

**ANVISA**



# Tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne

## Registro na ANVISA

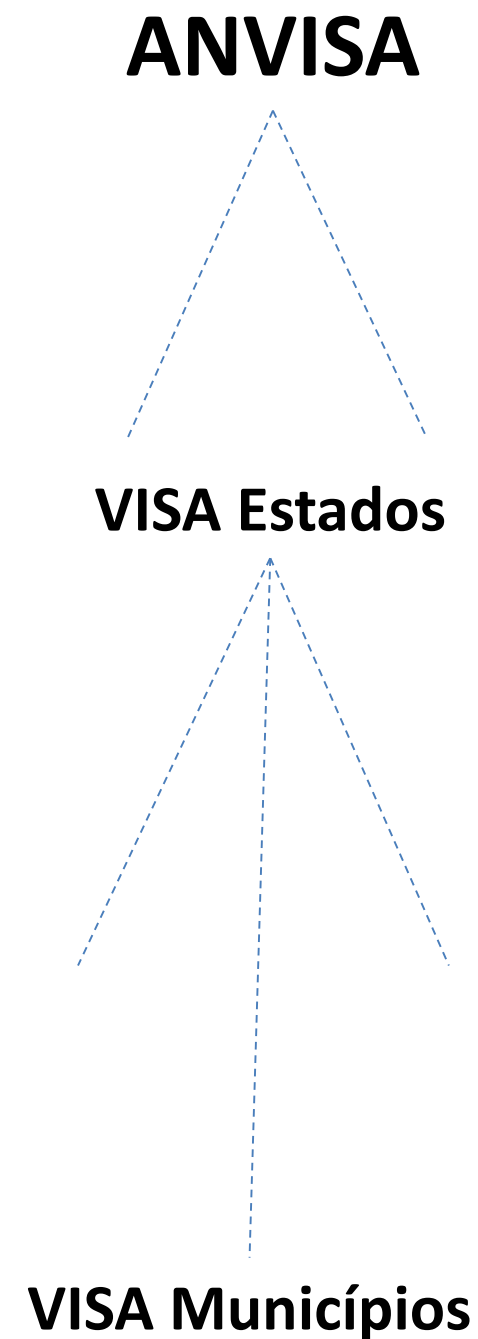
**João Batista Silva Júnior, MSc, PhD.**

