

VOTO Nº 110/2021/SEI/DIRE3/ANVISA

Processo nº 25351.912547/2021-33

Proposta de abertura de processo de regulação, com apresentação de minuta que visa regulamentar o tema nº 11.1 - Acesso expandido a dispositivos médicos, constante da Agenda Regulatória 2021-2023, com dispensa de AIR, por baixo impacto, e submissão da minuta à Consulta Pública por 45 dias.

Área responsável: Gerência-Geral de Tecnologia de Produtos para Saúde - GGTPS
Agenda Regulatória 2021-2023: Tema 11.1 - Acesso expandido a dispositivos médicos

Relatora: Cristiane Rose Jourdan Gomes

1. DO RELATÓRIO E DA ANÁLISE

Trata-se de pedido de abertura de processo de regulação, com apresentação de minuta que visa regulamentar o tema nº 11.1 - Acesso expandido a dispositivos médicos, constante da Agenda Regulatória 2021-2023, cujo objetivo envolve uma adequação de processo regulatório que atualmente ocorre de forma pontual na Anvisa (tratado como excepcionalidade), e que ainda não possui critérios definidos tanto para a concessão quanto para o acompanhamento dos pacientes que participam de programas na modalidade “uso compassivo”. Dessa forma, pretende-se regulamentar o processo de submissão e avaliação, com estabelecimentos de critérios técnicos para acesso a dispositivos médicos e de ritos para o acompanhamento de eventos adversos ocorridos durante a utilização de dispositivos médicos que não possuem o registro sanitário e as evidências completas de segurança e eficácia.

De acordo com a Agência Europeia de Medicamentos (EMA), o uso compassivo é definido como “o uso de um medicamento não autorizado fora de um ensaio clínico em pacientes individuais sob condições estritamente controladas”. Já a Food and Drug Administration (FDA) define o acesso expandido como uma via potencial de acesso, para pacientes com condição séria e debilitante ou com risco de morte, a um dispositivo médico experimental, que não foi aprovado ou liberado por ela, para tratamento fora dos ensaios clínicos. Aquela Agência reconhece, ainda, que há circunstâncias em que um dispositivo experimental é a única opção disponível para pacientes que enfrentam uma condição séria ou com risco de morte.

Embora os Estados Unidos (EUA) e os países da União Europeia (UE) possuam mecanismos associados ao uso de produtos não aprovados, em alguns países, como o Japão, até maio de 2015, não existia mecanismo equivalente; em vez disso, produtos não aprovados eram utilizados sob a discricionariedade do médico, por meio da Lei dos Praticantes Médicos do Japão ou de outros mecanismos, como Advanced Medical Care B.

A utilização desses mecanismos especiais de acesso é historicamente mais difundida para medicamentos, sendo o uso compassivo para dispositivos médicos um cenário mais restrito, uma vez que muitos países sequer possuem regras específicas. É o que ocorre na União Européia, onde apenas os medicamentos possuem mecanismos de uso compassivo e somente são aplicáveis durante, ou após, os ensaios clínicos, porque são necessárias algumas evidências para confirmar a segurança e eficácia.

A FDA possui uma das regulamentações mais elaboradas para aprovação de acesso especial a dispositivos médicos ainda não aprovados, sendo o uso compassivo um caminho para pacientes acessarem dispositivos experimentais, aos quais o médico responsável pelo tratamento acredita oferecer um benefício no diagnóstico, monitoramento ou tratamento de doença ou condição.

O uso compassivo pode ser o caminho de acesso a dispositivos que estão sendo estudados em um ensaio clínico, para pacientes que não atendem aos requisitos para inclusão na investigação clínica. E, também, para dispositivos que não estão sendo estudados em uma investigação clínica, normalmente aprovada para pacientes individuais ou pequenos grupos. Considerando a modalidade denominada "uso compassivo" a FDA adota os seguintes critérios para concessão:

- O paciente apresenta uma doença ou condição grave ou com risco de morte;
- Não há terapia alternativa comparável ou satisfatória para diagnosticar, monitorar ou tratar a doença ou condição; e
- O benefício potencial para o paciente justifica os riscos potenciais do dispositivo experimental.

Ressalta-se que a FDA não pode exigir que uma empresa forneça um dispositivo experimental para uso compassivo, devendo o fabricante primeiro concordar em fornecê-lo, caso um médico licenciado pretenda obtê-lo para um paciente individual. Se o fabricante do dispositivo concordar em fornecê-lo para uso compassivo, há dois processos diferentes a seguir para obter a aprovação do FDA, dependendo se há ou não um ensaio clínico previamente aprovado para o dispositivo.

