ISSN:2594-6153

Terapia gênica: avanços e regulamentação do procedimento no Brasil

Glória Emanuele Silva Medeiros, Luciano Pereira de Souza, Renato Braz Mehanna Kamis, Marcelo Lamy

Universidade Santa Cecília (UNISANTA) - Mestrado em Direito da Saúde: Dimensões Individuais e Coletivas, Santos-SP, Brasil

E-mail: gm201085@alunos.unisanta.br

Resumo: Contexto: Este trabalho estuda os avanços e a regulamentação da terapia gênica no Brasil. **Problema:** Este procedimento é incipiente, assim como a pesquisa clínica deste setor desenvolvida no país. **Hipótese:** A premissa adotada é que a terapia gênica tem mostrado avanços na área de estudos clínicos e na parte regulatória. **Objetivo:** Estudar os avanços desta ferramenta terapêutica no Brasil. **Métodos:** Coleta bibliográfica e análise por meio da revisão narrativa. **Resultados:** A terapia gênica é uma ferramenta experimental e que tem mostrado avanço no tratamento de doenças. A regulamentação desta no país é recente, mas revela a preocupação da área quanto ao seu desenvolvimento. **Conclusões:** Esta ferramenta representa uma nova alternativa de tratamento, sendo necessária mais investigação clínica.

Palavras-chave: Terapia Genética; Ensaio Clínico; Agência Nacional de Vigilância Sanitária.

Gene therapy: advances and regulation of the procedure in Brazil

Abstract: Context: This work studies the advancements and regulation of gene therapy in Brazil. **Problem:** This procedure is in its early stages as is the clinic research in this sector being conducted in the country. **Hypothesis:** The premise adopted is that gene therapy has shown progress in the area of clinical studies and regulation. **Objective:** To study the advances of this therapeutic tool in Brazil. **Methods:** Bibliographic data collection and analysis via narrative review. **Results:** Gene therapy is an experimental tool that has shown progress in the treatment of diseases. Its regulation in the country is recent, yet it reflects the field's concern regarding its development. **Conclusions:** This tool represents a new treatment alternative and further research is needed.

Keywords: Genetic Therapy. Clinical Trial. Brazilian Health Surveillance Agency.

Introdução

Este trabalho apresenta o seguinte tema: os avanços e a regulamentação da terapia gênica no Brasil.

Nesse sentido, o procedimento em comento, considerado um produto de terapia avançada – PTA – [1] "[...] envolve a modificação genética de células como forma de tratar doenças" [2], sendo ainda experimental em alguns casos [2].

No cenário brasileiro, é importante destacar que indústria farmacêutica é considerada em transformação, visto que é incipiente no que tange à produção de insumos farmacêuticos [3] e produtos de terapia avançada, dado que a maioria dos insumos e medicamentos é importada de países desenvolvidos ou em desenvolvimento [3] e existe reduzido investimento do setor privado na área em comento no país [4].

Dessa forma, a problemática consiste no fato de que esta modalidade terapêutica se encontra em estágio inicial, visto que a pesquisa clínica desenvolvida neste setor se situa no mesmo nível, em razão da dependência de tecnologia estrangeira [3, 5].

Com base nisso, a hipótese apresentada é que o desenvolvimento da terapia gênica tem mostrado avanços, tanto na área de ensaios clínicos quanto na parte regulatória.

Assim, o objetivo geral proposto será investigar os avanços desta ferramenta terapêutica no Brasil, por meio da utilização do método da documentação indireta, com aplicação das técnicas da pesquisa bibliográfica e documental e cuja análise será realizada mediante revisão narrativa [6].

Objetivos

O presente estudo tem como objetivo geral analisar os avanços da terapia gênica no Brasil, de modo que possui dois objetivos específicos, quais sejam, (i) compreender o procedimento em comento e sua aplicação e (ii) estudar o cenário normativo brasileiro atual em relação a esta.

Material e Métodos

O método a ser utilizado será o da documentação indireta [6]. Por se tratar de uma pesquisa qualitativa, o material será coletado por meio das técnicas da pesquisa bibliográfica e documental e analisado com o emprego da técnica da revisão narrativa [6].

Nesse contexto, a pesquisa documental coletará artigos da área da medicina a fim de estudar o conceito e desenvolvimento da técnica da terapia gênica. Serão buscados artigos nos portais *Scientific Electronic Library Online* (Scielo) e *Cochrane Library*, com emprego dos termos “terapia gênica” e “*gene therapy*”, sendo a análise dos textos restrita aos idiomas português e inglês. Já a pesquisa documental abrangerá a normas incidentes sobre a questão, a saber, a Lei nº 11.105/2005 e a elaborada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

Resultados

A terapia gênica é um procedimento que objetiva substituir um gene defeituoso por um funcional (gene de interesse, transgene ou gene terapêutico) ou silenciar o gene que se expressa em excesso e é o causador da patologia [7], por meio da inserção de um vetor no corpo humano que carrega aquele [2].

