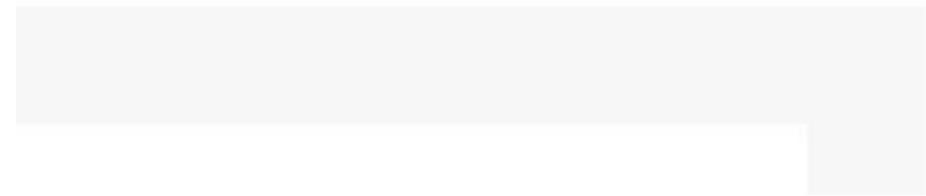




**ANVISA**



# Tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne

## Registro na ANVISA

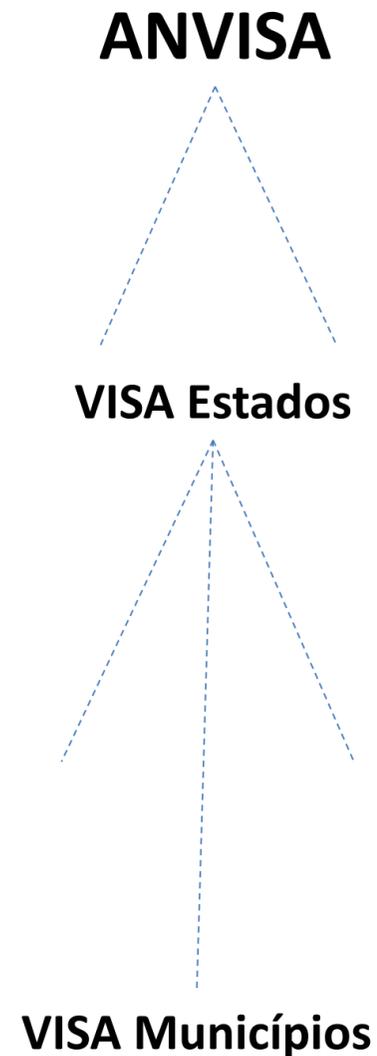
**João Batista Silva Júnior, MSc, PhD.**

Gerência de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas – GSTCO

Gerência-Geral de Produtos Biológicos - GGBIO

Segunda Diretoria/ANVISA

# SISTEMA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA - BRASIL



- ✓ Medicamentos
- ✓ Produtos Biológicos/Radiofármacos
- ✓ Produtos de Terapias Avançadas (PTA)
- ✓ Sangue, Tecidos, Células, Órgãos
- ✓ Dispositivos médicos
- ✓ Alimentos
- ✓ Serviços de saúde
- ✓ Tabaco
- ✓ Agrotóxicos
- ✓ Saneantes
- ✓ Cosméticos
- ✓ Aeroportos, Portos, Fronteiras



