

Anvisa aprovou 124 medicamentos para doenças raras em oito anos

A agência brasileira também tem avançado nas terapias avançadas para tratar essas doenças, aperfeiçoando a regulação, capacitando suas equipes e trocando informações com outras agências de referência mundial.

Nesta sexta-feira (28/2), comemora-se o Dia Mundial das Doenças Raras. O objetivo da data é conscientizar e sensibilizar as pessoas sobre os impactos dessas doenças e a necessidade de melhorar o acesso aos tratamentos disponíveis. Instituída em 2008, escolheu-se o dia 29 de fevereiro por ser um “dia raro”, sendo comemorada em 28 de fevereiro nos anos não bissextos

Doenças raras são aquelas que afetam até 65 pessoas em cada grupo de 100 mil indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas em cada 2 mil indivíduos.

Desde o início da séria histórica, em 2005, a Anvisa aprovou 143 produtos para o tratamento dessas doenças no Brasil. O número é resultado do compromisso da Agência em otimizar os prazos de análise para estes tratamentos.

A maior parte, ou seja, 87% das aprovações de tais produtos, ocorreu apenas nos últimos oito anos, de 2017 até o início de 2025, totalizando 124 medicamentos nesse período.

Um dos motivos para o crescimento nesse período é a própria regulamentação da Anvisa, que estabeleceu procedimento especial para os processos relacionados às doenças raras, o que inclui a anuência de ensaios clínicos, a certificação de boas práticas de fabricação e o registro de novos medicamentos para tratamento, diagnóstico ou prevenção dessas doenças.

O tratamento especial dispensado aos medicamentos voltados para este público é regulamentado pela Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 205, aprovada em 2017 e já atualizada desde então. Antes dessa norma, não existia nenhuma regulamentação específica para novos medicamentos para doenças raras. A RDC 205/2017 permitiu que alguns requisitos fossem flexibilizados, mas sem comprometer a qualidade, a segurança e a eficácia dos medicamentos. A norma esta alinhada também à Política Nacional de Doenças Raras e atualmente se encontra em revisão pela Anvisa.

Os medicamentos para doenças raras são voltados para grupos bem específicos da população, que muitas vezes não dispõem de alternativas terapêuticas. As doenças raras são aquelas que afetam até 65 pessoas em cada grupo de 100 mil indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas em cada 2 mil indivíduos. Além disso, as doenças raras geralmente são crônicas, progressivas e incapacitantes.

Novas terapias

Além dos 143 medicamentos para doenças raras aprovados no Brasil, a regulamentação dos produtos de terapias avançadas também tem permitido o avanço e o surgimento de novas opções para tratar as doenças que atualmente não têm tratamentos disponíveis. As terapias avançadas são aquelas que envolvem tecnologias como a engenharia genética, as quais são bastante promissoras para o enfrentamento de enfermidades complexas e sem alternativas médicas.

Essas terapias exigem um tratamento específico por parte da agência reguladora e a criação de mecanismos de controle que garantam a sua qualidade, segurança e eficácia.

A Anvisa tem avançado neste setor, com o aperfeiçoamento da regulação, a capacitação de suas equipes e a troca de informações com outras agências de referência mundial.

Confira a [RDC 205/2017](#).

[Saiba mais sobre as doenças raras e os medicamentos aprovados no Brasil.](#)

Anvisa promove treinamento intensivo sobre Guia ICH Q13

Com a orientação de especialistas internacionais, o treinamento sobre a diretriz ICH Q13 aprofundou os participantes nos conceitos e práticas relacionados à produção contínua de substâncias ativas e medicamentos.

Nesta semana, entre os dias 24 e 27 de fevereiro, a Anvisa promoveu um treinamento intensivo sobre o Guia ICH Q13 no auditório da sua sede, em Brasília (DF). ICH é a sigla para International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ou, em português, Conselho Internacional para Harmonização de Requisitos Técnicos para Produtos Farmacêuticos de Uso Humano.

