



**Agência Nacional de Vigilância Sanitária**

**www.anvisa.gov.br**

**Consulta Pública nº 1.210, de 26 de outubro de 2023**  
**D.O.U de 27/10/2023**

A Diretoria Colegiada da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, no uso das atribuições que lhe confere o art. 15, III e IV, aliado ao art. 7º, III e IV da Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999, e ao art. 187, III, § 1º do Regimento Interno aprovado pela Resolução de Diretoria Colegiada – RDC nº 585, de 10 de dezembro de 2021, resolve submeter à consulta pública, para comentários e sugestões do público em geral, proposta de ato normativo, conforme deliberado em reunião realizada em 25 de outubro de 2023, e eu, Diretor-Presidente, determino a sua publicação.

Art. 1º Fica estabelecido o prazo de 60 (sessenta) dias para envio de comentários e sugestões ao texto da Proposta de Revisão da Resolução de Diretoria Colegiada - RDC nº 38/2015, que aprova o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo, conforme Anexo.

Parágrafo único. O prazo de que trata este artigo terá início 7 (sete) dias após a data de publicação desta Consulta Pública no Diário Oficial da União.

Art. 2º A proposta de ato normativo estará disponível na íntegra no portal da Anvisa na internet e as sugestões deverão ser enviadas eletronicamente por meio do preenchimento de formulário eletrônico específico, disponível no endereço: <https://pesquisa.anvisa.gov.br/index.php/928526?lang=pt-BR>

§1º Com exceção dos dados pessoais informados pelos participantes, todas as contribuições recebidas são consideradas públicas e de livre acesso aos interessados, conforme previsto na Lei nº 12.527, de 18 de novembro de 2011 e estarão disponíveis após o encerramento da consulta pública, em sua página específica, no campo “Documentos Relacionados”.

§2º Ao término do preenchimento e envio do formulário eletrônico será disponibilizado número de identificação do participante (ID) que poderá ser utilizado pelo usuário para localizar a sua própria contribuição, sendo dispensado o envio postal ou protocolo presencial de documentos em meio físico junto à Agência.

§3º Em caso de limitação de acesso do cidadão a recursos informatizados será permitido o envio e recebimento de sugestões por escrito, em meio físico, durante o prazo de consulta, para o seguinte endereço: Agência Nacional de Vigilância Sanitária/COPEC, SIA trecho 5, Área Especial 57, Brasília-DF, CEP 71.205-050.

§4º Excepcionalmente, contribuições internacionais poderão ser encaminhadas em meio físico, para o seguinte endereço: Agência Nacional de Vigilância Sanitária/Assessoria de Assuntos Internacionais – AINTE, SIA trecho 5, Área Especial 57, Brasília-DF, CEP 71.205-050.

Art. 3º Findo o prazo estipulado no art. 1º, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária promoverá a análise das contribuições e, ao final, publicará o resultado da consulta pública no portal da Agência.

Parágrafo único. A Agência poderá, conforme necessidade e razões de conveniência e oportunidade, articular-se com órgãos e entidades envolvidos com o assunto, bem como aqueles que tenham manifestado interesse na matéria, para subsidiar posteriores discussões técnicas e a deliberação final da Diretoria Colegiada.

**ANTONIO BARRA TORRES**

Diretor-Presidente

## ANEXO

### PROPOSTA EM CONSULTA PÚBLICA

Processo nº: 25351.934159/2023-75

Assunto: Proposta de Revisão da Resolução de Diretoria Colegiada - RDC nº 38/2015 que aprova o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo.

Agenda Regulatória 2021-2023: Projeto nº 8.17 - Programas Assistenciais (Revisão da Resolução de Diretoria Colegiada - RDC 38/2013)

Área responsável: COPEC/DIRE2

Diretor Relator: Marcelo Mario Matos Moreira

### AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA

#### MINUTA DE RESOLUÇÃO DE DIRETORIA COLEGIADA - RDC

#### RESOLUÇÃO DE DIRETORIA COLEGIADA - RDC Nº [Nº], DE [DIA] DE [MÊS POR EXTENSO] DE [ANO]

Aprova o regulamento para os programas assistenciais de acesso expandido, uso compassivo, acesso por paciente indicado e fornecimento de medicamento pós-estudo.

A Diretoria Colegiada da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, no uso das atribuições que lhe confere o art. 15, III e IV, aliado ao art. 7º, III e IV da Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999, e ao art. 187, VI, § 1º do Regimento Interno aprovado pela Resolução de Diretoria Colegiada – RDC nº 585, de 10 de dezembro de 2021, resolve adotar a seguinte Resolução, conforme deliberado em reunião realizada em ... de ... de 20..., e eu, Diretor-Presidente, determino a sua publicação.

