

## Posicionamento FIFARMA – O Potencial das Terapias Avançadas para Pacientes na América Latina

Os membros da FIFARMA representam a indústria farmacêutica de inovação e as entidades de classe nacionais na região da América Latina.

A FIFARMA está comprometida com o desenvolvimento de políticas que promovem o acesso a inovações farmacêuticas de alta qualidade no intuito de prolongar, preservar e melhorar a vida dos pacientes na América Latina.

### **Introdução às Terapias Avançadas na Região da América Latina - a importância dos sistemas regulatórios**

As Terapias Avançadas são medicamentos para uso humano obtidos de células (terapia celular), genes (terapia genética) ou tecidos (engenharia de tecidos). Alguns podem conter um ou mais dispositivos médicos como parte integrante do medicamento ("terapia avançada combinada"). Essas novas terapias revolucionárias estão ultrapassando os limites da ciência e desafiando as expectativas do que a medicina pode alcançar. As Terapias Avançadas têm potencial para satisfazer às principais necessidades médicas não atendidas, alterando o curso das doenças, aliviando as causas subjacentes e até mesmo potencialmente curando certas condições.

No entanto, os benefícios desses produtos trazem novos desafios regulatórios, como resultado da variedade de terapias cobertas, da inovação científica e do alto nível de complexidade ao longo do desenvolvimento e fabricação dessas tecnologias. Isso requer mudanças de mentalidade e abordagem por todas as partes interessadas, que podem ser trabalhadas por meio do fortalecimento do sistema regulatório.

- Os Governos e os Sistemas de Saúde seriam capazes de lidar com os riscos éticos e de reputação onde os produtos ou terapias atualmente autorizados não tenham demonstrado benefícios, eficácia e segurança, e com as incertezas relacionadas aos centros que administram esses produtos.

- As Autoridades Reguladoras Nacionais e Indústria se beneficiariam de aprovações com base científica e de processos regulatórios e de fiscalização efetivos, flexíveis e inovadores, para gerenciar submissões regulatórias complexas e restrições globais de fornecimento.

- Os Pacientes e os Profissionais de Saúde seriam capazes de entender os benefícios e ter acesso a terapias avançadas seguras, eficazes e de qualidade.

A FIFARMA reconhece que o fortalecimento dos sistemas regulatórios para esses medicamentos oferece essa oportunidade para todas as partes interessadas na região.



## **Problemas enfrentados pelos sistemas regulatórios ao considerar Terapias Avançadas**

- (I) a necessidade de adaptar os marcos regulatórios, incluindo orientações e práticas, às especificidades únicas das terapias avançadas, ou seja, manufatura complexa, estudos com populações pequenas, desfechos substitutos (“surrogate”), aprovações condicionais e farmacovigilância, incluindo acompanhamento a longo prazo,
- (II) falta de documentos internacionais de referência harmonizados, com terminologia, padrões regulatórios e requisitos de evidência alinhados,
- (III) um alto nível de complexidade que exige treinamento para gerar conhecimento especializado em toda a diversidade de tecnologias,
- (IV) especificidades relacionadas à fabricação, como dificuldades na coleta e manuseio do material de origem,
- (V) a necessidade de usar estratégias inovadoras para a geração de evidências geralmente resulta em submissões reduzidas, quando comparadas a outros medicamentos, devido à inclusão de dados precoces robustos que visam satisfazer necessidades não atendidas.

## **Recomendações FIFARMA para o fortalecimento de sistemas regulatórios para Terapias Avançadas na região**

A FIFARMA respalda o recente documento “Regulamentação de Produtos Medicinais de Terapia Avançada: Nota Conceitual e Recomendações da Rede PARF” [PANDRH Regulation of Advanced Therapy Medicinal Products: Concept Note and Recommendations], apoia as recomendações propostas (veja o Apêndice 1) e se dispõe a auxiliar as autoridades reguladoras nacionais quando começarem a implementar essas recomendações na região.

A FIFARMA destaca três principais áreas de oportunidade para fortalecer os sistemas regulatórios para esses medicamentos na região:

