

Parecer CoBi nº: 007/2023 - Ref. uso compassivo para infusão de células mesenquimais

Parecer ao Comitê de Bioética referente a solicitação da Equipe Oncohematologia e Transplante de Células Tronco Hematopoiéticas do ITACI/ICR – HCFMUSP para uso compassivo para infusão de células mesenquimais de doador não aparentado, disponível na USP Ribeirão Preto para paciente de 4 anos de idade, do sexo masculino, com doença inflamatória intestinal de início precoce, síndrome linfoproliferativa tipo 2 (GENE XIAP). Foi realizado transplante de células troncohematopoiéticas (Alogênico não relacionado), evoluindo para GVHD em trato gastrointestinal e devido múltiplas intercorrências infecciosas a produção medular encontra-se prejudicada. A equipe médica com indicação de ampliar tratamento, solicita uso compassivo para infusão de células mesenquimais de doador não aparentado.

O uso compassivo de medicamentos é uma prática que permite que pacientes tenham acesso a medicamentos que ainda não foram aprovados pelas agências reguladoras de saúde, como a FDA (Administração de Alimentos e Medicamentos dos Estados Unidos) nos Estados Unidos ou a Anvisa (Agência Nacional de Vigilância Sanitária) no Brasil, quando estão enfrentando condições médicas graves ou que ameaçam a vida e não têm outras opções de tratamento disponíveis.

Esse tipo de uso é geralmente considerado quando:

- 1) Um paciente tem uma doença séria para a qual não há tratamento aprovado disponível.
- 2) O paciente esgotou todas as opções de tratamento convencionais disponíveis.
- 3) Há evidências preliminares de que o medicamento experimental pode ser benéfico para o paciente.

O uso compassivo é frequentemente visto como uma medida excepcional e é geralmente realizado com a supervisão e aprovação de um comitê de ética em pesquisa ou autoridade reguladora de saúde. Os pacientes, seus médicos e as empresas farmacêuticas envolvidas devem concordar com os termos e condições do uso compassivo antes que o medicamento experimental seja disponibilizado.

É importante observar que o uso compassivo não garante que o medicamento experimental será eficaz ou seguro, e os riscos e benefícios devem ser cuidadosamente avaliados. Além disso, as informações coletadas durante o uso compassivo podem ser usadas para futuros ensaios clínicos e pesquisas para determinar a eficácia e a segurança do medicamento.

Em muitos países, o uso compassivo é uma opção disponível para pacientes em situações médicas críticas, mas os regulamentos e procedimentos podem variar. Portanto, qualquer paciente ou médico interessado em explorar o uso compassivo de um medicamento experimental deve

entrar em contato com a agência reguladora de saúde de seu país ou com o fabricante do medicamento para obter informações detalhadas sobre como proceder.

No Brasil, o uso compassivo de medicamentos é regulamentado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). A Anvisa estabelece diretrizes e regulamentações específicas para o uso compassivo de medicamentos no Brasil. Aqui estão alguns pontos importantes relacionados ao uso compassivo de medicamentos pela Anvisa:

- 1) **Requisitos Médicos:** O uso compassivo deve ser solicitado por um médico registrado no Conselho Regional de Medicina (CRM) e que esteja tratando o paciente. O médico é responsável por avaliar a situação do paciente e determinar se o uso compassivo é justificado.
- 2) **Documento de Uso Compassivo:** O médico deve apresentar um pedido formal à Anvisa, que inclui informações detalhadas sobre o paciente, a doença, o medicamento experimental e a justificativa para o uso compassivo.
- 3) **Aprovação pela Anvisa:** A Anvisa avaliará o pedido de uso compassivo e, se aprovado, emitirá uma autorização específica para o uso do medicamento em questão. Essa autorização é válida apenas para o paciente individual e por um período específico.
- 4) **Responsabilidade do Médico:** O médico que solicita o uso compassivo é responsável por monitorar de perto o paciente e relatar quaisquer efeitos colaterais ou resultados do tratamento à Anvisa.
- 5) **Informações do Paciente:** O paciente deve ser devidamente informado sobre os riscos e benefícios do uso do medicamento experimental e deve consentir voluntariamente em participar do tratamento.
- 6) **Acesso ao Medicamento:** O acesso ao medicamento experimental é geralmente fornecido pelo fabricante do medicamento, que pode concordar em disponibilizá-lo para o uso compassivo.
- 7) **Avaliação Contínua:** A Anvisa avalia regularmente os resultados do uso compassivo e pode tomar medidas, incluindo a revogação da autorização, se considerar que não há benefícios significativos ou se houver preocupações de segurança.


Vale ressaltar que, o uso compassivo de medicamentos é uma medida excepcional e destinada a pacientes com necessidades médicas urgentes que não podem ser atendidas por tratamentos convencionais. Pacientes e médicos interessados no uso compassivo de um medicamento específico devem seguir os procedimentos e regulamentos estabelecidos pela Anvisa para obter a autorização necessária.


Contextualizando sobre pareceres emitidos recentemente pelo Conselho Federal de Medicina (CFM) e do Comitê de Bioética (COBI) do HCFMUSP sobre o uso compassivo de medicamentos e células mesenquimais, temos:

- 1) Parecer CFM nº 27/2019 e Parecer CFM nº 02/2020 sobre “Terapias regenerativas utilizando tecidos com alto teor de células tronco (tecnologia GID)” ressalta a importância de que “o estado atual de pesquisa e desenvolvimento das terapias celulares recomenda que os médicos devem abster-se de usá-las na prática clínica cotidiana e, quando necessário, que o façam sob as garantias da pesquisa clínica, sempre que possível, com acompanhamento em longo prazo dos participantes” e que “permanece o uso da tecnologia GID como experimental, seguindo os critérios do sistema de comitês de ética em pesquisa da Comissão Nacional de Ética em Pesquisa (CEP/Conep), não podendo os tratamentos serem anunciados, nem comercializados”.
- 2) Parecer CoBi/HCFMUSP nº 01/2020 sobre o uso compassivo de Actinium-225 em Paciente com Câncer de Próstata em que “o uso experimental de medicação ou métodos terapêuticos experimentais necessitam obedecer ao ritual estabelecido em protocolo de pesquisa. Se não há precedente de uso do radiofármaco na literatura, há a necessidade da elaboração de um projeto de pesquisa e referir o projeto ao crivo da Comissão de Ética em Pesquisa do HCFMUSP. Se o radiofármaco já é usado em algumas situações relatadas na literatura, porém ainda sem evidências ou estudo em número suficiente para ser adotado como tratamento consagrado, então se pode referir como situação de uso compassivo” devendo lembrar dos trâmites administrativos em relação a medicamentos doados, consentimento informado do paciente e seu do responsável legal, da importância de terapêuticas baseadas em evidência científica, autonomia do paciente e da equipe de saúde e da expectativas de ambas as partes.

Assim, a boa relação e comunicação entre equipe de saúde, paciente e seu responsável legal, respeitando a autonomia e as instâncias institucionais, assim como a necessidade de pesquisa clínica em relação aos casos de pacientes com indicação de medicamentos de uso compassivo e as boas práticas vigentes previstas nas evidências científicas possibilitam o seu uso.

Esse é o parecer.


Dra. Juliana Bertoldi Franco
Relatora
Comitê de Bioética do HCFMUSP


Dra. Abna F. Sousa Vieira
Revisora
Comitê de Bioética do HCFMUSP