

VOTO Nº 062/2021/SEI/DIRE1/ANVISA

Processo nº 25351.916396/2021-92

Proposta de edital de Consulta Regional do Guia S12 ICH "NONCLINICAL BIODISTRIBUTION CONSIDERATIONS FOR GENE THERAPY PRODUCTS S12"

Área responsável: GSTCO/DIRE1

Relator: Antonio Barra Torres

1. Relatório e Análise

Cuida-se de proposta de edital de Consulta Regional do Guia S12 do International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use (ICH) denominado de "NONCLINICAL BIODISTRIBUTION CONSIDERATIONS FOR GENE THERAPY PRODUCTS S12". O objetivo desse GUIA ICH é fornecer recomendações harmonizadas para a condução de estudos não clínicos de biodistribuição no desenvolvimento de produtos de terapia gênica que deverão ser adotadas por todos os países membros do ICH. São discutidas considerações para a interpretação e aplicação dos dados para apoio aos planos de estudos não clínico e clínicos, visando facilitar o desenvolvimento de produtos de terapia gênica e evitar o uso desnecessário de animais, de acordo com os princípios dos 3Rs (reduzir/refinar/substituir).

A biodistribuição é a distribuição *in vivo*, persistência e depuração de um produto de terapia gênica no local de administração e em tecidos alvo e não alvo, incluindo biofluidos (por exemplo, sangue, líquido cefalorraquídiano, líquido vítreo), em espécies animais biologicamente relevantes. A compreensão do perfil de biodistribuição de um produto de terapia gênica após a administração *in vivo* é um elemento importante durante os ensaios não clínicos de farmacologia e toxicologia conduzidos para apoiar os ensaios clínicos de fase inicial na população-alvo.

O GUIA aborda estratégias para o desenho de estudos não clínicos, incluindo o animal ou espécie a ser estudada, o tamanho do grupo e o sexo dos animais a serem usados, a via de administração e a seleção do nível de dose e os momentos de coleta de amostra. Também são abordados os métodos de ensaio para quantificar materiais genéticos nos tecidos e biofluidos, imunogenicidade e informações adicionais de biodistribuição não clínicos.

O entendimento da **Gerência de Sangue, Tecidos, Células e Órgãos** (GSTCO) é que 60 (sessenta) dias seja suficiente como período de consulta pública no Brasil, sendo prevista para janeiro de 2022 a finalização das consultas regionais internacionais.

2. Voto

Voto pela aprovação da proposta de edital de Consulta Regional do Guia S12 ICH "NONCLINICAL BIODISTRIBUTION CONSIDERATIONS FOR GENE THERAPY

PRODUCTS S12" com prazo de 60 (sessenta) dias para recebimento de contribuições.



Documento assinado eletronicamente por **Antonio Barra Torres, Diretor-Presidente**, em 01/07/2021, às 17:40, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. § 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 **1506434** e o código CRC **A0B39507**.

Referência: Processo nº 25351.916396/2021-92

SEI nº 1506434