

VOTO Nº 227/2025/SEI/DIRE3/ANVISA

Processo nº 25351.938242/2025-85

Expediente nº 1641892/25-1

IMPORTAÇÃO. EXCEPCIONALIDADE. MEDICAMENTO.
SEPIAPTERINA (PRINCIPIO ATIVO). 250 MG E 1000 MG.
PTC THERAPEUTICS INTERNATIONAL LIMITED, LI
nº 25/3689236-2.

Área responsável: Gerência Geral de Portos, Aeroportos, Fronteiras
e Recintos Alfandegados (GGPAF/DIRE5)

Relator da matéria: Thiago Lopes Cardoso Campus

Relatora deste voto: Daniela Marreco Cerqueira

1. RELATÓRIO

Trata-se de análise do pleito da CASA DOS RAROS - CENTRO DE ATENCAO INTEGRAL E TREINAMENTO EM DOENCAS RARAS, inscrita no CNPJ: 28.616.272/0001-30, recebido em 25/09/2025, para autorização, em caráter excepcional, para importação de 55 (cinquenta e cinco) caixas do medicamento SEPIAPTERINA (princípio ativo), na concentração 250mg e 90 (noventa) caixas do medicamento SEPIAPTERINA (princípio ativo), na concentração 1000mg, pó oral em sachê, cujo fabricante é a empresa ALLPHAMED PHARBIL ARZNEIMITTEL GMBH (NEXTPHARMA), localizada no endereço HILDEBRANDSTRASSE, 12, 37081, GÖTTINGEN - ALEMANHA, relacionada à LI 25/3689236-2 de 24/09/2025.

O requerente, por meio do documento SEI (3846873) destaca a indisponibilidade do medicamento SEPIAPTERINA no mercado brasileiro. A importação do medicamento pela Casa dos Raros se faz necessária para realização do teste de responsividade, conforme esclarecido a seguir. O Teste de Responsividade de 14 dias ao medicamento sepiapterina está previsto na bula aprovada na Europa e é aplicável para pacientes pediátricos e adultos diagnosticados com Fenilcetonúria (PKU) que possuem prescrição médica para este teste, com o objetivo

de avaliar a resposta terapêutica ao tratamento. Ressalta-se que a finalidade dessa importação é única e exclusivamente a realização do teste de responsividade, conforme previsto na bula aprovada pela EMA, motivando o pedido urgente de autorização para a importação do medicamento.

Nesse contexto, a solicitante enquadrou o pleito nos termos da RDC nº 488, de 7 de abril de 2021, apresentando, entre outros, os seguintes documentos:

1. Licença LI 25/3689236-2 (3846875);
2. Documento Bula (3846878);
3. Ofício Carta Excepcionalidade (3846873);
4. Fatura Comercial (3846876);
5. Documento Romaneio (3846877);
6. Documento Registro Medicamento (3846884);
7. Documento Certificado GMP (3846882);
8. Documento Certificado Boas Práticas - ANVISA (3846881).

O Processo foi avaliado pela Quinta Diretoria, relatora do processo, que manifestou-se por meio do Voto nº 193/2025/SEI/DIRE5/ANVISA (SEI 3929298). O Voto foi submetido à apreciação da Diretoria Colegiada da Anvisa, em Circuito Deliberativo nº 1244/2025, momento em que a Diretora Daniela Marreco, responsável pela Terceira Diretoria da Anvisa, solicitou vista dos autos.

Para melhor elucidação do pleito, foram exaradas exigências à requerente com o envio de correspondências eletrônicas (SEI 3967518 e 3975495) e realizada reunião em 10/12/2025 (ATA SEI 3985076).

Ademais, foi feita diligência às áreas técnicas COPEC, GGMed e GGPAF, por meio do Despacho nº 1403 (SEI 3990499).

Este é o relatório, passa-se à análise.

2. ANÁLISE

Trata-se de solicitação de importação de medicamento não regularizado na Anvisa para uso em seres humanos.

