



NOTA DAS ENTIDADES DO SETOR FARMACÊUTICO

Entidades do setor farmacêutico apoiam a atuação técnico-científica da Anvisa na avaliação de programas de acesso a medicamentos experimentais

As entidades do setor farmacêutico abaixo signatárias manifestam apoio institucional à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), à sua Diretoria Colegiada e ao seu corpo técnico, em especial à atuação pautada por evidências científicas e pela proteção dos pacientes na avaliação de programas de acesso a medicamentos experimentais. A Resolução de Diretoria Colegiada – RDC nº 38/2013 regulamenta três programas: Acesso Expandido, Uso Compassivo e Fornecimento de Medicamento Pós-Estudo. Os dois primeiros permitem que a indústria disponibilize gratuitamente, mediante solicitação médica e autorização da Anvisa, medicamentos ainda sem registro a pacientes com doenças graves, debilitantes ou potencialmente fatais, sem alternativa terapêutica satisfatória.

O setor reconhece a urgência enfrentada por pacientes e familiares nessas situações, assim como o valor da pesquisa científica, inclusive a desenvolvida em universidades e instituições públicas. Transformar descobertas promissoras em tratamentos seguros e eficazes depende, justamente, de um desenvolvimento clínico rigoroso. Por isso, a legítima expectativa de acesso deve ser conciliada com uma avaliação criteriosa, individualizada e baseada em evidências dos benefícios e riscos.

Na fase I do desenvolvimento clínico, destinada prioritariamente à avaliação da segurança e tolerabilidade de medicamentos experimentais em seres humanos, os riscos ainda não estão adequadamente caracterizados e a eficácia terapêutica não foi demonstrada. O uso fora de protocolos controlados pode expor pacientes a eventos adversos graves ou imprevisíveis, sobretudo quando envolve procedimentos invasivos. São as fases II e III, com metodologia controlada e grupos maiores de pacientes, que produzem as evidências necessárias para o uso amplo de um medicamento.

A RDC nº 38/2013 admite o uso compassivo inclusive em fases iniciais, mas como via excepcional: cabe à Anvisa analisar cada solicitação, com base em critérios como a gravidade



e o estágio da doença, a ausência de alternativa terapêutica satisfatória no País e a relação benefício-risco. Não se trata de autorização automática. Já o acesso expandido exige ao menos um estudo de fase III em desenvolvimento ou concluído para a indicação pretendida. Em ambos os casos, os programas assistenciais não substituem os ensaios clínicos, e a ampliação indiscriminada do uso de produtos ainda em fase I pode reduzir a proteção dos pacientes e comprometer a geração das evidências necessárias à futura disponibilização do tratamento à população.

Nesse contexto, as entidades apoiam decisões da Anvisa que, com fundamentação técnica, transparência e avaliação individualizada, estabeleçam condições, limites ou restrições ao uso compassivo quando as evidências não sustentarem uma relação benefício-risco aceitável. Tais medidas não se opõem à inovação nem ignoram as necessidades dos pacientes: expressam o exercício legítimo da responsabilidade sanitária. As entidades defendem, igualmente, que essas análises ocorram em prazos compatíveis com a urgência dos pacientes, com critérios claros e previsíveis, e colocam-se à disposição da Agência para contribuir com o aperfeiçoamento da regulamentação.

O debate científico e o escrutínio das decisões regulatórias são legítimos, mas devem respeitar a autonomia técnica da Agência e o trabalho de seus dirigentes e servidores, sem ataques pessoais ou tentativas de desqualificar quem exerce sua missão pública com base em critérios técnico-científicos.

O novo marco legal da pesquisa clínica (Lei nº 14.874/2024) oferece ao Brasil uma oportunidade concreta de ampliar a segurança jurídica, a previsibilidade regulatória e a atração de estudos. Somado à capacidade científica e à diversidade da população brasileira, pode fortalecer a posição do País na pesquisa clínica internacional e acelerar o acesso dos pacientes a novas tecnologias. Esse avanço, ainda em consolidação, fica ameaçado por abordagens que desconsiderem as evidências, fragilizem a confiança nas instituições ou confundam programas assistenciais com ensaios clínicos.



As entidades signatárias reafirmam seu compromisso com a inovação responsável, com o desenvolvimento clínico ético e rigoroso e com o acesso sustentável a terapias de qualidade, segurança e eficácia demonstradas. Defender a ciência, a autonomia técnica da Anvisa e a avaliação criteriosa da relação benefício-risco não significa limitar o acesso: significa criar as condições para que ele ocorra de forma segura, responsável e duradoura. É esse equilíbrio, entre urgência, evidência e proteção, que permitirá transformar avanços científicos em benefícios reais para os pacientes brasileiros e fortalecer o ecossistema de pesquisa clínica.

Assinam esta nota:

ABIFINA – Associação Brasileira das Indústrias de Química Fina, Biotecnologia e suas Especialidades • **ABIQUIFI** – Associação Brasileira da Indústria de Insumos Farmacêuticos • **ACESSA** – Associação Brasileira da Indústria de Produtos para o Autocuidado em Saúde • **ALANAC** – Associação dos Laboratórios Farmacêuticos Nacionais • **GRUPO FARMABRASIL** – Associação das Indústrias Farmacêuticas de Capital Nacional • **INTERFARMA** – Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa • **PRÓGENÉRICOS** – Associação Brasileira das Indústrias de Medicamentos Genéricos e Biossimilares • **SINDIFARGO** – Sindicato das Indústrias Farmacêuticas no Estado de Goiás • **SINDUSFARMA** – Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos.

22/10/2026