

## **Webinar orienta empresas sobre como fazer notificação de alimentos**

**Encontro será no dia 9 de dezembro, às 15h. Participe!**

A Anvisa irá realizar, na próxima segunda-feira (9/12), um webinar para orientar as empresas da área de alimentos sobre como fazer corretamente a notificação de produtos. A notificação à Agência é necessária para algumas categorias de alimentos que são dispensados de registro.

O objetivo do webinar é orientar os participantes sobre as melhores práticas para evitar inconsistências e garantir conformidade regulatória, promovendo mais eficiência nos processos de notificação e aprovação.

Para isso, a Anvisa irá apresentar o resultado das análises das notificações recebidas, destacando os principais motivos que levam ao cancelamento da notificação e à solicitação de correções.

Para participar do evento, basta clicar no link abaixo, no dia e horário agendados. Não é preciso fazer cadastro prévio.

**Dia 9/12, às 15h - [Webinar – Avaliação das notificações recebidas pela Anvisa: Principais motivos de cancelamento e solicitação de correções](#)**

### **Webinar**

É um seminário virtual que tem como objetivo fortalecer as iniciativas de transparência da Anvisa, levando conteúdo e conhecimento atualizados ao público. A transmissão é via web e a interação com os usuários é feita em tempo real, por um chat realizado durante o evento.

**[Confira a página específica de webinars realizados pela Agência.](#)**

---

## **Anvisa alerta para tentativa de golpes na emissão do Certificado Internacional de Vacinação**

**Atenção: documento tem emissão gratuita.**

A Anvisa alerta a população sobre a existência de golpes na internet por meio de serviços falsos para a emissão do Certificado Internacional de Vacinação ou Profilaxia (CIVP). Criminosos estão disponibilizando formulários semelhantes ao oficial para coletar dados e arrecadar com a cobrança de taxas indevidas.

A Agência reforça que não é feita nenhuma cobrança para a emissão do Certificado Internacional de Vacinação ou Profilaxia. O documento pode ser solicitado gratuitamente pelo [portal de serviços do governo federal](#) ou pelo aplicativo 'Meu SUS Digital'.

---

## **Anvisa aprova registro de primeiro produto de terapia gênica para Distrofia Muscular de Duchenne (DMD)**

**Elevidys® foi aprovado no Brasil para tratar crianças de 4 a 7 anos de idade.**

A Anvisa concedeu o [registro do Elevidys® \(delandistrogênio moxeparvoveque\)](#) para a empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Este é o primeiro medicamento de terapia gênica aprovado no Brasil para tratar crianças deambuladoras (que ainda conseguem caminhar) de 4 a 7 anos de idade com distrofia muscular de Duchenne (DMD). O registro foi publicado no Diário Oficial da União desta segunda-feira (2/12).

Para pacientes acima de 7 anos e que perderam a capacidade de locomoção funcional, mesmo que com algumas dificuldades ou limitações, os dados disponíveis são limitados e ainda não são suficientes para verificar o benefício do uso do produto.

Além disso, ressalta-se que há contraindicações aos pacientes com deleções (perdas de parte de um cromossomo) nos éxons 8 e/ou 9 do gene DMD ou com títulos elevados de anticorpos contra o vetor viral. Os éxons são regiões específicas do DNA do paciente.

O registro foi concedido em caráter excepcional, conforme o artigo 30 da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 505/2021, devido à gravidade da DMD, uma doença rara e debilitante, e à ausência de alternativas terapêuticas para os pacientes.

### **Sobre a doença**

A distrofia muscular de Duchenne é uma condição genética rara e grave que piora com o tempo, levando ao enfraquecimento e à deterioração dos músculos do corpo do paciente. A doença ocorre devido a um gene defeituoso que resulta na ausência da distrofina, uma proteína que ajuda a manter as células musculares do corpo intactas. Como resultado desse defeito genético, indivíduos com DMD podem apresentar sintomas como dificuldade para caminhar e correr, quedas frequentes, fadiga, dificuldades de aprendizado, problemas cardíacos (devido ao impacto no funcionamento do músculo cardíaco) e problemas respiratórios (devido ao enfraquecimento dos músculos respiratórios).