Nesse sentido, o vetor é o "[...] veículo ou agente de transmissão que leva informação genética de uma célula ou organismo para outro [...]" [1] e se divide em classes, quais sejam, o vetor plasmídico, o viral e o nanoestruturado [4, 8].

Em relação ao vetor plasmídico ou plasmídeo, sua aplicação enfrenta limitações, visto que as técnicas utilizadas não conseguem inseri-lo, junto com o transgene, "[...] em órgãos de difícil acesso, como o cérebro" [4], de modo que é aplicado apenas em determinadas circunstâncias [4]. Já os vetores nanoestruturados são desenvolvidos a partir de técnicas de nanotecnologia e "[...] podem ser enriquecidos com moléculas que ajudam a especificar em que tipos de células o conteúdo poderá penetrar [...]" [4]. Assim, esta classe de vetor pode ser guiada para o local adequado a fim de inserir o gene de interesse [4].

Por sua vez, o vetor viral é produzido por meio da retirada dos genes causadores da patologia e proliferação e da inserção do gene terapêutico no restante do gene viral, em que é mantido "[...] apenas o necessário para invasão das células sem multiplicação [...]" [4].

No que tange a sua aplicação, a terapia de substituição gênica representa uma alternativa de tratamento para diversas doenças, dentre elas, as doenças neuromusculares monogênicas, responsáveis por afetar os neurônios motores do corpo humano, como a atrofia muscular espinhal, AME [7]; a hemofilia – doença genética que causa sangramento espontâneo ou provocado e descontrolado decorrente de uma deficiência genética nos fatores de coagulação [9]; e as doenças oftalmológicas, para as quais foi aprovado o produto de terapia gênica (PTG) chamado Luxturna® pela Anvisa, que visa a "[...] tratar a distrofia progressiva associada a mutações bialélicas no gene retinoide isomeroidrolase, o RPE65" [8].

Por fim, acerca da regulamentação da terapia gênica no Brasil, aplicam-se a Lei nº 11.105/2005 – Lei de Biossegurança – [10] e a Instrução Normativa (IN) nº 270/2023, elaborada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária [1]. A legislação em tela trata, entre outros assuntos, desde definições até organismos geneticamente modificados (OGM) [10], ao passo que a norma da Anvisa considera esta modalidade terapêutica como produto de terapia

avançada, nos termos de seu artigo 8º, incisos XXXIV e XXXVII [1] e objetiva estabelecer Boas Práticas de Fabricação para estes [1].

Discussão

A terapia gênica, embora experimental, tem mostrado avanços na pesquisa clínica, com o desenvolvimento de protocolos para tratar diversas doenças [2], dentre elas, a atrofia muscular espinhal [7], a hemofilia [9] e as doenças oftalmológicas [8].

Por meio de um vetor, o gene de interesse é inserido na célula-alvo e se divide em três categorias, a saber, o vetor plasmídico, o vetor viral e o vetor nanoestruturado [4, 8], todos utilizados no procedimento em questão, sendo o vetor viral o comumente utilizado [2].

Consoante a Lei nº 11.105/2005, OGM é o "[...] organismo cujo material genético [...] tenha sido modificado por qualquer técnica de engenharia genética [...]" [10]. Nessa seara, incluem-se os vetores virais, em razão de terem seu material genético alterado por meio de tais técnicas, nos termos do artigo 3º, V, do diploma legal supracitado [10]. Logo, é necessária autorização da Comissão Técnica Nacional de Biossegurança, CTNBio, para a pesquisas que os envolvam, e consequentemente, para a terapia gênica, segundo o artigo 10, da mesma norma jurídica [10], inserida no setor de biotecnologia [4].

Outrossim, a IN Anvisa nº 270/2023 considera apenas para fins de produtos de terapia gênica os vetores virais e plasmídicos, considerados componentes ativos daqueles e passíveis de receber o certificado de boas práticas de fabricação, consoante seu artigo 163, § 3º [1], de modo que é omissa em seu texto legal quanto aos vetores nanoestruturados. Estes, como mencionado, são utilizados na ferramenta terapêutica em tela e estão sujeitos, assim como os demais vetores, à autorização da CTNBio, ainda que não tenham regulamentação específica na referida norma jurídica [4].