No Brasil, as importações de bens e produtos sujeitos

à vigilância sanitária são regulamentadas pela Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) nº 81, de 2008. Essa norma, em seu Capítulo II - Disposições Gerais de Importação, estabelece que somente serão autorizadas as importações de bens e produtos que atendam integralmente às exigências sanitárias previstas na RDC e nos demais regulamentos técnicos aplicáveis. Entre essas exigências, incluem-se — conforme o caso — a obrigatoriedade de registro, notificação, cadastro, autorização de modelo, isenção de registro ou qualquer outra forma de controle definida pela Anvisa (Agência Nacional de Vigilância Sanitária).

Tal determinação está em consonância com o que determina a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, que dispõe sobre a Vigilância Sanitária a que ficam sujeitos os Medicamentos, as Drogas, os Insumos Farmacêuticos e Correlatos, Cosméticos, Saneantes e Outros Produtos, e dá outras Providências. Estabelece no TÍTULO II - Do Registro, Art. 12, que nenhum dos produtos de que trata essa Lei, inclusive os importados, poderá ser industrializado, exposto à venda ou entregue ao consumo antes de registrado no Ministério da Saúde.

Por outro lado, os regulamentos sanitários vigentes permitem a importação de produtos sujeitos à vigilância sanitária sem regularização no Sistema Nacional de Vigilância Sanitária em situações pontuais, de forma excepcional, como os previstos na RDC nº 488/2021.

A Resolução RDC nº 488, de 7 de abril de 2021, que dispõe sobre a importação de produtos sujeitos à vigilância sanitária por unidade de saúde, para seu uso exclusivo, estabelece que, para a importação de produtos sujeitos à vigilância sanitária, deve ser apresentado comprovante da regularização do produto na Anvisa ou, no caso de produto não regularizado, autorização da Diretoria Colegiada ou da Diretoria relatora, conforme o caso, para a importação em caráter excepcional.

Essa norma dispõe sobre a importação de produtos sujeitos à vigilância sanitária por unidade de saúde, para seu uso exclusivo, sendo proibida a alteração de finalidade da importação e a distribuição, doação, revenda ou comércio dos produtos importados. Para os fins desta Resolução, unidade de saúde é o estabelecimento de saúde destinado a prestar assistência à população na prevenção, tratamento e diagnóstico de doenças, na recuperação e reabilitação de pacientes. **O objetivo da norma é possibilitar o acesso a produtos não**

regularizados para o tratamento clínico de pacientes que estão sob os cuidados da unidade de saúde responsável pela importação.

De acordo com o art. 4º da RDC 488/2021, a importação de produtos não regularizados na Anvisa e indisponíveis no mercado nacional, **destinados a uso clínico**, deve ser submetida à apreciação e autorização pela Diretoria Colegiada da Anvisa em caráter de excepcionalidade.

Assim, o referido normativo delimita a finalidade da importação ao uso clínico, relacionado ao tratamento de pacientes sob os cuidados de determinada unidade de saúde.

A importação do medicamento sepiapterina pela Casa dos Raros se faz necessária para realização do teste de responsividade, conforme esclarecido a seguir. O Teste de Responsividade de 14 dias ao medicamento sepiapterina está previsto na bula aprovada na Europa e é aplicável para pacientes pediátricos e adultos diagnosticados com Fenilcetonúria (PKU) que possuem prescrição médica para este teste, com o objetivo de avaliar a resposta terapêutica ao tratamento. Ressalta-se que a finalidade dessa importação é única e exclusivamente a realização do teste de responsividade, conforme previsto na bula aprovada pela EMA, acima referida.

As condicionantes para importação nos termos da RDC 488/2021 se referem à obrigatoriedade de que o produto importado seja para uso exclusivo de uma unidade de saúde vinculada, conforme previsto no seu art. 1º. Importante ressaltar que, independentemente de qual seja o importador, conforme previsto no Anexo IV da RDC nº 488, de 2021, que traz o modelo da carta de unidade de saúde para os casos de solicitação de autorização de importação de produto não regularizado, deve ser informado o nome da unidade de saúde destinatária da importação e o nome da sua instituição vinculada, se houver. O modelo de documento traz a declaração de assunção dos compromissos da unidade de saúde quanto ao art. 6º da RDC nº 488, de 2021, e indica que deve ser assinada pelo responsável legal da unidade de saúde, exclusivamente.

