

NOTA TÉCNICA Nº 1/2026/SEI/COPEC/DIRE2/ANVISA

Processo nº 25351.913840/2026-22

	Estudos Clínicos para fins de registro sanitário e Programas Assistenciais de Uso Compassivo e Acesso Expandido
--	---

1. RELATÓRIO

Esta Nota Técnica tem por objetivo descrever o papel da Anvisa em relação à análise e autorização de processos de anuência de pesquisas clínicas para fins de registro no Brasil e informar o Poder Judiciário acerca do contexto regulatório atual em relação ao produto experimental polilaminina.

2. ANÁLISE

2.1. Do papel da Anvisa na autorização de estudos clínicos

A missão institucional da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) é promover e proteger a saúde da população brasileira, atuando com excelência científica na regulação dos produtos, serviços e ambientes sujeitos à vigilância sanitária, fomentando o acesso, reduzindo riscos e apoiando o desenvolvimento do país em ação integrada com o Sistema Único de Saúde.

Neste contexto, a atuação da Agência é fundamental para garantir que os estudos clínicos envolvendo seres humanos sejam realizados de acordo com as diretrizes de Boas Práticas Clínicas, em observância aos princípios éticos e de acordo com metodologias e critérios técnicos rigorosos que permitam o controle e acompanhamento adequado de todas as etapas do desenvolvimento clínico de medicamentos, vacinas, dispositivos médicos e outros produtos para a saúde.

A Lei nº 14.874/2024, que "dispõe sobre a pesquisa com seres humanos e institui o Sistema Nacional de Ética em Pesquisa com Seres Humanos", regulamentada pelo Decreto nº 12.651/2025, e a Resolução da Diretoria Colegiada da Anvisa – RDC nº 945/2024, que "dispõe sobre as diretrizes e os procedimentos para a realização de ensaios clínicos no país visando a posterior concessão de registro de medicamentos" e outros atos complementares estabelecem as responsabilidades das empresas (Patrocinadoras) e dos investigadores ou pesquisadores, que conduzem estudos clínicos com seres humanos em todo o território nacional.

A Anvisa é signatária e membro gestor do Conselho Internacional de Harmonização de Requisitos Técnicos para Produtos Farmacêuticos de Uso Humano (ICH) junto com outras autoridades regulatórias internacionais como a U.S. Food and Drug Administration (FDA) dos Estados Unidos, European Medicines Agency (EMA) da Europa, Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA) do Japão, Health Canada (HC) do Canadá e outras.

Nesse sentido, a Agência adota padrões internacionais de avaliação de estudos clínicos com base em diretrizes e orientações da Organização Mundial da Saúde (OMS) e dos

Guias do ICH, dentre os quais destacam-se: ICH E6 – Boas Práticas Clínicas; ICH E8 – Considerações Gerais para Ensaio Clínicos; ICH E9 – Princípios Estatísticos para Ensaio Clínicos; ICH E10 – Escolha do Grupo de Controle e questões relacionadas em Ensaio Clínicos (ICH Official web site : ICH).

Qualquer estudo clínico que tenha o objetivo de gerar evidências de segurança e eficácia para suportar o registro de um medicamento precisa, obrigatoriamente, da autorização da Anvisa para ser conduzido no Brasil, além da autorização de um Comitê de Ética em Pesquisa (CEP). Os CEPs são vinculados à Instância Nacional de Ética em Pesquisa (INAEP) do Ministério da Saúde (MS) e são responsáveis pela avaliação dos aspectos éticos do estudo clínico, incluindo, por exemplo, a avaliação do Termo de Consentimento Livre e Esclarecido (TCLE), que é um documento obrigatório a ser preenchido pelo voluntário de pesquisa clínica ou seu representante legal. Os estudos clínicos acadêmicos não têm a finalidade de registro, e portanto, de obter autorização para futura comercialização no País, desse modo, só precisam da autorização da instância Ética (CEP).

