

VOTO Nº 156/2026/SEI/DIRE2/ANVISA

Processo nº 25351.913670/2026-86

Expediente nº 0504922/26-2

	Analisa solicitação da empresa Bristol-Myers Squibb Farmacêutica LTDA. para a disponibilização, em caráter excepcional, do Comunicado Especial (CE) previamente à aprovação de Dossiê de Desenvolvimento Clínico de Terapia Avançada (DDCTA) do estudo clínico CA061-1011, a ser realizado com o produto investigacional Zolacabtagene Autoleucel (BMS-986353). Posição da Relatora: Favorável
--	--

Área responsável: GGBIO

Relatora: Daniela Marreco Cerqueira

1. Relatório

Trata-se de solicitação da empresa Bristol-Myers Squibb Farmacêutica LTDA, CNPJ nº 56.998.982/0001-07, de autorização, em caráter excepcional, para a **disponibilização do Comunicado Especial (CE)** previamente à aprovação de **Dossiê de Desenvolvimento Clínico de Terapia Avançada (DDCTA)** referente ao estudo clínico CA061-1011, a ser realizado com o produto investigacional Zolacabtagene Autoleucel (BMS-986353).

O estudo clínico CA061-1011 corresponde a estudo de fase 2, aberto e multicêntrico, destinado à avaliação de eficácia e segurança do zolacabtagene autoleucel em participantes com lúpus eritematoso sistêmico (LES) ativo e refratário aos tratamentos convencionais. Segundo informado pela empresa, a inclusão do último participante no estudo global está prevista para março de 2027.

A empresa destaca que a **RDC nº 506/2021** não prevê a emissão antecipada do Comunicado Especial para produtos de terapia avançada, diferentemente do disposto na **RDC nº 945/2024**, que admite a emissão prévia de documento equivalente no âmbito do desenvolvimento clínico de medicamentos experimentais.

De acordo com a empresa, a disponibilização antecipada do CE é necessária para viabilizar a importação de equipamentos, materiais e insumos indispensáveis à transferência de tecnologia do processo de criopreservação do produto investigacional, etapa considerada crítica para a operacionalização do estudo clínico no Brasil.

Esclarece, a requerente, que o BMS-986353 consiste em produto investigacional de terapia avançada autóloga do tipo CAR-T, cujo processo produtivo é iniciado no Brasil por meio da coleta e criopreservação do material de aférese do paciente. Destaca que a

criopreservação em território nacional é imprescindível diante do reduzido tempo de estabilidade do material fresco, inviabilizando sua exportação sem processamento prévio.

Informa, ainda, que a implementação da transferência de tecnologia para o Hospital Israelita Albert Einstein constitui condição necessária para assegurar a qualidade do produto investigacional e a adequada execução do estudo clínico no país. As atividades relacionadas à transferência tecnológica possuem duração estimada de aproximadamente cinco meses, demandando início prévio à conclusão da análise regulatória do DDCTA.

A requerente ressalta que não possui autorização para importação de produtos para saúde no Brasil, razão pela qual a importação dos materiais necessários depende da disponibilização prévia do Comunicado Especial, nos termos da RDC nº 81/2008.

Argumenta, adicionalmente, que o racional regulatório adotado na RDC nº 945/2024 demonstra o reconhecimento, por parte desta Agência, da necessidade de flexibilização regulatória para atividades preparatórias relacionadas ao desenvolvimento clínico, desde que preservadas as medidas de controle sanitário aplicáveis.

A requerente destaca que a presente solicitação não objetiva antecipar o início da condução clínica do estudo nem a inclusão de participantes previamente à aprovação do DDCTA.

Como medida de mitigação regulatória, a empresa compromete-se a apresentar declaração formal assegurando que nenhuma atividade clínica envolvendo participantes será iniciada antes da aprovação regulatória definitiva do DDCTA.

Por fim, sustenta que a excepcionalidade pleiteada é necessária para viabilizar operacionalmente a condução do estudo clínico no Brasil e permitir potencial acesso de pacientes brasileiros com LES refratário à terapia avançada inovadora no contexto de pesquisa clínica controlada.

É o relatório.

2. Análise

O Zolacabtagene autoleucel (BMS-986353), também denominado Zola-cel, consiste em produto investigacional de terapia avançada autóloga do tipo CAR-T (Chimeric Antigen Receptor T-cell), desenvolvido pela Bristol-Myers Squibb (BMS). Trata-se de produto composto por células T autólogas geneticamente modificadas ex vivo para expressão de receptor quimérico direcionado ao antígeno CD19, presente em linfócitos B maduros.

O pedido de excepcionalidade refere-se ao estudo clínico CA061-1011, destinado à investigação do produto em pacientes com LES ativo e refratário.

O LES é uma doença autoimune crônica com envolvimento multissistêmico, caracterizada pela perda da tolerância imunológica e pelo desenvolvimento de autoanticorpos. O LES afeta preferencialmente mulheres em uma proporção de 9:1 em relação aos homens. As apresentações são heterogêneas, podem afetar qualquer sistema orgânico e variam de leves a graves. Novas terapias-alvo têm demonstrado benefícios na redução da necessidade de corticosteroides para pacientes com lúpus ¹.