Neste sentido, verifica-se que a requerente apresentou todos os documentos, conforme exigido no artigo 4º, da RDC nº 488, de 2021. Importante destacar que **o requerente declarou que assumirá todas as responsabilidades pelo uso do produto** e que tem ciência que, como o produto objeto da importação não é regularizado na Anvisa, a unidade de saúde fica

responsável por avaliar o benefício-risco da utilização do medicamento em seus pacientes, incluindo o monitoramento de quaisquer eventos adversos ou queixas técnicas e as outras responsabilidades dispostas no art. 6º da RDC nº 488, de 2021.

Ademais, em cumprimento à diligência exarada por esta Diretoria, em sua análise, a Coordenação de Pesquisa Clínica (COPEC) (SEI 3998877) concluiu que:

"Pode-se considerar o Teste de Responsividade como procedimento prévio para o screening de pacientes que se beneficiarão ou não, ou que poderiam ser até prejudicados pela exposição desnecessária ao medicamento, caso o teste não seja realizado. Esses exames foram realizados ao longo dos ensaios clínicos e também consta como recomendação em bula do medicamento registrado. Portanto, não se trata de uma pesquisa ou ensaio clínico, mas de um exame necessário e recomendado para o adequado uso do medicamento. Por isso o teste não se encerra em si mesmo, mas é uma medida de segurança a partir da qual se decide pela continuidade ou não do tratamento, ou do início do tratamento, como foi mencionado pelo solicitante. Isto é, trata-se de medida antecipada para quando o medicamento estiver disponível no Brasil, já se saiba quais pacientes poderão se beneficiar do medicamento.

Há que se considerar que o fornecimento do medicamento pela empresa demonstra que é de interesse da própria empresa obter essa informação do screening para o futuro fornecimento, incorporação no SUS etc.

Por fim, o entendimento desta COPEC é que o medicamento será utilizado em etapa prévia ao tratamento, cujo pleito, a nosso ver, poderia ser enquadrado na RDC nº 488/2021 que, ao contrário do que foi mencionado, trata de importação de produto sem registro no Brasil."

Ainda em cumprimento à diligência, a Gerência Geral de Portos, Aeroportos, Fronteiras e Recintos Alfandegados (GGPAF) emitiu a Nota Técnica nº 139/2025/SEI/PAFME/GCPAF/GGPAF, na qual destaca que:

"Nos documentos apresentados neste processo, não consta informação suficiente para avaliação se o importador Casa dos Raros - Centro de Atenção Integral e Treinamento em Doenças Raras, CNPJ 28.616.272/0001-30, seria uma Instituições Científica, Tecnológica e de Inovação. Ainda, conforme Despacho nº 1403/2025/SEI/DIRE3/ANVISA (3990499), foi informado que

"os pacientes responsivos aguardariam a futura regularização do medicamento no Brasil para iniciarem o tratamento". Portanto, se os testes pretendidos são parte de estudo com fins de regularização junto à Anvisa, ainda que a importadora seja uma Instituição Científica, não caberia importação nos termos da RDC nº 172, de 2017, uma vez que os testes estariam relacionados ao pedido de regularização do produto junto à Anvisa.

Quanto ao enquadramento em outras normativas, no que compete a esta área técnica e com as informações prestadas no Despacho nº 1403/2025/SEI/DIRE3/ANVISA, não conseguimos indicar outra normativa em que tal importação se enquadre regularmente.

Conforme Ofício - Carta (3846873), a solicitação de excepcionalidade da empresa foi feita nos termos da RDC nº 488, de 2021. Ainda, conforme atividades econômicas secundárias cadastradas no CNPJ do importador Casa dos Raros - Centro de Atenção Integral e Treinamento em Doenças Raras, 28.616.272/0001-30, consta a atividade "Atividade médica ambulatorial com recursos para realização de procedimentos cirúrgicos" o que a enquadraria como unidade de saúde, conforme art. 2º da RDC nº 488, de 2021, caso esta possua licença sanitária para tal atividade.