Nesse sentido, o Guia ICH Q13 se refere a uma diretriz do Conselho voltada para a produção contínua (PC) de insumos farmacêuticos ativos (IFAs) e medicamentos — conhecida em inglês como continuous manufacturing (CM). A PC pode ser aplicada a algumas ou a todas as operações unitárias em um processo de fabricação, ocorrendo por meio de diferentes abordagens. Desde 2024, o Guia ICH Q13 foi implementado pela Anvisa, com o objetivo de promover a normalização e o alinhamento internacional de instrumentos regulatórios.

Desafios

O treinamento destrinchou uma série de temas relacionados à PC e sua aplicação na indústria farmacêutica, com foco em aspectos regulatórios, tecnologias e estratégias de implementação. Além de promover o aprofundamento das diretrizes do ICH Q13, o evento debateu desafios regulatórios e operacionais. Foram apresentados, ainda, tópicos como a utilização da tecnologia analítica de processos (process analytical technology - PAT), a importância da gestão de dados, a validação de modelos e controle de processos em tempo real, e as considerações para transferências de tecnologia e validação.

Também foram discutidos pelos participantes aspectos práticos da PC, como limpeza e troca de equipamentos, estratégias de contenção, e as diferenças entre fabricação contínua e em lote, além de serem considerados os requisitos de qualidade e riscos envolvidos na implementação desses processos. Promovido pela Gerência-Geral de Inspeção e Fiscalização Sanitária (GGFIS) da Anvisa, o treinamento contou com a presença de especialistas em tecnologias avançadas de manufatura, com foco na indústria biofarmacêutica, de modo presencial e também on-line, com inserções ao vivo.

Como abordado ao longo dos dias do evento, esse tipo de capacitação ajuda os profissionais da Agência a assegurar que os processos de fabricação estejam em conformidade com as regulamentações internacionais, além de garantir a manutenção da qualidade e da segurança dos produtos desenvolvidos, promovendo uma abordagem eficiente e alinhada com as melhores práticas do setor.

Anvisa altera prazo de migração do Sistema de Automação de Registro de Cosméticos para a plataforma Solicita

Objetivo da mudança é garantir uma transição mais estruturada e eficiente do sistema de regularização de cosméticos.

A Anvisa publicou, nesta sexta-feira (28/2), a [Resolução da Diretoria Colegiada \(RDC\) 966, de 26 de fevereiro de 2025](#), que alterou o prazo de vigência das RDCs 949/2024 e 951/2024. O novo prazo para a entrada em vigor das normas será 7 de abril de 2025.

A alteração visa garantir uma transição mais estruturada e eficiente na migração do Sistema de Automação de Registro de Cosméticos (SGAS) para a plataforma Solicita/Datavisa, que substituirá o SGAS na regularização de produtos de higiene pessoal, perfumes e cosméticos isentos de registro.

A revisão do prazo é essencial para:

- Orientar o setor regulado com materiais claros e abrangentes sobre o novo sistema.
- Assegurar uma transição segura e organizada, reduzindo riscos operacionais e regulatórios.
- Permitir que as empresas se adaptem aos novos procedimentos sem impactos significativos em suas operações.
- Evitar interrupções no fluxo de notificação e no atendimento regulatório.
- Implementar melhorias operacionais na nova plataforma, como relatórios de Business Intelligence (BI) e painéis de acompanhamento.

A [RDC 949/2024](#) estabelece a classificação dos produtos de higiene pessoal, cosméticos e perfumes entre Grau 1 e Grau 2, bem como os procedimentos para a sua regularização. Já a [RDC 951/2024](#) regulamenta a migração para o Solicita/Datavisa, plataforma que oferece maior estabilidade, segurança e integração com outros sistemas da Anvisa.

A alteração do prazo garante que o sistema de peticionamento esteja plenamente disponível antes que as empresas sejam obrigadas a utilizar os grupos de produtos definidos pela RDC 949/2024, assegurando coerência normativa e segurança jurídica ao setor.

Fonte: [Anvisa](#), em 28.02.2025.