Para a análise deste pleito, foi considerada a manifestação da Gerência Geral de Produtos Biológicos, Radiofármacos, Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas (GGBIO), por meio do Despacho nº 119/2026/SEI/GSTCO/GGBIO/DIRE2/ANVISA (SEI nº 4227332), no qual a área técnica manifestou-se favoravelmente à concessão excepcional da disponibilização antecipada do Comunicado Especial (CE), exclusivamente para viabilizar a importação dos equipamentos e materiais necessários à implementação da transferência de tecnologia do processo de criopreservação, desde que observadas as seguintes condicionantes:

(i) apresentação de carta formal de compromisso pelo patrocinador, assegurando que nenhuma atividade clínica envolvendo participantes será iniciada previamente ao deferimento do DDCTA;

(ii) limitação da utilização do CE às atividades logísticas e preparatórias estritamente necessárias à implementação da infraestrutura do estudo; e

(iii) observância integral das demais disposições regulatórias aplicáveis.

Em decorrência da manifestação técnica, a Segunda Diretoria solicitou à empresa a apresentação da referida declaração formal de compromisso (SEI nº 4238113).

Em resposta, a Bristol-Myers Squibb encaminhou declaração assinada por seu Representante Legal, Responsável Técnico e Gerente de Pesquisa Clínica, comprometendo-se a não iniciar qualquer atividade clínica envolvendo participantes de pesquisa com o produto zolacabtagene autoleucel antes da aprovação do DDCTA pela Anvisa (SEI nº 4254439) .

A presente análise refere-se ao pleito relacionado à viabilização regulatória de etapas preparatórias para o desenvolvimento clínico de produto de terapia avançada autóloga do tipo CAR-T, considerando as especificidades técnicas e operacionais inerentes à cadeia produtiva do produto investigacional.

Observa-se que a cadeia produtiva do produto demanda a execução, em território nacional, de etapas críticas relacionadas à coleta e criopreservação do material de aférese, as quais impactam diretamente a qualidade, estabilidade e rastreabilidade do material biológico utilizado na fabricação do produto.

Nesse contexto, verifica-se que a implementação prévia da transferência de tecnologia necessária à realização da criopreservação no Brasil mostra-se medida relevante para assegurar a viabilidade operacional do estudo e a manutenção dos parâmetros de qualidade exigidos para produtos de terapia avançada.

Sob o aspecto regulatório, embora a RDC nº 506/2021 não contenha previsão expressa acerca da disponibilização antecipada do CE para produtos de terapia avançada, destaca-se que o ordenamento sanitário já contempla mecanismos voltados à viabilização de atividades preparatórias relacionadas ao desenvolvimento clínico. Nesse sentido, a RDC nº 945/2024 prevê a possibilidade de emissão de documentação destinada à importação prévia de insumos necessários à condução de estudos clínicos com medicamentos experimentais.

Registra-se, ainda, que a discussão sobre a disponibilização antecipada do CE para produtos de terapia avançada encontra-se em avaliação no contexto da revisão da RDC nº 506/2021, evidenciando tratar-se de matéria regulatória relevante e atualmente em discussão no âmbito desta Agência.

Diante do exposto, verifica-se que o pleito encontra fundamento nas especificidades técnicas do produto investigacional, na necessidade operacional de implementação prévia de etapas críticas da cadeia produtiva e na existência de racional regulatório compatível com mecanismos já adotados por esta Agência para atividades preparatórias relacionadas ao desenvolvimento clínico.

Ademais, a medida excepcional mostra-se proporcional, razoável e compatível com os princípios da eficiência administrativa e da proteção sanitária, uma vez que preserva integralmente o controle regulatório sobre o início das atividades clínicas, ao mesmo tempo em que viabiliza etapas preparatórias indispensáveis à adequada condução do estudo clínico.

Dessa forma, entende-se que a excepcionalidade pleiteada apresenta justificativa técnica e regulatória suficiente, desde que observadas as condicionantes destinadas à mitigação dos riscos sanitários e à vedação de qualquer atividade clínica previamente à aprovação do DDCTA.

3. Voto

Diante do exposto, VOTO FAVORAVELMENTE à solicitação de excepcionalidade para a disponibilização do Comunicado Especial (CE) previamente à aprovação de Dossiê de Desenvolvimento Clínico de Terapia Avançada (DDCTA) do estudo clínico CA061-1011, a ser realizado com o produto investigacional Zolacabtagene Autoleucel (BMS-986353) para viabilizar a importação dos equipamentos e materiais necessários à implementação da transferência de tecnologia do processo de criopreservação.

Ademais, a empresa deverá cumprir com as seguintes condições:

(i) aditar à submissão do DDCTA a carta de compromisso, nos moldes do mecanismo já adotado no âmbito da RDC 945/2024, comprometendo-se a não iniciar o estudo clínico com pacientes previamente à aprovação formal do DDCTA;

(ii) limitação da utilização do CE às atividades logísticas e preparatórias, estritamente necessárias à implementação da infraestrutura do estudo;

(iii) observância integral das demais disposições regulatórias aplicáveis.

É este o voto que encaminho para decisão final da Diretoria Colegiada da Anvisa, por meio de Circuito Deliberativo.

1. Bowers W, Blum MA. Systemic Lupus Erythematosus. 2026 Mar 23. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2026 Jan–. PMID: 30571026. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/30571026/>



Documento assinado eletronicamente por **Daniela Marreco Cerqueira, Diretora**, em 26/05/2026, às 13:36, 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 **4265629** e o código CRC **71127749**.

Referência: Processo nº 25351.913670/2026-86

SEI nº 4265629