#### CAPÍTULO I

##### DAS DISPOSIÇÕES INICIAIS

###### Seção I

###### Objetivo e Abrangência

Art. 1º Esta resolução aprova o regulamento para a solicitação, anuência ou notificação de programas assistenciais.

Art. 2º Esta resolução se aplica aos programas assistenciais de Acesso Expandido (AE), Uso Compassivo (UC), Acesso por Paciente Indicado (API) e Fornecimento de Medicamento Pós-estudo (FMPE).

###### Seção II

###### Definições

Art. 3º Para os efeitos desta Resolução, são adotadas as seguintes definições:

I - Comunicado Especial (CE) - documento de caráter autorizador, emitido pela Anvisa, após análise e aprovação do Dossiê de Desenvolvimento Clínico de Medicamento (DDCM), podendo ser utilizado nas solicitações de importação ou exportação de insumos clínicos para um ensaio clínico e para importação de medicamento para o programa assistencial de fornecimento pós-estudo;

II - Comunicado Especial Específico (CEE) para os programas de Acesso Expandido (CEE-AE) ou Uso Compassivo (CEE-UC): documento de caráter autorizador, emitido pela Anvisa, para a solicitação de licenciamento de importação do medicamento para a condução do programa assistencial;

III - Comunicado Especial Específico (CEE) para o programa de Acesso por Paciente Indicado (CEE-API): documento emitido pela Anvisa, para a solicitação de licenciamento de importação do medicamento para a condução do programa assistencial;

IV - Conselho Internacional para Harmonização de Requerimentos Técnicos para Produtos Farmacêuticos de Uso Humano (ICH), sigla em inglês para *International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use* (ICH);

V - Documento para Importação (DI): Documento emitido pela Anvisa, necessário para a solicitação de importação ou exportação de insumos clínicos para um ensaio clínico, nos casos previstos em norma específica, e para importação do medicamento para o programa assistencial de fornecimento pós-estudo;

VI - Doença debilitante grave: aquela que prejudica substancialmente os pacientes acometidos, no desempenho das suas tarefas cotidianas e doença crônica que, se não tratada, progredirá na maioria dos casos, levando a perdas cumulativas de autonomia, sequelas ou à morte;

VII - Licenciamento de importação (LI): requerimento por via eletrônica junto ao SISCOMEX (Sistema Integrado de Comércio Exterior - Módulo Importação), pelo importador ou seu representante legal, para procedimentos de licenciamento não-automático de verificação de atendimento de exigências para importação de mercadorias sob vigilância sanitária, de acordo com as normas de importação determinadas pela área responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos, fronteiras e recintos alfandegados;

VIII - Médico assistente: médico que assiste o paciente e é responsável por prestar atendimento nas ocorrências relacionadas à administração do medicamento e em seus efeitos;

IX - Médico responsável: médico responsável pela condução do programa assistencial de acesso expandido de acordo com o respectivo protocolo, e por prestar atendimento aos participantes nas ocorrências relacionadas à administração do medicamento e em seus efeitos;

X - Organização Representativa do Patrocinador (ORP): empresa regularmente instalada em território nacional, incluindo organizações representativas de pesquisa clínica (ORPC), instituições de ensino e hospitalares, contratada pelo patrocinador, que assume parcialmente ou totalmente, junto à Anvisa, as atribuições do patrocinador;

XI - Patrocinador: pessoa física ou jurídica, pública ou privada, que apoia financeiramente os programas de acesso expandido, acesso para paciente indicado, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo;

XII - Programa de Acesso Expandido (AE): disponibilização gratuita de medicamento novo ou inovador, sem registro na Anvisa ou não disponível comercialmente no país na indicação terapêutica de interesse, e com evidências de estudos clínicos de fase III, em andamento ou concluídos, destinado a um grupo de pacientes acometidos por doença debilitante grave e/ou que ameace a vida, não participantes de programa de uso compassivo ou de acesso por paciente indicado, e sem alternativas terapêuticas satisfatórias disponíveis no país;

XIII - Programa de Acesso por Paciente Indicado (API): disponibilização gratuita de medicamento novo ou inovador, registrado na Anvisa e/ou por autoridade regulatória membro do ICH na indicação terapêutica de interesse, não disponível no país, destinado ao uso individual de paciente acometido por doença debilitante grave e/ou que ameace a vida e sem alternativas terapêuticas satisfatórias disponíveis no Brasil;

XIV- Programa de Fornecimento de Medicamento Pós-estudo (FMPE): disponibilização gratuita de medicamento aos participantes ao final do estudo clínico, por parte do patrocinador, e no intervalo entre o término da participação individual e o final do estudo, de acordo com os critérios definidos nas resoluções e normativas da instância nacional de ética em pesquisa clínica;

XV- Programa de Uso Compassivo (UC): disponibilização gratuita de medicamento novo ou inovador, sem registro na Anvisa ou por qualquer autoridade regulatória membro do ICH na indicação terapêutica de interesse, e com evidências disponíveis de estudos clínicos em qualquer fase de desenvolvimento clínico, em andamento ou concluídos, destinado ao uso individual de pacientes acometidos por doença debilitante grave e/ou que ameace a vida e sem alternativas terapêuticas satisfatórias disponíveis no Brasil.