# PRODUTOS E SERVIÇOS SEGUROS, EFICAZES E DE QUALIDADE



**RISCOS**

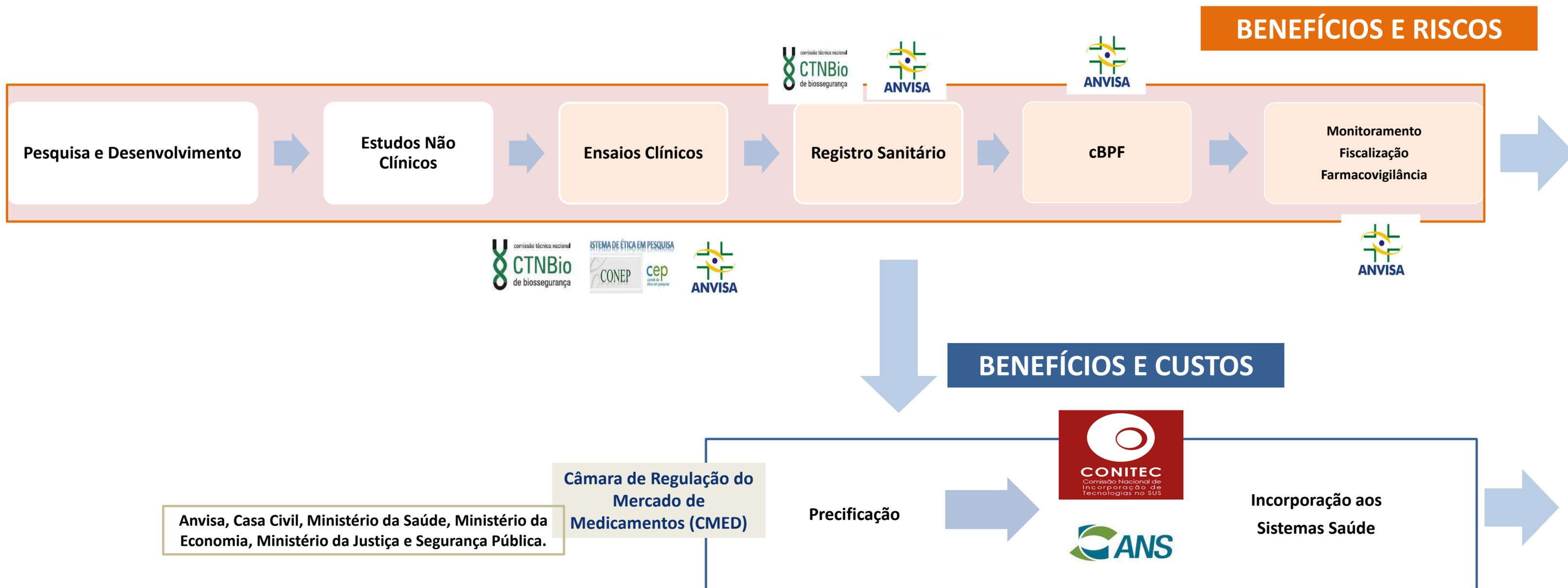


**BENEFÍCIOS**

**CIÊNCIA**



# CICLO DE VIDA DO PRODUTO DE TERAPIA AVANÇADA



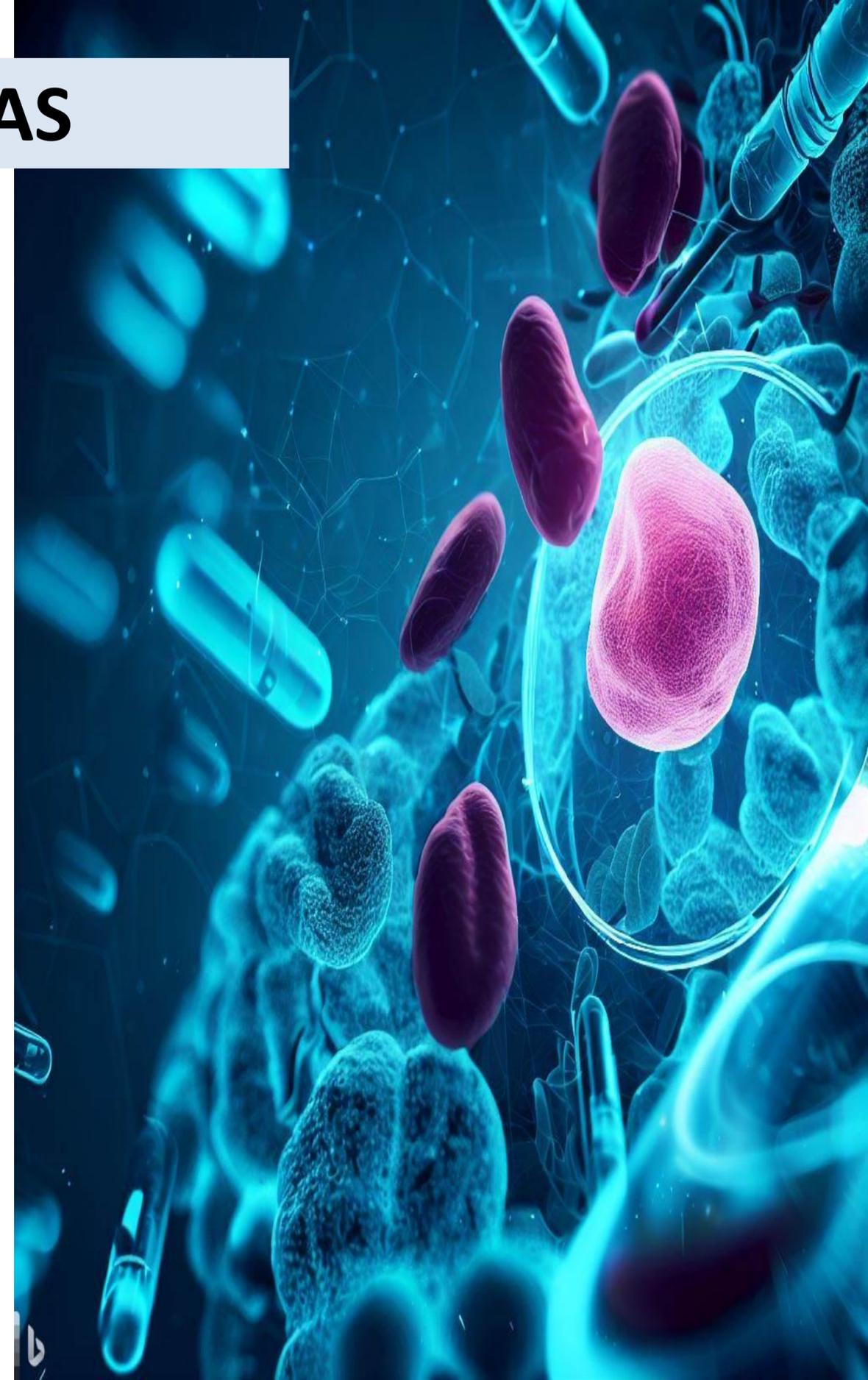
# PRODUTOS DE TERAPIAS AVANÇADAS

“tipo especial de medicamento complexo”

Lei 14874/24

- ✓ Produto de Terapia celular avançada
- ✓ Engenharia tecidual
- ✓ Terapia gênica
- ✓ “*Produtos combinados*”

RDC 505/2021  
IN 270/2023



# ENSAIOS CLÍNICOS - PTAs Experimentais - Brasil 2018 - 2023

## + - 45 estudos avaliados pela Anvisa

- Mucopolissacaridose I e II
- Hemofilia A e B
- Doença de Fabry
- Gangliosidose GM 1
- Lipofuscinose Ceroide Neuronal Infantil
- Demência Frontotemporal
- Deficiência de Ornitina Transcarbamilase
- Gaucher tipo 1
- Linfoma não Hodgkin
- Leucemia, Mieloma
- Doença de Krabbe
- Doença de Fabry
- Coroideremia
- Covid-19

Fonte:

<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/ensaios-autorizados>