Antes de autorizar a realização de um estudo clínico em território nacional, a Anvisa analisa a documentação submetida pelo patrocinador (empresa, instituição de pesquisa ou universidade), de acordo com o regulamento de pesquisa clínica (RDC nº 945/2024). Dentre os documentos avaliados, incluem-se: dados pré-clínicos (segurança e eficácia em estudos laboratoriais e em animais); dados sobre riscos e potenciais benefícios; protocolo do estudo (objetivos, metodologia, critérios de inclusão/exclusão) e informações sobre a qualidade da substância ativa e do produto investigacional.

Além da análise de toda a documentação técnico-científica e regulatória, a Anvisa poderá realizar inspeções presenciais nos centros onde o estudo clínico está sendo conduzido para avaliar a aderência ou cumprimento dos requisitos e princípios de Boas Práticas Clínicas (BPC). A empresa e os profissionais envolvidos têm a obrigação de notificar à Anvisa e tomar as ações devidas de mitigação de riscos, nos casos em que são detectados eventos adversos ou efeitos colaterais durante e após o uso do produto investigacional.

Portanto, a atuação da Anvisa é fundamental para garantir que os estudos clínicos envolvendo seres humanos sejam realizados de acordo com as diretrizes de Boas Práticas Clínicas, em observância aos princípios éticos e de acordo com metodologias e critérios técnicos que permitam o controle e acompanhamento adequado de todas as etapas do desenvolvimento clínico. **O objetivo é proteger os direitos, a segurança e o bem-estar dos participantes de estudos clínicos, além de garantir a credibilidade e integridade dos dados gerados.**

2.2. Do estudo clínico com a polilaminina

No caso do produto investigacional Polilaminina, a documentação exigida no regulamento (RDC nº 945/2024) para dar início ao estudo foi apresentada pela empresa Cristália Produtos Químicos Farmacêuticos Ltda. A laminina é uma proteína produzida por diversos animais, inclusive pelos seres humanos, e está envolvida em diversas atividades biológicas no organismo. No estudo clínico, será utilizada a laminina 100 µg/mL na forma de solução injetável, que deve ser diluída antes do uso em um diluente específico para se obter a Polilaminina ou laminina polimerizada em solução para administração intramedular única, diretamente na área lesionada.

Após a avaliação técnico-regulatória dos documentos apresentados, em 05 de janeiro de 2026, a Anvisa autorizou o início do estudo clínico de fase 1, que é a primeira de três etapas do desenvolvimento clínico e tem o objetivo de avaliar a segurança do uso da Polilaminina em 5 pacientes entre 18 e 70 anos de idade, que sofreram traumatismo raquimedular torácico entre T2 e T10 com a possibilidade de realização do procedimento cirúrgico e aplicação do produto investigacional em até 72 horas, inclusive, da ocorrência do trauma.

O desenvolvimento clínico envolve diferentes etapas ou fases de pesquisa que incluem estudos progressivos para avaliar a segurança e a eficácia de um novo tratamento ou medicamento. O foco inicial do estudo de fase 1 é avaliar o perfil de segurança do medicamento experimental Polilaminina. Nessa fase, espera-se responder a perguntas como “É seguro administrar este produto em humanos? Como o organismo o absorve e o metaboliza?”. A depender dos resultados dessa primeira etapa, o desenvolvimento clínico poderá avançar para a segunda etapa (fase 2). Já na fase 2, espera-se responder a perguntas como “Esse produto funciona? Qual dose deve ser usada? Há sinais de benefício clínico? O perfil de segurança permanece aceitável em pacientes doentes?” Caso os resultados nessa fase permitam, avança-se para a terceira etapa (fase 3). Na fase 3, busca-se responder a questões como “O benefício é comprovado? Ele é clinicamente relevante? O perfil benefício-risco justifica o uso em larga escala?” Essa fase é a última etapa do desenvolvimento clínico, antes do registro do medicamento, em que são incluídos grupos de pacientes, cujo objetivo é confirmar a segurança e eficácia, comparando o novo tratamento com medicamentos já existentes. Essa é a fase crítica e essencial para fornecer dados robustos que possam dar respaldo à aprovação regulatória do registro do medicamento.