## **CAPÍTULO II DAS DISPOSIÇÕES GERAIS**

Art. 4º A submissão à Anvisa da solicitação de anuência para os programas de acesso expandido e uso compassivo, e da notificação de programa de acesso para paciente indicado e fornecimento de medicamento pós-estudo, deve ser realizada pelo patrocinador ou ORP.

Art. 5º As solicitações de anuência dos programas assistenciais de acesso expandido e uso compassivo e a notificação do programa de acesso por paciente indicado, serão avaliadas com base nos seguintes critérios:

I – gravidade e estágio da doença;

II - ausência de alternativas terapêuticas satisfatórias no Brasil para as condições clínicas e seus estágios;

III – gravidade da doença e presença de comorbidades;

IV – relação benefício/risco favorável ao uso do medicamento para a indicação terapêutica de interesse;

V – o paciente não é elegível para ensaio clínico em andamento no país que esteja utilizando o medicamento na indicação terapêutica de interesse.

Art. 6º O fornecimento do medicamento aos pacientes pelo patrocinador ou ORP deverá ser garantido enquanto houver benefício ao paciente, a critério médico.

Art. 7º A avaliação do benefício ao paciente em relação ao uso de medicamentos nos programas assistenciais é de responsabilidade do médico assistente e/ou médico responsável e deverá ser baseada nos riscos previstos.

Art. 8º Os programas de acesso expandido e uso compassivo não devem retardar a realização de ensaios clínicos.

Parágrafo único. Sempre que possível, os pacientes candidatos aos programas de acesso expandido e uso compassivo devem ter prioridade para serem incluídos em ensaios clínicos.

Art. 9º O patrocinador ou ORP deverá apresentar as evidências disponíveis, incluindo estudos clínicos, e demonstrar que o balanço benefício-risco é favorável ao uso do medicamento na indicação terapêutica de interesse, nos programas de acesso expandido ou uso compassivo.

### **CAPÍTULO III DOS PROGRAMAS ASSISTENCIAIS**

#### **Seção I**

#### **ACESSO EXPANDIDO**

Art. 10 O programa de acesso expandido é destinado a um grupo de pacientes, conforme definido no inciso XII, Art. 3º desta resolução.

§1º Fica facultado ao patrocinador ou ORP solicitar a importação, de uma só vez, de um quantitativo de medicamento suficiente para o número total planejado de pacientes que se pretende atender, mesmo quando não dispuser dos nomes de todos os pacientes que receberão o medicamento, no momento da submissão da solicitação à Anvisa.

§2º Na hipótese do §1º, todos os pacientes deverão ser incluídos no programa e aguardar a anuência da Anvisa.

Art. 11 O dossiê do programa de acesso expandido deverá ser instruído com os DOCUMENTOS 1, 2, 3, 5, 6, 7 e 8, listados no Anexo I desta resolução.

Parágrafo único: No caso de inclusão de pacientes em um programa autorizado, o dossiê deverá conter a cópia do Comunicado Especial Específico para Acesso Expandido (CEE-AE), e todos os documentos citados no *caput* deste artigo, exceto os DOCUMENTOS 2, 5, 7 e 8.

Art. 12 Após análise técnica e anuência da solicitação, a Anvisa enviará ao patrocinador ou ORP, o Comunicado Especial Específico para o programa de Acesso Expandido (CEE-AE).

#### **Seção II**

#### **USO COMPASSIVO**

Art. 13 O programa de uso compassivo é pessoal e intransferível, conforme definido no inciso XV, Art. 3º, desta resolução.

Parágrafo único. Não se admite a formação de grupos ou inclusão de mais de um paciente na mesma solicitação.

Art. 14 O dossiê do programa de uso compassivo deverá ser instruído com os DOCUMENTOS 1, 2, 3, 4, 5, 6 e 8, descritos no Anexo I desta resolução.

Art. 15 Após análise técnica e anuência da solicitação, a Anvisa enviará ao patrocinador ou ORP, o Comunicado Especial Específico para o programa de Uso Compassivo (CEE-UC).