Os sintomas de fraqueza muscular associados à DMD geralmente começam na infância, frequentemente entre 3 e 6 anos de idade. Entretanto, após o pico de aproximadamente 6 anos de idade, mesmo com o uso de medicamentos corticosteroides, a função muscular de indivíduos com DMD começa a se deteriorar devido à lesão muscular progressiva. A DMD afeta principalmente os homens, e, em casos raros, pode afetar mulheres. À medida que a doença progride, podem ocorrer problemas cardíacos e respiratórios que ameaçam a vida.

A maioria das abordagens terapêuticas atuais trata os sintomas da doença. Os tratamentos incluem medicamentos corticosteroides para retardar a progressão da fraqueza muscular, programas de alongamento e exercícios físicos e o uso de equipamentos, como órteses ou cadeira de rodas, à medida que caminhar se torna mais difícil.

### **Sobre o Elevidys®**

Elevidys® é um medicamento de terapia avançada, classificado como terapia gênica. Ele funciona utilizando um vetor viral para transportar um gene humano que codifica a microdistrofina, com o objetivo de substituir a proteína distrofina disfuncional ou ausente no organismo do paciente. Esse tratamento visa restaurar, ainda que de forma parcial, a função muscular em pacientes pediátricos. O medicamento é administrado em uma única dose intravenosa, com a quantidade ajustada de acordo com o peso da criança.

O desenvolvimento clínico do Elevidys® foi embasado em diversas pesquisas clínicas que avaliaram sua eficácia e segurança no tratamento da DMD. Os resultados demonstraram, por enquanto, que o Elevidys® estabiliza e apresenta tendência de melhorar a doença em desfechos funcionais importantes em crianças deambuladoras, de 4 a 7 anos de idade, com mutações confirmadas no gene DMD.

Alguns estudos controlados, com seguimento de pacientes de 12 meses, não apresentaram resultados estatisticamente significativos em escala clínica denominada NSAA (North Star Ambulatory Assessment), uma ferramenta padronizada para medir o impacto da progressão da doença em pacientes. No entanto, foi possível observar benefícios relevantes em outras mensurações de desfechos clínicos significativos comparados com o placebo, que incluíram melhorias na capacidade de ficar em pé, caminhar e subir escadas, acompanhadas por um aumento nos níveis de proteína, diretamente relacionado a esses avanços clínicos.

Os efeitos adversos mais comuns observados nos pacientes que utilizaram o Elevidys® foram vômitos, náuseas, lesão hepática aguda, febre e trombocitopenia. Dessa forma, como medida de manejo de riscos, a função hepática deve ser monitorada antes do tratamento e semanalmente,

nos primeiros três meses após a administração.

## Processo de registro

A Anvisa conduziu análise técnica prioritária do Elevidys®, considerando sua classificação como um medicamento de terapia gênica, inovador, para tratamento de doença rara grave, debilitante, progressiva, sem tratamento específico disponível.

Para a execução das análises regulatórias e científicas realizadas pela Agência foram utilizados como base o contexto terapêutico, a força e a qualidade das evidências disponíveis, as incertezas detectadas e a capacidade de manejo dos riscos frente aos benefícios.

Seguem os principais elementos orientativos da avaliação da Anvisa:

Perfil de segurança e prova de conceito: análise dos dados de experimentos não clínicos.

Perfil de segurança e eficácia clínica: análise dos dados de estudos clínicos para avaliar a segurança e a eficácia do medicamento em pacientes.

Aspectos da qualidade do produto: análise dos requisitos de qualidade farmacêutica do componente ativo e do produto final.

Estudos de estabilidade e distribuição: análise de dados da estabilidade do produto no contexto brasileiro e da definição de processos controlados da importação.

Estratégias para manipulação do produto e cuidados ao paciente: análise das orientações e precauções para a manipulação do produto e cuidados especiais ao paciente.

Mecanismos de monitoramento e gerenciamento de riscos: análise das abordagens para o acompanhamento pós-administração, farmacovigilância e outros requisitos aplicáveis.

Certificação de Boas Práticas de Fabricação: a Anvisa certificou os processos de fabricação do componente ativo e do produto acabado, com a Certificação de Boas Práticas de Fabricação (CBPF), após inspeções nas plantas fabris localizadas nos EUA.