Por fim, após a aprovação regulatória do registro do medicamento pela Anvisa, a empresa deve prosseguir com a vigilância ou monitoramento de segurança e eficácia de longo prazo do medicamento na população. É a etapa de farmacovigilância pós-mercado, também chamada de Fase 4.

2.3. Dos programas Assistenciais

Os programas de acesso a medicamentos são vias regulatórias que possibilitam que a indústria farmacêutica disponibilize, por meio de doação e mediante solicitação médica e autorização da Anvisa, medicamentos experimentais aos pacientes portadores de doenças debilitantes graves que ameacem a vida e **sem alternativa terapêutica satisfatória**. No Brasil estão regulamentados dois tipos de programas: Acesso Expandido e Uso Compassivo.

O **programa de Acesso Expandido** é um programa assistencial através do qual a Anvisa poderá autorizar uma empresa farmacêutica a disponibilizar gratuitamente um produto candidato a medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa, a um **grupo** de pacientes portadores de doenças debilitantes graves que ameacem a vida e sem alternativa terapêutica satisfatória. Para ser autorizada a execução do programa, **é exigido que sejam apresentadas evidências sobre segurança e eficácia do produto** sob investigação a ser administrado, **geradas a partir de estudos clínicos na fase 3** de desenvolvimento, concluídos ou em andamento.

O programa de Uso Compassivo (do latim *lcompassivus.a.um*, que refere a quem demonstra compaixão ou piedade) é um programa assistencial através do qual a Anvisa poderá autorizar uma empresa farmacêutica a disponibilizar gratuitamente um produto candidato a medicamento novo promissor, ainda sem registro, e que esteja em processo de desenvolvimento clínico, destinado a **paciente portador de doença debilitante grave e/ou que ameace a vida e sem alternativa terapêutica satisfatória com produtos registrados no país**. Para o uso compassivo, a anuência da Anvisa **é pessoal e intransferível**. **É exigido que o medicamento experimental a ser disponibilizado apresente evidência científica para a indicação solicitada ou esteja em qualquer fase de desenvolvimento clínico, desde que os dados iniciais observados sejam promissores e que se comprove a gravidade da doença e ausência de tratamentos disponíveis**.

Os programas assistenciais de Acesso Expandido e Uso Compassivo não substituem o estudo clínico, razão pela qual é importante que os pacientes sejam incluídos, sempre que possível, no estudo clínico controlado, que permitirá a geração de evidências robustas para se concluir sobre a qualidade, segurança e eficácia do medicamento em desenvolvimento.

É importante ressaltar que os programas assistenciais não devem retardar a realização do estudo clínico e que eventuais dados gerados no âmbito desse programa não constituem evidência regulatória para suportar o registro do medicamento. Somente os dados gerados nos estudos clínicos autorizados pela Anvisa são capazes de comprovar a segurança e eficácia do produto experimental.

A solicitação de inclusão do paciente nos programas de Uso Compassivo ou Acesso Expandido deve ser feita pelo médico responsável à empresa patrocinadora. Caso a empresa aceite doar o produto solicitado, a própria empresa deverá fazer a solicitação à Anvisa, apresentando toda a documentação necessária (RDC nº 38/2013).

Na avaliação da conveniência de se buscar autorização para o uso compassivo de medicamento experimental, cabe ao médico prescritor a responsabilidade central e indelegável na análise criteriosa do risco-benefício, à luz do estado clínico do paciente, da gravidade e evolução da doença, da inexistência ou esgotamento de alternativas terapêuticas satisfatórias e do nível de evidência científica disponível sobre segurança e potencial eficácia do produto. Essa análise deve ser individualizada, prudente e fundamentada, considerando tanto os possíveis benefícios clínicos quanto os riscos conhecidos e desconhecidos inerentes a um medicamento ainda em investigação, bem como, as incertezas associadas ao seu uso fora de protocolos de pesquisa. Além disso, o médico deve assegurar que a decisão esteja alinhada aos princípios éticos da beneficência, não maleficência e autonomia, o que implica informar o paciente — ou seus responsáveis legais — de forma clara, completa e compreensível, documentando adequadamente o processo decisório e o consentimento informado, e mantendo acompanhamento clínico rigoroso durante todo o período de uso compassivo.