# Produtos de Terapia Avançadas Registrados Brasil 2020 - 2024

PTA registrado					
	Produto	Tipo	Indicação	Ano do Registro	Empresa
1	Luxturna®	Terapia Gênica in vivo	Distrofia hereditária de retina	ago/20	Novartis
2	Zolgensma®	Terapia Gênica in vivo	Atrofia muscular espinhal (AME I)	ago/20	Novartis
3	Kymriah®	Terapia Gênica ex vivo	Leucemia (LLA), Linfoma (LDGCB)	fev/22	Novartis
			Linfoma Folicular (LF)	jul/23	Novartis
4	Yescarta®	Terapia Gênica ex vivo	Linfoma (LDGCB), Linfoma Folicular (LF)	fev/22	Gilead/Kite
			Linfoma (LDGCB - após primeira linha)	set/23	Gilead/Kite
5	Carvykti®	Terapia Gênica ex vivo	Mieloma Múltiplo	abr/22	Janssen
			Mieloma após primeira linha	fev/24	Janseen
6	Tecartus®	Terapia Gênica ex vivo	Linfoma (LCM), Leucemia (LLA)	dez/23	Gilead/Kite
7	Roctavian®	Terapia Gênica in vivo	Hemofilia A grave	mar/24	Biomarin
8	Upstaza®	Terapia Gênica in vivo	Deficiência de AADC grave	Out/24	PTC



