

NOVAS PERSPECTIVAS DE TRATAMENTO DISPONÍVEIS PARA DOENÇAS RARAS: ANVISA REGULAMENTA PESQUISAS COM NOVAS TECNOLOGIAS

GREYCE LOUSANA

Você sabia que, a cada 100 mil pessoas no Brasil, 65 possuem doenças raras?

Essas doenças, geralmente, são progressivas, incapacitantes e possuem sinais e sintomas que variam consideravelmente dependendo tanto da doença quanto do indivíduo, o que as torna um grande desafio para os governos do mundo todo. Estima-se que 13 milhões de pessoas possuam doenças raras no Brasil. Você já deve ter ouvido falar sobre a hemofilia e a doença de Crohn. Essas e muitas outras, além de não possuírem cura, são doenças que contam com poucas ou nenhuma opção de tratamento.

Uma forma de ter acesso a tratamentos que ainda estão em fase de pesquisa, mas que, futuramente, podem se tornar terapias inovadoras para esse público, é participar de estudos clínicos que envolvam novas tecnologias, como os produtos de terapia celular avançada.

Em 2018 a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) publicou uma Resolução específica para regulamentar os ensaios clínicos com esses produtos, tendo sido considerada um marco regulatório para a área: a [RDC nº 260/2018](#).

Mas qual a importância dessa Resolução para os portadores de doenças raras?

Os produtos de terapia avançada, que englobam produtos de terapia celular avançada, de engenharia tecidual e de terapia gênica, são obtidos a partir de células e tecidos humanos, que são modificados em laboratórios, aperfeiçoados e, por fim, utilizados para tratamento de doenças. Em ensaios clínicos, esses produtos são rigorosamente testados em indivíduos que possuem a doença, para que se possa avaliar se são seguros e eficazes, tornando-se, assim, uma nova perspectiva para os portadores de doenças raras.

Essa Resolução se preocupa em esclarecer qual deve ser a estrutura de um centro de ensaios clínicos que pretenda conduzir estudos nessa área, quais as responsabilidades dos patrocinadores e dos pesquisadores dos estudos e ainda define todos os itens que devem compor um projeto de pesquisa, assim como sua respectiva condução, tendo como objetivo principal garantir a segurança das pessoas que participam desses projetos.

O objetivo de se desenvolver e estudar os produtos de terapia avançada é poder fornecer aos pacientes terapias seguras, com qualidade e que sejam eficazes principalmente na melhoria da qualidade de vida. Espera-se que, com a publicação dessa RDC - que deve ser utilizada em conjunto com a [RDC nº 214/2018](#), que trata das Boas Práticas em Células Humanas - indústrias e institutos de pesquisa se sintam estimulados para o desenvolvimento de pesquisas com seres humanos nessa área e mais pessoas sejam beneficiadas pelas descobertas e novas terapias que potencialmente surgirão a partir desses estudos.

O importante é não acreditar em tudo o que se ouve, mas pedir sempre orientações para os profissionais da saúde e para os médicos responsáveis pelo seu tratamento ou dos seus familiares. Para garantir que o produto de terapia celular é seguro, temos antes que fazer pesquisas que seguem padrões rigorosos.

O importante é se informar!

MATERIAL PUBLICADO EM 04.07.2019 – Amara Ciência

<https://maragabrigli.com.br/novas-perspectivas-de-tratamento-disponiveis-para-doencas-raras-anvisa-regulamenta-pesquisas-com-novas-tecnologias/>