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**

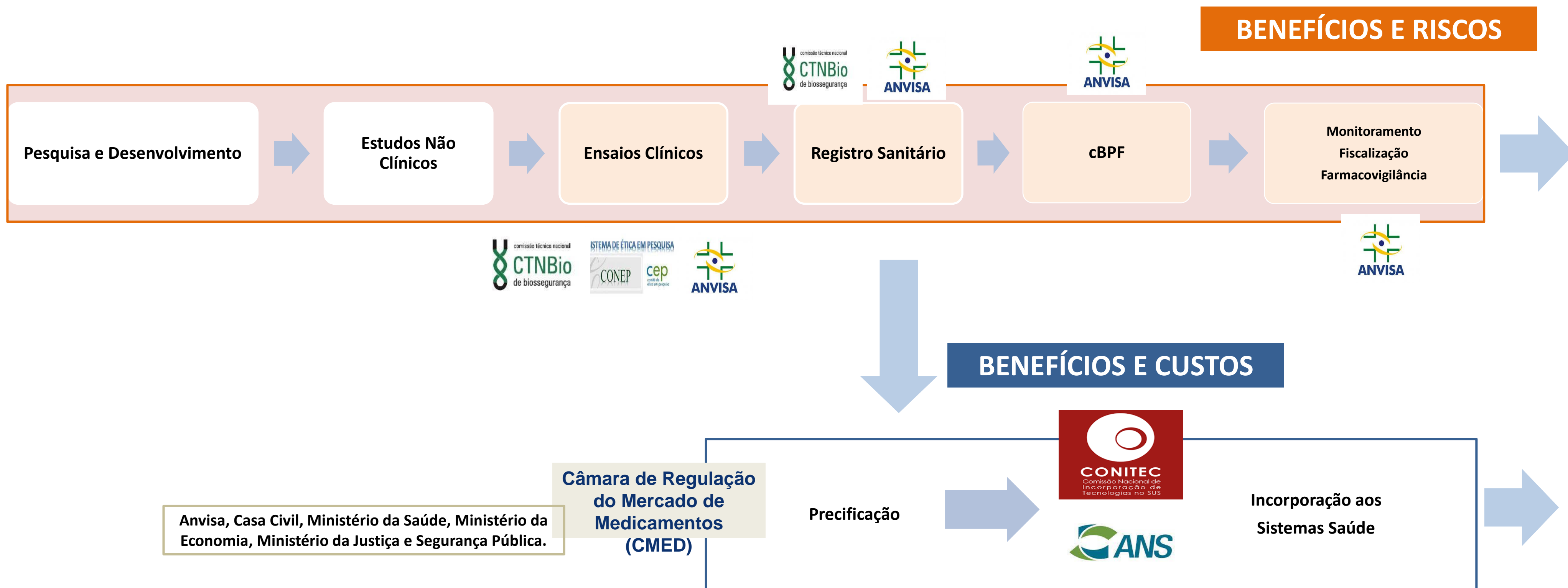


**BENEFÍCIOS**

**CIÊNCIA**



# CICLO DE VIDA DO PRODUTO DE TERAPIA AVANÇADA



# PRODUTOS DE TERAPIAS AVANÇADAS

“tipo especial de medicamentos”

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

RDC 505/2021  
IN 270/2023



# ENSAIOS CLÍNICOS - PTAs Investigacionais - Brasil 2018 - 2023

## 44 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
- Doença de Krabbe
- Doença de Fabry
- Coroideremia
- Covid-19

### Cenário dos ensaios clínicos com PTA no Brasil:

- ✓ Maioria (63%) patrocinados (desenvolvidos) por empresas multinacionais
- ✓ 37% são patrocinados por empresas nacionais (9 por centros acadêmicos hospitalares, 4 por *start up* do setor de biotecnologia).
- ✓ 3% engenharia tecidual
- ✓ 46% produtos de terapia gênica
- ✓ 51% produtos de terapia celular avançada

# Produtos de Terapia Avançadas Registrados Brasil 2020 - 2024

## PTA registrado

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

## PTA em avaliação

	Produto	Tipo	Indicação pleiteada	Empresa
8	Usptaza®	Terapia Gênica <i>in vivo</i>	Deficiente genética (AADC) Distrofia Muscular Duchenne (DMD)	PTC Therapeutics
9	Elevidys®	Terapia Gênica <i>in vivo</i>		Roche





**PROJETO Elevidys®**

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

**Nome comercial:** Elevidys®

**Componente ativo:** *delandistrogene moxeparvovec*

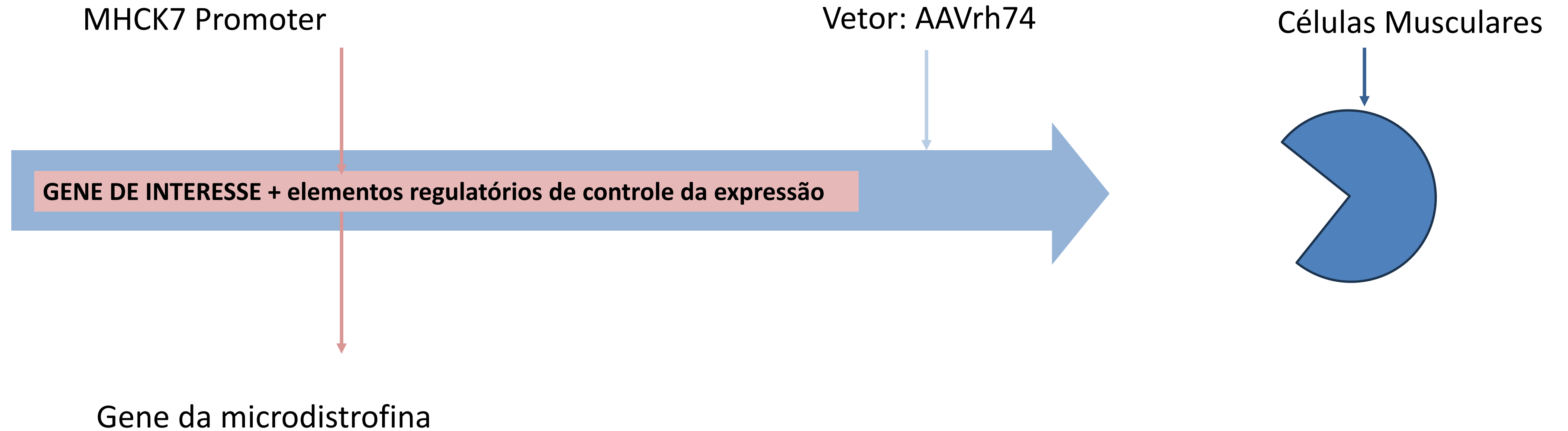
**Classe:** Medicamento

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

**Tipo:** Terapia Gênica *in vivo*

# PRODUTO DE TERAPIA GÊNICA - Elevidys®

## VETOR SRP-9001



# 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, monitoramento de longo prazo)
- **Dados da fabricação do produto (qualidade)** – capacidade de produção em larga escala, boas práticas de fabricação
- **Cuidados especiais aos pacientes**
- **Infraestrutura hospitalar/Serviço de assistência:** qualificação do serviço, preparação do produto, qualificação dos profissionais
- **Logística:** importação e controle do produto