A despeito de existir a possibilidade de uso de medicamento ainda em fase experimental pelo programa de Uso Compassivo, há que se considerar que **o produto ainda em fase inicial de desenvolvimento envolve riscos importantes**, principalmente porque não passou por todas as três etapas do desenvolvimento clínico para se comprovar a sua qualidade, segurança e eficácia. Dessa forma, **o uso do medicamento experimental nessa fase pode causar efeitos colaterais graves (eventos adversos), inesperados e imprevisíveis, incluindo óbito**. Afinal, trata-se de um produto ainda com segurança desconhecida e sem garantia de eficácia.

Adicionalmente, o programa de Uso Compassivo, ao contrário do estudo clínico, não segue critérios rígidos de inclusão e exclusão de pacientes e não gera evidências confiáveis capazes de comprovar se o produto é seguro e eficaz. Os ensaios clínicos, por sua vez, seguem protocolos rígidos, são adequadamente controlados, possuem doses previamente definidas, controle de vieses/distorções, acompanhamento e monitoramento dos pacientes, seguindo rigorosamente os princípios de Boas práticas Clínicas (BPC). Por outro lado, no caso do Uso Compassivo, não há controle, os dados podem ser incompletos ou inconsistentes e os eventos adversos ou efeitos colaterais podem não ser adequadamente coletados e registrados, dificultando a análise do perfil de segurança do produto em investigação.

2.4. Do Uso Compassivo com a polilaminina

A Anvisa autorizou o início do estudo clínico de fase 1, que é a primeira de três etapas do desenvolvimento clínico e tem o objetivo de avaliar a segurança do uso da Polilaminina em 5 pacientes entre 18 e 70 anos de idade, que sofreram traumatismo raquimedular torácico entre T2 e T10 com a possibilidade de realização do procedimento cirúrgico e aplicação do produto investigacional em até 72 horas, inclusive, da ocorrência do trauma.

A lesão raquimedular (LRM) é uma condição grave que pode levar o paciente a óbito tanto na fase aguda como anos depois de ter sofrido o trauma. Geralmente, os óbitos decorrem de complicações secundárias, incluindo, mas não se limitando, a complicações neurológicas e sistêmicas, respiratórias, cardiovasculares e infecções, como sepse. A idade do

paciente, o tipo de lesão (cervical alta e completa, por exemplo), a dependência de ventilação mecânica, a presença de múltiplas comorbidades, acesso limitado e reabilitação especializada, serviços ou procedimentos de saúde inadequados, também são fatores que podem aumentar o risco de óbito do paciente acometido por LRM. Nesse cenário, o uso de um medicamento ainda em fase experimental, além da ausência de evidências de seus potenciais benefícios, poderá representar um risco adicional para um paciente com quadro já grave.

O mecanismo de ação da polilaminina ainda não está completamente elucidado, o que limita a previsão de efeitos biológicos indesejados, inclusive reações inflamatórias, respostas imunológicas inesperadas ou interferências negativas no processo de recuperação neurológica.

O produto é administrado por injeção intramedular, um procedimento invasivo, associado por si só a riscos como infecção, sangramento, piora neurológica ou complicações cirúrgicas, especialmente em pacientes em estado clínico grave.

A polilaminina não concluiu sequer a fase 1 dos ensaios clínicos, que é justamente destinada a avaliar segurança em humanos; portanto, eventos adversos previsíveis e imprevisíveis ainda não estão plenamente caracterizados.