- **Estabelecimento de Marcos Regulatórios:** a falta de marcos regulatórios ou a existência de regulamentos divergentes em toda a região podem atrasar o acesso a Terapias Avançadas seguras, eficazes e de qualidade. A criação de marcos regulatórios que permitam a regulação adequada dessas terapias, reconhecendo a diversidade de tecnologias, permitindo flexibilidades suficientes para se adaptar aos avanços da ciência e a crescente experiência na área, pode ser um desafio. A FIFARMA apoia a adoção de regulamentos e diretrizes internacionais. Quando um marco regulatório nacional for desenvolvido, a FIFARMA defende que este seja convergente com os padrões científicos internacionais, de forma a alcançar a harmonização de normas, diretrizes, regulamentos e mecanismos de implementação. Uma abordagem baseada em risco deve ser aplicada sempre que possível, mantendo um conjunto robusto de critérios-chave para garantir a segurança do paciente e a eficácia.
- **Adoção de Procedimentos para uso de decisões regulatórias de outras jurisdições (“reliance”):** garantir a segurança, a qualidade e a eficácia desses produtos pode exigir grandes recursos e força de trabalho qualificada. A FIFARMA recomenda que as agências reguladoras da América Latina adotem procedimentos para uso de decisões regulatórias de outras jurisdições para aumentar a eficiência e aprimorar capacidades regulatórias. O uso de tais procedimentos deve abranger todo o ciclo de vida do produto (inspeções, revisão regulatória, e alterações pós-registro).
- **Capacitação Regulatória:** a capacidade e a competência das autoridades para regular esses produtos complexos representam um desafio imediato, impactando o desenvolvimento de normas e análises regulatórias. A FIFARMA apoia uma abordagem de parceria multilateral para fornecer treinamento de capacidade para reguladores, servidores e profissionais de saúde, e recomenda o uso de atividades de treinamento para autoridades nacionais de saúde em Terapias Avançadas desenvolvidas por Centros de Excelência da APEC [Fórum de Cooperação Econômica Ásia-Pacífico], pela OPAS [Organização Pan-Americana da Saúde], pela/Rede PARF [ Rede Pan-Americana de Regulamentação Farmacêutica].





## Conclusão

As Terapias Avançadas são um campo em rápida evolução, com um inerente alto nível de complexidade e desafios reconhecidos. A FIFARMA vê três áreas principais de oportunidade nas quais é possível fortalecer os sistemas regulatórios para esses medicamentos na região, alinhados às atividades da Rede PARF, de forma a garantir o uso de terapias avançadas aprovadas e prevenir riscos para a população. Além disso, a FIFARMA recomenda que as agências reguladoras da América Latina (i) garantam a convergência ao estabelecer marcos regulatórios, (ii) apliquem procedimentos para uso de decisões regulatórias de outras jurisdições (“reliance”) e (iii) promovam treinamento e capacitação. Todas as partes interessadas devem se engajar em um diálogo aberto e continuar os esforços para garantir a disponibilidade de Terapias Avançadas para pacientes na América Latina.



A FIFARMA é a Federação Latino-Americana da Indústria Farmacêutica criada em 1962. Representamos 14 empresas biofarmacêuticas baseadas em pesquisa e 11 associações locais dedicadas à descoberta e desenvolvimento de produtos e serviços de saúde inovadores, de qualidade e seguros que melhoram a vida dos pacientes na América Latina e no Caribe e defendem sistemas de saúde sustentáveis e centrados no paciente, caracterizados por altos padrões regulatórios e princípios éticos.

## Apêndice 1: RECOMENDAÇÕES PARA AUTORIDADES REGULADORAS<sup>1</sup>

A Nona Conferência da Rede Pan-Americana de Harmonização Regulatória de Medicamentos [Pan American Network for Drug Regulatory Harmonization] recomenda às autoridades reguladoras:

### **1. Fortalecer os sistemas regulatórios de medicamentos, tecnologias em saúde e produtos de origem humana por meio de:**

- a. Revisão dos marcos regulatórios nacionais pelas ARN e reconhecimento da existência de tais produtos;
- b. Adoção de regulamentos específicos para a introdução de terapias avançadas, considerando as Normas de Orientação sobre células, tecidos e transplantes humanos e os Princípios sobre doação e manejo de sangue, componentes sanguíneos e outros produtos médicos de origem humana, ambos estabelecidos pela OMS e outras diretrizes internacionais.;
- c. Uso de padrões internacionais para aprovação dessas terapias, registro de produtos e licenciamento de estabelecimentos que os manipulam ou administram (incluindo, mas não limitado a: ensaios clínicos de efetividade, segurança e eficiência; monitoramento de boas práticas de fabricação; bio farmacovigilância etc.);
- d. Autorização (incluindo licenciamento ou quando apropriado), supervisão e vigilância dos centros ou instalações nos casos em que seja demonstrado o uso de técnicas de terapia celular aprovadas, a fim de evitar atividades fraudulentas.

### **2. Melhorar os mecanismos de informação nas autoridades reguladoras para:**

- a. Informar a comunidade sobre os usos, riscos e benefícios das terapias com base nas evidências científicas atuais, a fim de evitar publicidade enganosa;
- b. Incitar médicos e pacientes a não usar células-tronco não aprovadas para fins terapêuticos, dados os possíveis riscos dessa terapia;
- c. Expandir a rede de comunicação entre agências reguladoras, pesquisadores, centros e outras partes interessadas, a fim de manter comunicação e coordenação contínuas para alcançar a harmonização de padrões, diretrizes, regulamentos e mecanismos de implementação e melhorar a produção de dados sobre a regulamentação e uso desses produtos e troca de informações sobre segurança.

<sup>1</sup>Pan American Health Organization. Regulation of Advanced Therapy Medicinal Products: Concept Note and Recommendations. Ninth Conference of the Pan American Network for Drug Regulatory Harmonization (PANDRH). (San Salvador, Outubro 2018). Washington, D.C.: PAHO; 2019.