Portanto, a manifestação da GGPAF por meio do Despacho nº 1474/2025/SEI/GGPAF/DIRE5/ANVISA (3847718) se refere à solicitação feita pela empresa, no que compete aos requisitos de importação. Entretanto, considerando que se trata de solicitação de excepcionalidade, cabe a avaliação da Diretoria da Anvisa ou Diretoria relatora avaliar o mérito da solicitação, conforme Capítulo III da RDC nº 488, de 2021".

Outrossim, ressalta-se que a autorização de importação em caráter excepcional, nos termos da Resolução RDC nº 488, de 2021, não isenta o importador de cumprir os requisitos previstos na RDC nº 81, de 2008, e demais normas aplicáveis, os quais serão avaliados no processo de importação pela área técnica de Portos, Aeroportos e Fronteiras.

Ressalta-se, ainda que, caso haja a concessão da autorização para importação em caráter excepcional, o importador deve anexá-la na aba "Documentos Anexados" da LPCO no Portal Único de Comércio Exterior, de modo que a área técnica procederá à análise com vistas à liberação sanitária da importação. Além disso, o processo de importação deve ser instruído com os documentos constantes do Capítulo II da

Resolução RDC nº 488, de 2021, no que couber, e deve ser apresentada formalmente à Anvisa a petição para a fiscalização sanitária para importação no sistema Solicita, fazendo uso do módulo LPCO do Portal Único, conforme instruções dispostas na Cartilha do Peticionamento de Licença de Importação por meio de LPCO de Comércio Exterior, disponível em <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/centraisdeconteudo/publicacoes/portos-aeroportos-e-fronteiras>.

Destaco que, como o medicamento objeto da importação não é regularizado na Anvisa, não é possível atestar a sua qualidade, segurança e eficácia, ficando a instituição importadora responsável por avaliar o benefício-risco da utilização do medicamento em seus pacientes, incluindo o monitoramento de quaisquer eventos adversos ou queixas técnicas.

Em que pese o caso em tela não se tratar de uma importação clássica por excepcionalidade, nos termos da RDC nº 488/2021, essa é a norma que mais se amolda ao presente pleito, conforme demonstrado neste Voto. Assim, considerando que: i) foi apresentada justificativa técnica sobre a importância clínica do medicamento; ii) foi caracterizada a situação de indisponibilidade do produto no mercado nacional; iii) que a requerente declara assumir todas as responsabilidades pelo uso do produto junto à unidade de saúde vinculada; iv) que foram apresentados os documentos preconizados no art. 4º da RDC nº 488/2021; e, vi) na importação em caráter excepcional de produto sem registro, é de responsabilidade do importador garantir a eficácia, segurança e qualidade do produto, inclusive o monitoramento do seu uso; entende-se que os critérios da RDC nº 488, de 2021, foram atendidos.

3. **VOTO**

Ante o exposto, retorno de vista o processo em tela e **VOTO de forma FAVORÁVEL, acompanhando o relator** quanto à autorização, em caráter excepcional, para a importação requerida pela CASA DOS RAROS - CENTRO DE ATENCAO INTEGRAL E TREINAMENTO EM DOENCAS RARAS, devidamente inscrita no CNPJ: 28.616.272/0001-30, recebido em 25/09/2025, para autorização, em caráter excepcional, para importação de 55 caixas do medicamento sepiapterina (princípio ativo), na concentração 250mg e 90 caixas do medicamento SEPIAPTERINA

(princípio ativo), na concentração 1000mg, pó oral em sachê, cujo fabricante é a empresa ALLPHAMED PHARBIL ARZNEIMITTEL GMBH (NEXTPHARMA), localizada no endereço HILDEBRANDSTRAÙE, 12, 37081, GÖTTINGEN - ALEMANHA, relacionada à LI 25/3689236-2 de 24/09/2025, ou outra que vier substituir, nas mesmas condições deste Voto, não se destinando à revenda ou comércio, nos termos da RDC nº 488, de 7 de abril de 2021.

Encaminho o presente voto à Diretoria Colegiada da Anvisa para decisão final, por meio do Circuito Deliberativo.



Documento assinado eletronicamente por **Daniela Marreco Cerqueira, Diretora**, em 23/12/2025, às 19:01, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020

http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **3988179** e o código CRC **3C9CC25A**.

Referência: Processo nº
25351.938242/2025-85

SEI nº 3988179