**PROJETO Elevidys®**

**Empresa Solicitante do Registro:** Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A

**Nome comercial:** Elevidys<sup>®</sup>

**Componente ativo:** *delandistrogeno moxeparvoveque*

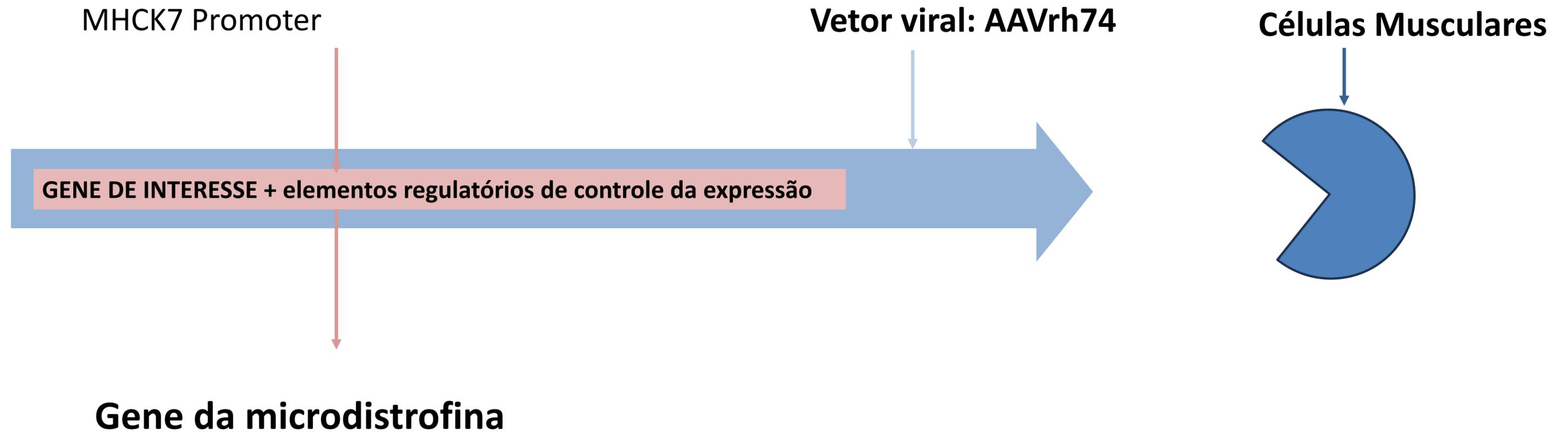
**Classe:** Medicamento

**Categoria:** Produto de Terapia Avançada Classe II

**Tipo:** Terapia Gênica *in vivo*

# PRODUTO DE TERAPIA GÊNICA - Elevidys®

**VETOR SRP-9001: vírus adenoassociado que entrega um gene da microdistrofina**  
**Distrofina: proteína crucial para o funcionamento e integridade dos músculos**



# DOCUMENTAÇÃO DE AVALIAÇÃO REGULATÓRIA E CIENTÍFICA

- **Dados do desenvolvimento não clínico** (toxicologia, biodistribuição, prova de conceito)
- **Dados do desenvolvimento clínico** (desenho dos estudos, população estudada, controle da heterogeneidade da população (idade, dados basais, história natural), resposta clínica significativa ao paciente, eventos adversos, manejo de riscos)
- **Dados da fabricação do produto (qualidade)** – capacidade de produção em larga escala, boas práticas de fabricação
- **Cuidados especiais aos pacientes:** programa de monitoramento de longo prazo
- **Infraestrutura hospitalar/Serviço de assistência:** qualificação do serviço, requisitos para preparação do produto (criopreservado), qualificação dos profissionais
- **Logística:** importação e controle do produto

