

Terapias avançadas em países com registro regulatório: uma revisão integrativa sobre fatores relacionados ao acesso

Michelle Louise KORMANN
Lúcia Dias da Silva GUERRA

Recebido: 29 maio 2023

Aceito: 30 maio 2023

Autor de correspondência

Michelle Louise Kormann
kormann.louise.michelle@gmail.
com

Universidade de São Paulo – USP, Faculdade de Saúde Pública – FSP, Curso de Economia e Gestão em Saúde. São Paulo, SP, Brasil. ORCID: <https://orcid.org/0009-0002-3111-5815>
Universidade de São Paulo – USP, Faculdade de Saúde Pública – FSP. São Paulo, SP, Brasil. ORCID: <https://orcid.org/0000-0003-0093-2687>

Como citar:

Kormann ML.
Guerra LDS. Terapias avançadas em países com registro regulatório: uma revisão integrativa sobre fatores relacionados ao acesso.
J Manag Prim Health Care. 2023;15:e025.
<https://doi.org/10.14295/jmphc.v15.1353>

Conflito de interesses:

Os autores declaram não haver nenhum interesse profissional ou pessoal que possa gerar conflito de interesses em relação a este manuscrito.

Copyright: Este é um artigo de acesso aberto, distribuído sob os termos da Licença Creative Commons (CC-BY-NC). Esta licença permite que outros distribuam, remixem, adaptem e criem a partir do seu trabalho, mesmo para fins comerciais, desde que lhe atribuam o devido crédito pela criação original.



Resumo

Doenças genéticas, câncer e outras enfermidades complexas do organismo humano, podem exigir alternativas terapêuticas de alta complexidade de produção e desenvolvimento biotecnológico como os produtos medicinais de terapia avançada. Apesar de esta área ser uma das novas promessas terapêuticas e esperança a pacientes portadores de enfermidades sem alternativas disponíveis no momento, observamos que os portadores de tais enfermidades ainda enfrentam inúmeros desafios de acesso a estas terapêuticas. As terapias avançadas são principalmente indicadas para cinco principais áreas terapêuticas sendo elas Oftalmologia, Doenças Cardiovasculares, desordem genéticas, linfomas e cânceres hematológicos, desordens metabólicas, nutricionais e endócrinas. Os primeiros processos de registro das terapias avançadas (TA) com fins terapêuticos em humanos foram consolidados nos anos 2000. A agência regulatória *European Medicines Agency* – EMA em 2009, aprovou o primeiro produto de TA. Desde então houve um aumento significativo no número de terapias que atingiram as exigências regulatórias solicitadas por grandes agências como *Food and Drug Administration* – FDA e EMA. No Brasil, o primeiro registro desses produtos ocorre após cerca de doze anos em comparação ao primeiro produto registrado na EMA. O marco regulatório da ANVISA (RDC 508/2021 – RDC 506/2021 – RDC 505/2021) estabelece no país as normas e padrões de qualidade na condução dos ensaios clínicos e boas práticas de manufatura para produção desses produtos com fins de uso terapêutico. O marco regulatório permitiu que os primeiros produtos de terapia avançada tivessem o registro no país e conseqüentemente a entrada destes produtos no mercado da saúde brasileiro se tornando assim um importante marco na área para os pacientes portadores de tais enfermidade. A ANVISA, também define com o marco regulatório que os produtos de terapia avançada podem ser divididos em produtos de terapia celular, terapia genética e de engenharia tecidual. Esta subdivisão dentro do grupo de terapias avançadas converge com as definições descritas na regulamentação do FDA no *Regenerative Medicine Therapy* – RMT e também pela EMA. Ao aprofundarmos um pouco mais nas terapias avançadas, identificamos que o ChondroCelect, em 2009, foi o primeiro produto dessas terapias a ser registrado na União Europeia. Resultado de estudos clínicos de engenharia de tecido com foco terapêutico em pacientes com enfermidades relacionadas à cartilagem. Um ano após o primeiro registro no EMA ocorre sob a perspectiva norte

americana, o registro do primeiro produto aprovado pelo FDA, o Provenge, resultado de uma terapia celular com indicação para determinados tipos de câncer de próstata. Avançando ao longo dos últimos 13 anos de programas de pesquisas e desenvolvimento em terapias avançadas, observamos uma tendência no aumento da quantidade de produtos registrados no FDA e EMA para a área e consequentemente de evidências científicas relacionadas a estes produtos. Destaco o caso do FDA que entre 2010 até 2022 teve em sua agência o registro de 25 produtos que atingiram eficácia, segurança e qualidade de produção para uso terapêutico em humanos. Em contrapartida a entrada de produtos de terapias avançadas no Brasil, ainda é sutil. Após o marco regulatório em 2021 os quatro produtos (Carvykti, Kymriah, Luxturna e Zolgesma) foram aprovados no país. No tocante ao acesso às terapias avançadas no cenário brasileiro observa-se um hiato de cerca de uma década entre o primeiro produto registrado no mundo e o primeiro produto registrado no Brasil. O objetivo deste estudo é identificar os principais fatores relacionados ao acesso a produtos de terapias avançadas em países com registro regulatório. Trata-se de uma revisão sistemática integrativa baseada na pergunta de pesquisa: *“Quais os principais fatores descritos na literatura científica que estão relacionados ao acesso a produtos de terapias avançadas em países com registro regulatório destas terapias?”*. A pergunta de pesquisa foi decomposta nos polos: fenômeno (“Acesso”), objeto (“terapias avançadas”) e contexto (“registro regulatório”). Para definição dos termos foram feitas as buscas dos descritores no DeCS, MeSH e Emtree. A pesquisa bibliográfica ocorreu nas bases de dados: PubMed (NCBI), Scopus (Elsevier), BVS/Lilacs, Taylor & Francis Online – *Journal of Market Access & Health Policy*, *Frontiers in Science* – *Journal of Public Health* e Web Science. Durante as buscas acima foi possível identificar um total de 275 artigos. A primeira triagem feita foi a avaliação de artigos duplicados para exclusão. Desta amostra foram identificados 26 artigos em duplicatas permanecendo um total de 249 artigos da amostra inicial. Uma nova triagem foi feita dentro do grupo de 249 artigos pelo Rayyan e por uma revisão de títulos e resumos. Essa nova triagem possibilitou a exclusão de 126 artigos pelo motivo de não estarem relacionados a temática do presente trabalho. Como resultado dessa triagem, um total de 123 artigos das bases iniciais permaneceram na amostra e após acesso aos textos completos e leitura na íntegra, espera-se que seja possível identificar os principais fatores que vem afetando o amplo acesso aos pacientes ao longo dos 20 anos de registro de produtos de terapias gênicas em países regulados pelas agências regulatórias FDA, EMA e ANVISA.

Descritores: Acesso aos Serviços de Saúde; Marcos Regulatórios em Saúde; Recursos Financeiros em Saúde; Terapia Genética; Equidade no Acesso aos Serviços de Saúde.

Descriptores: Accesibilidad a los Servicios de Salud; Marcos Reguladores en Salud; Recursos Financieros en Salud; Terapia Genética; Equidad en el Acceso a los Servicios de Salud.

Descriptors: Health Services Accessibility, Regulatory Frameworks for Health; Financial Resources in Health; Genetic Therapy; Equity in Access to Health Services.