Recorde de medicamentos aprovados para doenças raras

Em 2019, foram aprovados 21 medicamentos e 30 ensaios clínicos destinados a doenças raras

Neste 29 de fevereiro, Dia Mundial das Doenças Raras, a Anvisa contabiliza um recorde no número de medicamentos aprovados para doenças raras: foram 21 no ano de 2019, entre sintéticos, biológicos e específicos. Paralelamente, foi anuída a realização de 30 ensaios clínicos.

De acordo com dados do Ministério da Saúde, cerca de 13 milhões de brasileiros têm alguma doença rara, que não tem cura e cujas opções terapêuticas são restritas. Os medicamentos para doença rara são aqueles que tratam, diagnosticam ou atuam na prevenção de condição séria debilitante e que se propõem a alterar, de modo clinicamente significativo, a evolução da doença ou que possibilitem a sua remissão.

O combate às doenças raras, no entanto, não é realizado somente por meio de medicamentos. Outros produtos para a saúde também são importantes, como os chamados produtos de terapias avançadas, que têm potencial para trazer grandes benefícios a pacientes que sofrem com enfermidades complexas e sem alternativas médicas disponíveis. Essa categoria inclui, por exemplo, células geneticamente modificadas para eliminar tumores ou vetores virais que carreiam sequências específicas para tratamento de doenças genéticas.

Com a recente aprovação da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 338/2020 , que trata do registro de produtos de terapia avançada e que se soma à RDC 260/2018 , sobre as regras para a realização de ensaios clínicos com produtos de terapia avançada investigacional, o Brasil definiu as bases regulatórias necessárias para desenvolver e registrar produtos de alta tecnologia baseados em células e genes humanos, tornando-se referência na América Latina. A RDC 338/2020 entra em vigor no dia 1º de junho.

Medicamentos aprovados para o tratamento de doenças raras em 2019

TRANSLARNA (ataluren)

Indicado para o tratamento de distrofinopatia resultante de uma mutação sem sentido

CRESEMBA (sulfato de isavuconazônio)

Indicado para adultos para o tratamento de:

- aspergilose invasiva

- mucormicose

*Foram registradas as formas farmacêuticas pó liofilizado e cápsula dura. Assim sendo, são considerad

NITIKABS (nitisinona)

Indicado para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos (em qualquer grupo etário) com diagnósti

VITRAKVI (larotrectinibe)

Indicado para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com tumores sólidos localmente avançad

*Foram registradas as formas farmacêuticas cápsula dura e solução oral. Assim sendo, são considerad

CARBAGLU (ácido carglúmico)

Indicado para o tratamento da hiperamonemia devido a:

- deficiência da enzima N-acetil-glutamato sintase (NAGS);

- acidemias orgânicas (AO): acidemia isovalérica (IVA), acidemia metilmalônica (MMA) e acidemia prop

ICLUSIG (cloridrato de ponatinibe)

Indicado para o tratamento da leucemia mieloide crônica resistente ao dasatinibe ou nilotinibe, leucemia

EVOBRIG (brigatinibe)

Indicado para o tratamento de pacientes com câncer de pulmão não pequenas células (CPNPC) localm

TEGSEDI (inotersena)

Indicado para o tratamento da polineuropatia de estágio 1 ou 2 em pacientes adultos com amiloidose he

ERFANDEL (erdafitinibe)

Indicado para o tratamento de pacientes adultos com carcinoma urotelial (UC) localmente avançado ou

PIQRAY (alpelisibe)

Indicado para o tratamento de mulheres na pós-menopausa e homens com câncer de mama avançado

GALAFOLD (cloridrato de migalastate)

Indicado para o tratamento de longa duração de adultos e adolescentes a partir de 16 anos, com diagno

NUBEQA (darolutamida)

Indicado para o tratamento de pacientes com câncer de próstata não metastático resistente à castração

DEFITELIO (defibrotida)

Tratamento da doença veno-oclusiva hepática (DVOH) em pacientes adultos e pediátricos a partir de ur

CRYSVITA (burosumabe)

Tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (X-linked hypophosphatemia, XLH) em indivídu

BESPONSA (inotuzumabe ozogamicina)

Monoterapia para o tratamento de adultos com leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B precurso

LIBTAYO (cimiplimabe)

Tratamento de pacientes com carcinoma cutâneo de células escamosas (CSCC) metastático ou pacien

TAKHZYRO (lanadelumabe)

Prevenção de rotina de crises recorrentes de angioedema hereditário em pacientes com 12 anos de ida

ROPOLIVY (polatuzumabe vedotina)

Tratamento de pacientes adultos com linfoma difuso de grandes células B (LDGCB) CD20 positivo, reci

CYSTADANE (betai´na anidra 1 g/g)

Indicado no tratamento adjuvante da homocistinu´ria, envolvendo deficiências ou defeitos nas enzimas

Estudos clínicos para doenças raras autorizados em 2019

MEDICAMENTO EXPERIMENTAL

INDICAÇÕES TERAPÊUTICAS ESTUDADAS

Durvalumabe

Câncer de bexiga músculo-invasivo.

Iduronato-2-sulfatase (hIDS) recombinante humana

Síndrome de Hunter.

Selexipague

Hipertensão pulmonar tromboembólica crônica (HPTEC).

Ponatinibe

Leucemia linfoblástica aguda cromossomo Philadelphia positivo (LLA Ph+) recém-diagnosticada.

*Foram apresentados dois estudos.

APL-2

Anemia hemolítica autoimune de anticorpo quente (WAIHA) e doença da aglutinina fria (CAD).

AMG 510

Tumores sólidos avançados com mutação do KRAS p G12c.

Oxibato de sódio

Sonolência excessiva diurna e cataplexia em participantes com narcolepsia.

Ravulizumabe; APL-2

Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)

*Foram apresentados dois estudos.

Nevanimibe

Hiperplasia adrenal congênita clássica.

Daratumumabe

Mieloma múltiplo refratário recidivado.

*Foram apresentados dois estudos.

Crizanlizumabe

Anemia falciforme com crise vaso-oclusiva.

Tetratiomolibdato de bis-colina

Doença de Wilson.

Arilsulfatase A humana recombinante

Leucodistrofia metacromática infantil tardia.

Vutrisiran

Amiloidose hereditária por transtirretina (amiloidose hATTR).

*Foram apresentados dois estudos.

AGEN2034

Câncer do colo uterino de segunda linha.

Selexipague

Hipertensão pulmonar associada à sarcoidose.

Patisirana

Cardiomiopatia por amiloidose por transtirretina (amiloidose ATTR com cardiomiopatia).

CRN00808.HCl

Acromegalia.

*Foram apresentados dois estudos.

Macitentana

Pacientes com cardiopatia congênita com fisiologia univentricular submetidos ao procedimento de Fonta

Esparsentana

Glomeruloesclerose segmentar e focal (GESF) primária.

*Foram apresentados dois estudos.

APVO101

Hemofilia B.

Crizanlizumabe

Doença falciforme e doença renal crônica devido à nefropatia falciforme.	

BMN 270

Hemofilia A.

RGX-121

Síndrome de Hunter.

Leia também: Doenças raras: 29/2 chama atenção para problema mundial .

Fonte: ANVISA, em 28.02.2020