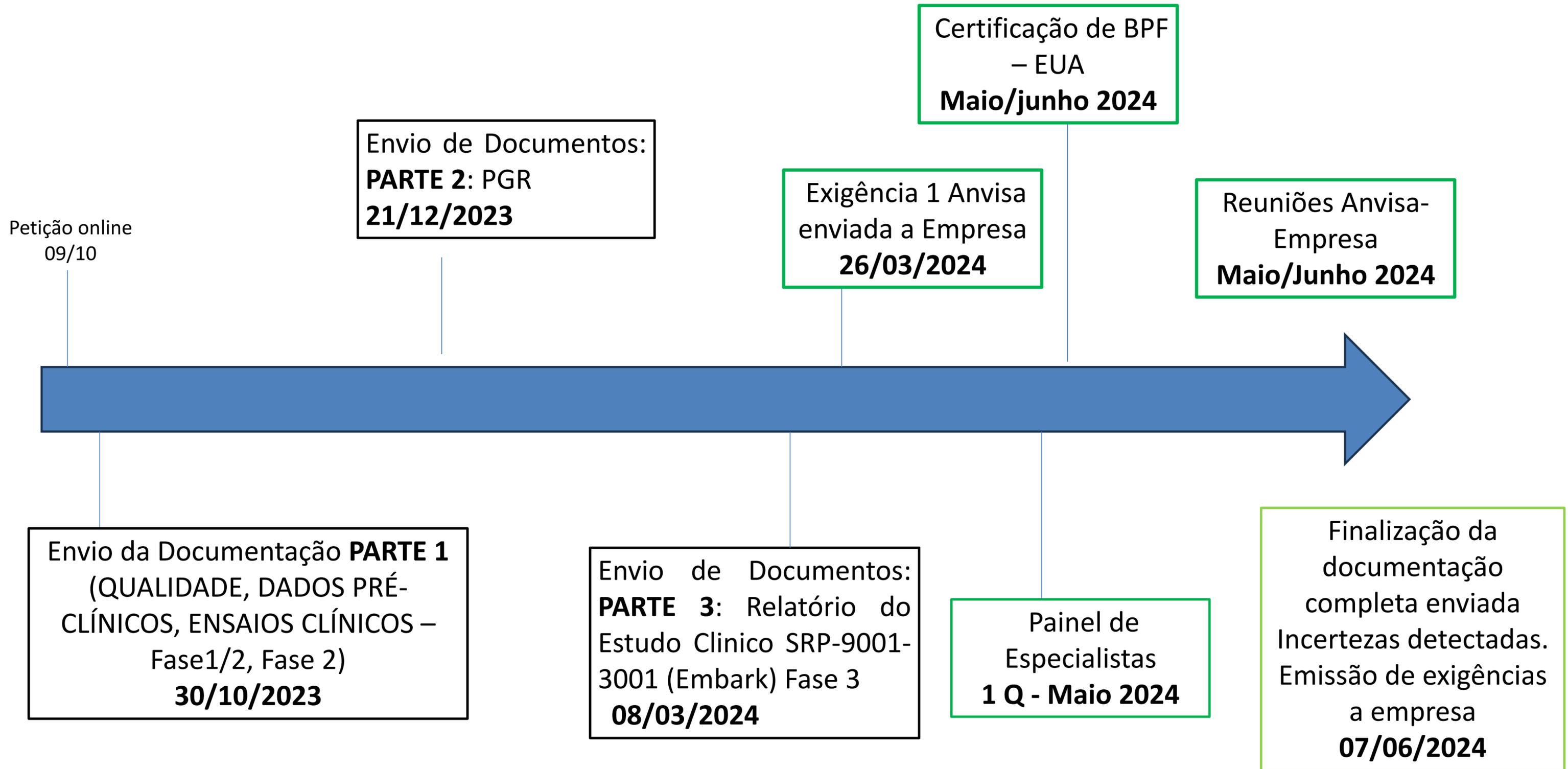


# AVALIAÇÃO REGULATÓRIA E CIENTÍFICA

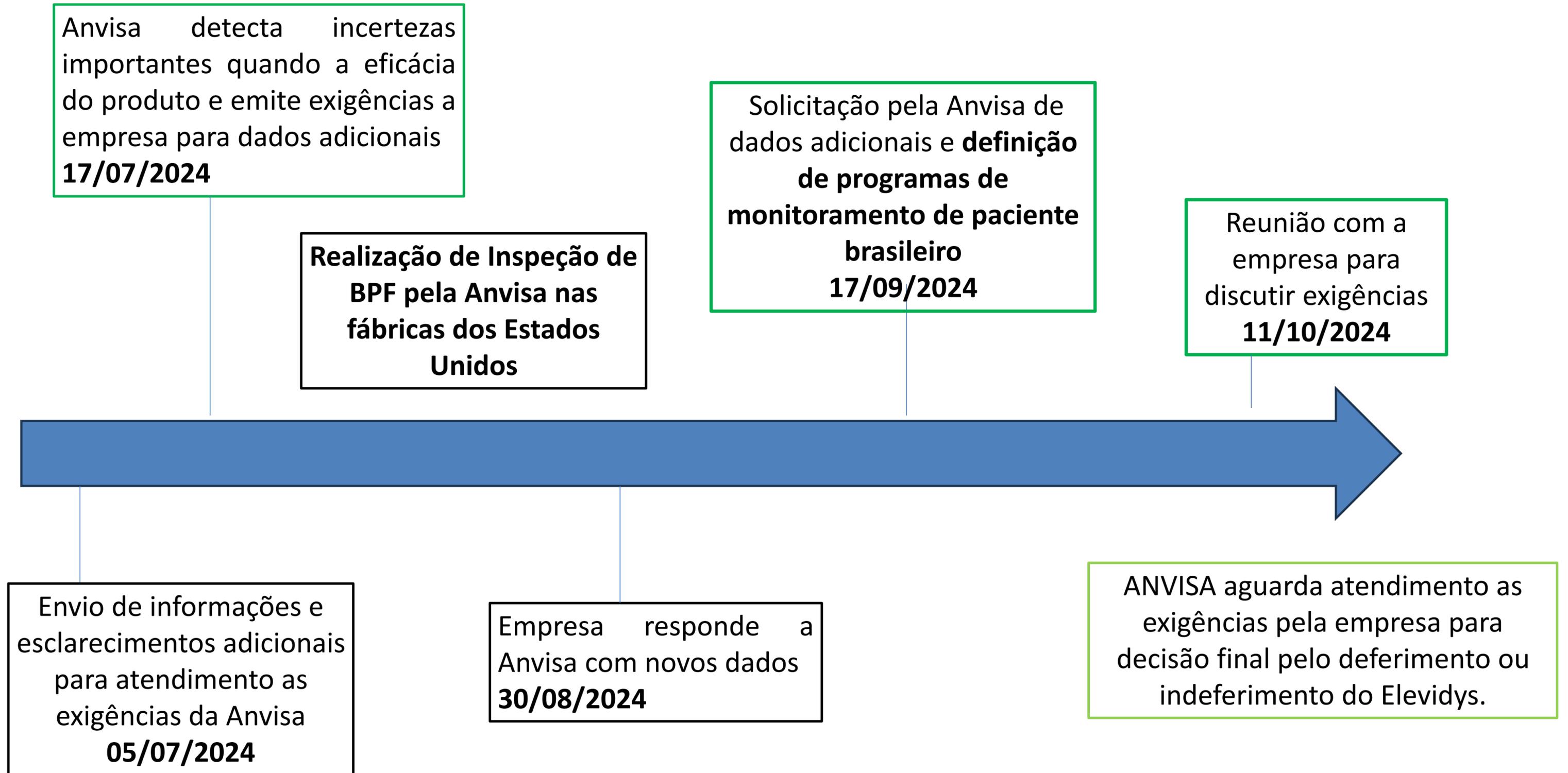
---

- SEGURANÇA
- QUALIDADE
- EFICÁCIA

# CAMINHO DA ANÁLISE – ANVISA



# CAMINHO DA ANÁLISE – ANVISA



***Aproximadamente 119 dias de análise técnica da Anvisa no Projeto até o momento.***

# Perspectiva

Caso a empresa atenda todos as últimas exigências da Anvisa, temos:

---

- Possibilidade de **registro excepcional**, sob condições e obrigações específicas.
- Indicação restrita para grupos de **pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade**. Não foram apresentados dados suficientes de eficácia e segurança para outros grupos de pacientes.
- Até o momento os dados demonstram que o **produto é seguro** para uso na população indicada, com possibilidade de manejo das reações adversas observadas, desde que seja utilizado e monitorado por profissional capacitado.
- Os dados de eficácia até o momento não determina a cura da doença, mas há **indícios de estabilização das funções motoras**, sendo um benefício importante pela gravidade da doença, que deve ser monitorado por longo prazo para se verificar se haverá manutenção do benefício observado.
- **Restrição de uso** em pacientes com deleção em regiões do genoma específicas (éxon 8 e 9)
- Necessário realizar exames de sangue para garantir que não possuem **quantidade de anticorpos** que impeçam de receber o produto

A microscopic view of a DNA double helix structure, showing two intertwined strands of red and blue spheres. The background is a light blue and white grid pattern. A central white text box contains the following text:

**Gerência de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de  
Terapias Avançadas – GSTCO/GGBIO**

**Segunda Diretoria**

**ANVISA**