

Comités da EMA: Comité para as Terapias Avançadas (Committee for Advanced Therapies (CAT))

Introdução

O Comité para as Terapias Avançadas (Committee for Advanced Therapies (CAT)) da Agência Europeia de Medicamentos (EMA) analisa a qualidade, segurança e eficácia dos medicamentos de terapia avançada (ATMP). Os ATMP são medicamentos para uso humano criados a partir de genes e células ou tecidos e incluem terapias genéticas, medicamentos de terapia com células somáticas, medicamentos de engenharia de tecidos e terapias combinadas. O artigo seguinte contém mais informações sobre os ATMP e discute os conceitos regulamentares e a legislação que orienta as atividades do CAT.

Comité para as Terapias Avançadas (Committee for Advanced Therapies (CAT)) da EMA

Os ATMP podem oferecer potenciais novas oportunidades de tratamento para muitas doenças tais como a doença de Alzheimer, cancro, doenças genéticas como a distrofia muscular, ou queimaduras da pele.

Existem quatro grupos principais de ATMP:

- **Medicamento de terapia genética (MTG)**

Os MTG contêm genes que provocam um efeito terapêutico. Os MTG inserem genes “recombinantes” nas células,

utilizando frequentemente um vírus como vetor (veículo utilizado para transferir material genético para uma célula alvo) para transportar o gene. Um gene recombinante é uma porção de ADN que é criado em laboratório, reunindo ADN de fontes diferentes. Quando o gene entra nas células do doente, as células produzem uma proteína que pode ajudar a abrandar ou a curar várias doenças, incluindo doenças genéticas, cancro ou doenças crónicas.

- **Medicamentos de terapia com células somáticas**

Os medicamentos de terapia com células somáticas contêm células (células assexuadas) ou tecidos que foram manipulados para alterar as suas características biológicas. Podem ser utilizadas para curar, diagnosticar ou prevenir doenças. Um exemplo de terapia com células somáticas é a utilização de células cancerígenas manipuladas de um doente para lutar contra as restantes células cancerígenas no seu organismo.

- **Medicamentos de engenharia de tecidos**

Os medicamentos de engenharia de tecidos contêm células ou tecidos que foram alterados (substancialmente modificados) de modo a poderem ser utilizados para reparar, regenerar ou substituir tecidos. Um exemplo de um medicamento de engenharia de tecidos é a pele artificial utilizada para tratar doentes com queimaduras.

- **ATMP combinados**

Os ATMP combinados contêm um ou mais dispositivos médicos como parte integrante do medicamento.

Estes tratamentos oferecem um grande potencial para os doentes, uma vez que as tecnologias por trás das terapias avançadas podem ter efeitos positivos a longo prazo. Podem oferecer um tratamento eficaz para os doentes e

consequentemente diminuir os custos de gestão de saúde a longo prazo.

Ao mesmo tempo que geram enormes expectativas, as terapias avançadas também estão associadas a:

- **Novos riscos significativos**, tais como
 - Risco de infeção vírica se um vetor viral se reativar
 - Risco de cancro
 - Risco para os profissionais de saúde e os prestadores de cuidados por exposição acidental ao tratamento
- **Problemas éticos**, tais como
 - Desrespeito pelos direitos dos doadores vivos por falta de informação
 - Administração aos doentes de medicamentos com células estaminais não comprovados/inseguros

As terapias avançadas são frequentemente desenvolvidas por pequenas empresas ou unidades de investigação em hospitais. A legislação da UE prevê incentivos para incentivar a investigação e desenvolvimento de terapias avançadas fornecendo reduções nas taxas da EMA relativas ao aconselhamento científico. Estão disponíveis novos procedimentos regulamentares para os desenvolvedores de ATMP (classificação de ATMP e certificação de ATMP).

Conceitos regulamentares e legislação aplicável

Desde 2008, todos os ATMPs são obrigados a utilizar o procedimento centralizado (PC). Isto garante que beneficiam do procedimento único de avaliação e autorização disponível na UE. Isto torna mais fácil às empresas comercializar os seus medicamentos e aos doentes, em diferentes Estados-membros, obter acesso a estes medicamentos.

Os ATMP são medicamentos complexos, que exigem critérios de avaliação que vão além dos utilizados na área farmacêutica tradicional. Por exemplo, para os medicamentos que contenham ou sejam constituídos por organismos geneticamente modificados (OGM), é necessária uma avaliação do risco ambiental de forma a avaliar os riscos para a saúde humana e para o ambiente.

A legislação exige que o conhecimento do CAT abranja todas as áreas relevantes para as terapias avançadas, incluindo:

- dispositivos médicos,
- engenharia de tecidos,
- terapia genética,
- terapia celular
- biotecnologia
- cirurgia,
- farmacovigilância,
- gestão do risco, e
- ética.

O CAT prepara um parecer sobre cada produto. Este parecer é enviado para o CHMP. Com base no parecer do CAT, o CHMP adota uma recomendação sobre a concessão/recusa, variação, suspensão ou revogação de uma autorização de introdução no mercado. A recomendação é enviada para a Comissão Europeia para decisão sobre a autorização de introdução no mercado.

Assim que os medicamentos são autorizados e comercializados, a EMA realiza uma avaliação adicional da sua segurança e eficácia. A EMA também dá apoio científico a empresas para as ajudar a conceber sistemas para monitorizar a segurança destes medicamentos.

As empresas que produzem ATMP devem conseguir rastrear todos os seus medicamentos, desde o local onde são fabricados até aos hospitais ou locais onde são administrados aos doentes. Os hospitais também têm que conseguir rastrear todos os doentes que os recebem. Os sistemas implementados devem permitir a

total rastreabilidade, através de sistemas de codificação anónimas no caso de dadores externos:

- Todo o local do tecido: ligação entre o dador e a doação.
- No local de fabrico: ligação entre a doação e medicamento.
- No hospital ou consultório: ligação entre o medicamento e o doente.

Outros recursos

- European Medicines Agency (2015). *Committee for Advanced Therapies (CAT)*. Retrieved 3 September, 2015 from http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000266.jsp
- Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P. (2012) *Tissue engineering*. Retrieved 4 September, 2015, from <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- World Health Organisation (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. Retrieved 4 September, 2015 from <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

Anexos

A2-5.08.3-v1.1