No que se refere ao desenvolvimento de tratamentos que utilizam a terapia gênica, a pesquisa clínica mostrou-se incipiente para certas doenças [9], ao passo que, para outras, evidências de segurança e eficácia concretas foram reveladas [8].

Diante do exposto, observa-se que a terapia gênica não é um procedimento livre de riscos, dado que pode causar resultados imprevisíveis decorrentes da aplicação do vetor na célula-alvo [9], especialmente o vetor viral [4]. Apesar disso, revela-se como uma nova opção de tratamento para diversas doenças [4, 9].

Considerações Finais

A terapia gênica é um procedimento experimental em alguns casos e que requer a realização de mais estudos clínicos, visto que o desenvolvimento desta ferramenta representa uma nova opção de tratamento para muitas doenças. No Brasil, este setor está em transformação, tendo sido alvo de regulamentação pela Anvisa em 2023, que demonstrou atenção ao assunto ao estabelecer regras procedimentais para sua adoção.

Agradecimentos: Os autores Glória Emanuele Silva Medeiros, Luciano Pereira de Souza, Renato Braz Mehanna Kamis e Marcelo Lamy gostariam de agradecer o apoio dado pela Agência de Fomento Coordenação de Aperfeiçoamento de Pessoal de Nível Superior - Brasil (CAPES) – Código de Financiamento 001 durante o desenvolvimento deste estudo.

Referências

1. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Instrução normativa – IN nº 270, de 13 de dezembro de 2023 [Internet]. [place unknown]: Anvisa, 2023 [cited 2026 Sept 8]. Available from: https://anvisalegis.datalegis.net/action/ActionDatalegis.php?acao=abrirTextoAto&tipo=INM&numeroAto=00000270&seqAto=000&valorAno=2023&orgao=DC/ANVISA/MS&codTipo=&desItem=&desItemFim=&cod_menu=9434&cod_modulo=310&pesquisa=true.
2. Nardi NB, Teixeira LA, Silva EF. Terapia gênica. Ciênc. saúde coletiva [Internet]. 2002 [cited 2026 Sept 7];7(1):109-16. Available from: https://doi.org/10.1590/S1413-81232002000100010.
3. Calixto JB, Siqueira JB Junior. Desenvolvimento de Medicamentos no Brasil: Desafios. Gaz. méd. Bahia [Internet]. 2008 [cited 2026 Sept 1];78Suppl1:98-106. Available from: https://gmbahia.ufba.br/index.php/gmbahia/article/viewFile/269/260.
4. Linden R. Terapia gênica: o que é, o que não é e o que será. Estudos Avançados [Internet]. 2010 [cited 2026 Sept 10];24(70):31-69. Available from: https://www.scielo.br/j/ea/a/nmhVC8mrYSr9v68gRYRsPBS/?format=pdf&lang=pt&ilang=pt_BR.
5. Zago MA. A pesquisa clínica no Brasil. Ciênc. saúde coletiva [Internet]. 2004 [cited 2026 Sept 4];9(2):363-74. Available from: https://doi.org/10.1590/S1413-81232004000200013.
6. Lamy M. Metodologia da pesquisa: técnicas de investigação, argumentação e redação. 2. ed. rev., atual. e ampl.. São Paulo: Matrioska Editora; 2020. 368 p.
7. Mendonça RH, Zanoteli E. Gene therapy in neuromuscular disorders. Arq. Neuro-Psiquiatr [Internet]. 2022 [cited 2026 Sept 07];80Suppl5(1):249-56. Available from: https://doi.org/10.1590/0004-282X-ANP-2022-S135.
8. Palma MM, Salles MV, Sallum JM. Terapia gênica para doenças da retina. Rev. braz. oftalmol [Internet]. 2025 [cited 2026 Sept 7];84Suppl3:ex0002. Available from: https://doi.org/10.37039/1982.8551.2025S3ex0002.

9. Sharma A, Mathew ME, Sriganesh V, Reiss UM. Gene therapy for haemophilia (Review). Cochrane Database of Systematic Reviews [Internet]. 2020 [2026 Sept 7];(4):CD010822. Available from: https://doi.org/10.1002/14651858.CD010822.pub4.
10. Brasil. Lei nº 11.105, de 24 de março de 2005 [Internet]. Regulamenta os incisos II, IV e V do § 1º do art. 225 da Constituição Federal [...]. Brasília, DF: Presidência da República; 2005 [cited 2026 Sept 26]. Available from: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2004-2006/2005/lei/l11105.htm.