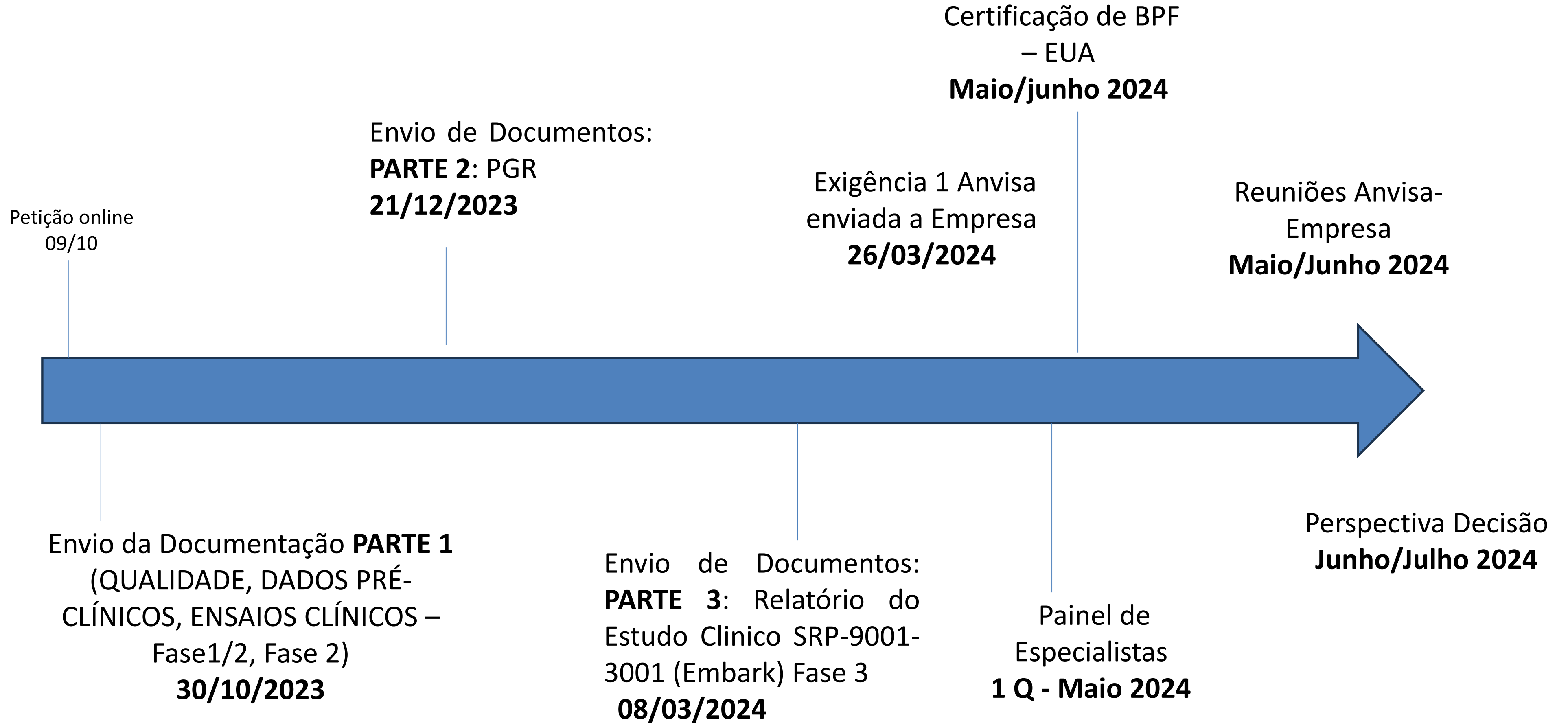


# AVALIAÇÃO REGULATÓRIA E CIENTÍFICA

---

- SEGURANÇA
- QUALIDADE
- EFICÁCIA

# CAMINHO DA ANÁLISE – ANVISA



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**