento e monitoramento do ciclo de vida, controle de qualidade lote a lote, planos específicos de gestão de risco, modelos de aprovação adaptados com análises aceleradas e uso emergencial em doenças raras sem alternativas terapêuticas. Normas inovadoras incluem farmacovigilância adaptada, rastreabilidade de materiais e acompanhamento prolongado da segurança e eficácia. No cenário internacional, ambientes regulatórios frágeis expuseram pacientes a terapias inseguras. Antes de 2012, clínicas na Alemanha ofereciam tratamentos celulares sem comprovação científica, prometendo curas para doenças graves. A OPAS/OMS identificou fenômeno semelhante nas Américas, com propagandas enganosas. A FDA alertou que terapias não comprovadas podem ser particularmente inseguras, e a EMA relatou efeitos adversos graves, inclusive fatais, em terapias celulares não regulamentadas.

Relevância Científica:

O cumprimento dos requisitos regulatórios e dos atributos críticos de qualidade é essencial para validar o perfil benefício-risco dos PTAs. A adaptação do Brasil às especificidades dessas terapias o coloca em sintonia com práticas internacionais e fortalece o acesso oportuno a tratamentos inovadores, prevenindo riscos já observados em outros países.

Conclusões:

Os PTAs emergem como alternativas promissoras para o tratamento de doenças complexas sem terapias eficazes. O panorama regulatório brasileiro evidencia avanços significativos na incorporação desses produtos, consolidando o país como referência regional. Contudo, permanecem desafios relacionados à sustentabilidade regulatória e à incorporação no SUS, exigindo regulação dinâmica para garantir segurança e eficácia.