No Brasil o "acesso expandido de medicamentos" recebe definição distinta do "uso compassivo de medicamentos", conforme se observa da Resolução da Diretoria Colegiada nº 38, de 2013:

VIII- programa de acesso expandido: programa de disponibilização de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa ou não disponível comercialmente no país, que esteja em estudo de fase III em desenvolvimento ou concluído, destinado a um grupo de pacientes portadores de doenças debilitantes graves e/ou que ameacem a vida e sem alternativa terapêutica satisfatória com produtos registrados;

X- programa de uso compassivo: disponibilização de medicamento novo promissor, para uso pessoal de pacientes e não participantes de programa de acesso expandido ou de pesquisa clínica, ainda sem registro na Anvisa, que esteja em processo de desenvolvimento clínico, destinado a pacientes portadores de doenças debilitantes graves e/ou que ameacem a vida e sem alternativa terapêutica satisfatória com produtos registrados no país;

As definições empregadas pela Anvisa seguem harmonização internacional com países que adotam as práticas de acesso expandido e uso compassivo de medicamentos e se encontram atreladas tanto à fase de desenvolvimento dos medicamentos quanto ao status de registro/comercialização desses produtos.

Com relação aos dispositivos médicos, as características de desenvolvimento são distintas e, especificamente no cenário clínico, requerem adaptação para adequar e unificar os conceitos de acesso expandido/uso compassivo, considerando que eles não seguem os ritos de avaliação clínica nas mesmas fases e metodologias empregadas para os medicamentos.

Deste modo, considerando as peculiaridades do processo relativo ao acesso a dispositivos médicos ainda não aprovados, devem ser realizadas considerações específicas e a adoção da expressão “uso compassivo de dispositivos médicos” pode se direcionar a todas as circunstâncias que envolvam a autorização de uso de dispositivos médicos, por parte dos desenvolvedores/fabricantes, para pacientes portadores de doenças debilitantes graves que ameacem a vida, onde não há terapia comercialmente disponível e o benefício potencial para o paciente justifique os riscos potenciais do dispositivo médico sem registro na Anvisa.

Da mesma forma empregada na área de medicamentos, existem critérios e procedimentos a serem adotados na área de dispositivos médicos que permitam a avaliação acerca do racional formulado pelos desenvolvedores para a execução de programas de “uso compassivo de dispositivos médicos”, assim como o estabelecimento de diretrizes para o monitoramento dos eventos adversos ocorridos entre os participantes desses programas. A presente proposta normativa envolve tanto delimitar o escopo de casos que podem se configurar como “uso compassivo”, como estabelecer ritos para o acompanhamento de eventos adversos ocorridos durante a utilização de dispositivos médicos que não possuem o registro sanitário e as evidências completas de segurança e eficácia.

A proposta de norma não possui impacto expressivo em nenhum dos demais temas/projetos da agenda regulatória considerando a natureza excepcional dos eventos que serão regulamentados.

Ademais, a proposta representa o mesmo "custo regulatório" para os usuários, considerando que ela adota os mesmos trâmites e documentação similar ao, já estabelecido, "uso compassivo de medicamentos", sem aumento excessivo de custos para o usuário dos serviços prestados, não provocando, igualmente, aumento expressivo na despesa orçamentária ou financeira dos desenvolvedores que optarem pela criação de programas de "uso compassivo". Ressalta-se que se trata de uma opção voluntária e independente de atuação da Anvisa, não repercutindo de forma substancial em políticas públicas de saúde, econômicas ou sociais, pois regulamenta o acesso de pacientes a produtos em fase de desenvolvimento de maneira extremamente pontual, com um grau de excepcionalidade extrema que atrai a necessidade de dispensa de análise de impacto regulatório, por baixo impacto, nos termos do Decreto nº 10.411, de 2020, que regulamenta a AIR, e da Portaria nº 162, de 2021, que trata da melhoria da qualidade regulatória na Anvisa.

Assim, partido das premissas ora apresentadas e com base no Parecer nº 8/2021/SEI/CPPRO/GGTPS/DIRE3/ANVISA (SEI! 1432558), apresentado pela GGTPS à Terceira Diretoria, vislumbra-se a necessidade de abertura do presente processo de regulação, com dispensa de AIR por baixo impacto e a submissão da minuta proposta à Consulta Pública pelo período 45 de dias, para participação da sociedade.

2. DO VOTO

Diante do exposto, **VOTO FAVORAVELMENTE** à abertura do presente processo de regulação, com dispensa de AIR por baixo impacto e submissão da proposta normativa à Consulta Pública pelo período de 45 dias.

É o voto que submeto à discussão e deliberação desta Diretoria Colegiada.



Documento assinado eletronicamente por **Cristiane Rose Jourdan Gomes, Diretor**, em 26/05/2021, às 13:56, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015
http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2015-2018/2015/Decreto/D8539.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **1459657** e o código CRC **A724EFD3**.

Referência: Processo nº 25351.912547/2021-33

SEI nº 1459657