Apesar das evidências ainda serem insuficientes para se inferir ou concluir sobre a qualidade, segurança e eficácia do medicamento experimental Polilaminina em trauma raquimedular, há um aumento expressivo no número de pedidos judiciais enviados à empresa e à Anvisa para a inclusão de pacientes no programa de Uso Compassivo.

A autorização para uso compassivo não se confunde com validação sanitária quanto a eficácia e segurança de produtos, constituindo apenas uma via excepcional de acesso a medicamentos em situações graves e sem alternativas terapêuticas adequadas.

3. CONCLUSÃO

Somente os ensaios clínicos controlados, onde os riscos são adequadamente gerenciados, as evidências colhidas sustentam cientificamente a progressão do desenvolvimento clínico, e as exigências éticas e de proteção dos participantes são plenamente atendidas, são adequados para demonstrar a segurança e eficácia de medicamentos. Nesse sentido, a inclusão do paciente no ensaio clínico será sempre a escolha mais adequada para que o paciente possa se beneficiar de um medicamento ainda em fase de desenvolvimento.

A despeito de existir a possibilidade de uso de medicamento ainda em fase experimental pelo programa de Uso Compassivo, há que se considerar que **o produto Polilaminina está ainda em fase inicial de desenvolvimento e seu uso pode envolver riscos desconhecidos**, principalmente porque não passou por todas as etapas de desenvolvimento clínico (fases I, II e III), ou seja, ainda não teve sua qualidade, segurança e eficácia comprovadas com rigor científico necessário ao registro de um medicamento.

É importante ressaltar que, mesmo após terem sido realizados os testes iniciais em laboratório e em animais, um produto que ainda não passou por todas as etapas de investigação clínica, para além da ausência de evidências que comprovem seus eventuais benefícios, ainda pode causar efeitos colaterais graves inesperados e incertos, incluindo óbito.

Considerando que a relação risco-benefício da polilaminina permanece indeterminada, uma vez que não há dados clínicos consolidados sobre qualidade, segurança e eficácia em humanos, sua utilização segue sendo de caráter experimental, em casos de uso compassivo, sob a responsabilidade do médico prescritor e da empresa patrocinadora.

Por mais que se compreenda a angústia vivenciada pelos pacientes e suas famílias, que foram acometidos por lesões severas que comprometem gravemente sua condição física, o direito à saúde não será plenamente concretizado se o Estado deixar de cumprir sua obrigação de assegurar a qualidade da droga e a segurança dos pacientes,

mediante rigoroso crivo científico, que visa proteger a saúde da população.

À vista do exposto, constata-se que a polilaminina não dispõe, até o presente momento, de dados clínicos suficientes que comprovem sua qualidade, segurança e eficácia terapêutica em seres humanos, mantendo-se, portanto, na condição de produto experimental. Nessa perspectiva, sua utilização fora do âmbito de ensaios clínicos regularmente autorizados e eticamente aprovados deve observar rigorosos critérios de excepcionalidade e prudência, não podendo ser equiparada a tratamento consagrado. O uso compassivo, ainda que juridicamente previsto, não afasta a inexistência de evidências científicas robustas nem elide os riscos inerentes a produtos que não completaram as fases obrigatórias do desenvolvimento clínico.

Assim, mostra-se imprescindível que o Poder Judiciário seja adequadamente informado acerca da natureza experimental da polilaminina, dos riscos incertos e potencialmente graves associados à sua administração e da ausência de comprovação de benefício clínico por meio de estudos clínicos para fins de registro sanitário, a fim de subsidiar decisões tecnicamente fundamentadas, compatíveis com o dever constitucional de proteção à saúde, com a ética assistencial e com a preservação da integridade do sistema regulatório sanitário.



Documento assinado eletronicamente por **Claudiosvam Martins Alves de Sousa**, **Coordenador(a) de Pesquisa Clínica em Medicamentos e Produtos Biológicos**, em 15/04/2026, às 09:14, 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.



Documento assinado eletronicamente por **Daniela Marreco Cerqueira**, **Diretora**, em 15/04/2026, às 22:28, 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 **4198602** e o código CRC **74192308**.