## Benefícios e riscos

Os benefícios do Elevidys no tratamento de pacientes com DMD, deambulantes, com idade de 4 a 7 anos de idade, demonstram uma melhora significativa em funções essenciais, como a capacidade de ficar em pé, caminhar e subir escadas. Esses benefícios superam os riscos associados ao tratamento.

A relação entre benefícios e riscos é considerada favorável, mesmo diante de incertezas, como a duração da resposta terapêutica.

A aprovação do registro do Elevidys oferece uma alternativa terapêutica capaz de retardar ou prevenir o declínio funcional irreversível, em pacientes que possuem poucas ou nenhuma opção de tratamento disponível para evitar a progressão desse declínio ao longo do tempo.

Nesse contexto, o Elevidys foi aprovado por meio da via de **registro de caráter excepcional, sob condições de monitoramento de longo prazo**, definida na RDC 505/2021, que estabelece a possibilidade de aprovação de medicamentos para doenças raras e graves em relação às quais há uma necessidade clínica não atendida e o medicamento tenha demonstrado efeito em desfechos clínicos que prediz o benefício clínico para os pacientes em longo prazo. Essa via proporciona aos pacientes a possibilidade de acesso a novos medicamentos promissores, com tecnologias inovadoras, e que demonstraram determinados benefícios nos grupos de pacientes submetidos às pesquisas clínicas. No entanto, é necessário que a empresa detentora do registro continue o

monitoramento de dados dos pacientes para confirmar a eficácia e a segurança por um longo período.

Assim, apesar de os benefícios demonstrados superarem os riscos para pacientes elegíveis, ainda existem incertezas quanto à duração e à característica da resposta em longo prazo, o que deverá ser monitorado pela empresa e avaliado anualmente pela Anvisa.

### **Monitoramento pós-aprovação e Termo de Compromisso**

Um registro sanitário sob condições, em circunstâncias excepcionais, é aplicado a medicamentos que não se encaixam no processo de registro padrão, pois dados abrangentes não podem ser obtidos devido ao pequeno número de pacientes, à dificuldade de coletar informações completas de eficácia e segurança devido a características específicas da doença, ou a lacunas no conhecimento científico, inclusive sobre a tecnologia inovadora. Esses medicamentos estão sujeitos a obrigações específicas de monitoramento pós-registro.

A Anvisa estabeleceu um Termo de Compromisso (TC) com a empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. para que ela forneça dados adicionais sobre a eficácia e a segurança, em longo prazo, dos pacientes incluídos nos ensaios clínicos, com base em um acompanhamento de 15 anos, além de estudos observacionais de efetividade e segurança baseados em dados de pacientes tratados no Brasil e globalmente, em cenário comercial. Esses estudos serão realizados de acordo com protocolos acordados e os resultados serão monitorados anualmente pela Agência.

Veja quais as principais obrigações definidas no TC, que em breve será publicado na íntegra no portal da Anvisa:

#### **Estudo observacional local - pacientes brasileiros**

Descrição: estudo observacional local, descritivo, com coleta retrospectiva e prospectiva de dados do mundo real para descrever a segurança e a efetividade do delandistrogênio moxeparvoque em pacientes que tiveram a administração da terapia no Brasil, após a concessão do registro do Elevidys® pela Anvisa.

#### **Estudo pós-aprovação - Europa**

Descrição: estudo pós-aprovação, multinacional, não intervencional e longitudinal, que fornecerá dados sobre a segurança e a efetividade do Elevidys® durante um período de acompanhamento de pelo menos 15 anos. O estudo incluirá pacientes brasileiros. A análise de subgrupos de pacientes brasileiros será fornecida de acordo com os marcos especificados no protocolo da pesquisa clínica.

#### **Estudo SRP-9001-305**

Descrição: estudo multinacional de acompanhamento em longo prazo para avaliar a segurança e a eficácia em indivíduos que já receberam delandistrogênio moxeparvoque nos estudos clínicos.

#### **Relatório Periódico de Monitoramento de Registro de Produtos de Terapias Avançadas**

Descrição: relatório anual sistematizado de avaliação crítica para confirmação periódica dos benefícios e riscos do Elevidys®, registrado sob condições de monitoramento de longo prazo.

**Fonte:** [Anvisa](#), em 02.12.2024.