#### **Seção III**

#### **ACESSO POR PACIENTE INDICADO**

Art. 16 O programa de acesso por paciente indicado é pessoal e intransferível, conforme definido no inciso XIII, Art. 3º, desta resolução.

§1º O programa de acesso por paciente indicado deve ser notificado, não necessitando da anuência da Anvisa;

§2º No programa de acesso por paciente indicado não se admite a formação de grupos ou inclusão de mais de um paciente na mesma notificação.

Art. 17. O dossiê do programa de acesso por paciente indicado deverá ser instruído com os DOCUMENTOS 1, 2, 3, 4, 5, 6 e 10, descritos no Anexo I desta resolução.

Art. 18 Após verificar o atendimento da notificação aos critérios desta resolução, a Anvisa enviará ao patrocinador ou ORP, o Comunicado Especial Específico para o programa de Acesso por Paciente Indicado (CEE-API).

#### **Seção IV**

#### **FORNECIMENTO PÓS-ESTUDO**

Art. 19 O programa de fornecimento gratuito aos participantes ao final do estudo clínico, definido no inciso XIII, Art. 3º, desta resolução, deve atender aos critérios definidos nas resoluções e normativas da instância nacional de ética em pesquisa clínica.

Parágrafo único. Nos casos de interrupção precoce do programa, o patrocinador ou ORP deve anexar a justificativa ao processo correspondente na Anvisa.

Art. 20. O dossiê do programa de fornecimento de medicamento pós-estudo deverá ser instruído com os DOCUMENTOS 1, 2, 3, 6 e 9, listados no Anexo I desta resolução.

Art. 21 Após verificar o atendimento da notificação aos critérios desta resolução, a Anvisa enviará ao patrocinador ou ORP, um ofício informativo para que o patrocinador ou ORP inicie o processo de importação do medicamento, quando aplicável, por meio do Comunicado Especial (CE) ou Documento para Importação (DI) do ensaio clínico correspondente.

#### **CAPÍTULO IV**

#### **DA IMPORTAÇÃO DE MEDICAMENTOS PARA PROGRAMAS ASSISTENCIAIS**

Art. 22 A importação de medicamentos para programas assistenciais deve submeter-se somente à fiscalização pela autoridade sanitária pós-embarque dos medicamentos no exterior, de acordo com a legislação específica.

Parágrafo único. Excetuam-se do disposto no *caput* os medicamentos para programas assistenciais sujeitos ao controle especial que, além da fiscalização no local de desembarque devem ter autorização prévia de embarque pela área técnica responsável na Anvisa.

Art. 23 Após o embarque no exterior dos medicamentos para os programas assistenciais, o patrocinador ou ORP deve apresentar a cópia do Comunicado Especial Específico (CEE) referente ao Programa de Acesso Expandido (CEE-AE) ou do programa de Uso Compassivo (CEE-UC) ou do programa de Acesso por Paciente Indicado (CEE-API), respectivamente, ou Comunicado Especial (CE) ou Documento para Importação (DI), para o programa de Fornecimento de Medicamento pós-estudo (FMPE).

Art. 24 A solicitação de autorização do Licenciamento de Importação (LI) deve ser feita no Formulário específico disponível no portal da Anvisa, podendo ser paralela à submissão do processo de anuência ou notificação dos programas assistenciais.

Parágrafo único: Após a primeira autorização do Licenciamento de Importação (LI), caso haja mudança de lote e/ou quantitativo do medicamento a ser importado, a requerente deverá submeter nova solicitação de autorização de LI (substitutiva) para autorização pré-embarque.

Art. 25 Além da documentação descrita nesta resolução, o patrocinador ou ORP deve cumprir com os regulamentos específicos de importação de mercadorias sob vigilância sanitária, de acordo com as normas de importação determinadas pela área responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos, fronteiras e recintos alfandegados.

#### **CAPÍTULO V**

#### **DO MONITORAMENTO DOS PROGRAMAS ASSISTENCIAIS**

#### **Seção I**

#### **Do Monitoramento de Eventos Adversos**

Art. 26 O patrocinador ou ORP deverá notificar a Anvisa os eventos adversos suspeitos, inesperados e graves, no prazo máximo de 15 (quinze) dias corridos, a partir do conhecimento do fato, excetuando-se os casos envolvendo óbito do paciente em que a notificação deve ocorrer em, no máximo, 7 (sete) dias corridos.

§1º O médico responsável deve notificar ao patrocinador sobre a ocorrência de eventos adversos suspeitos, inesperados e graves em até 24 (vinte e quatro) horas a partir do conhecimento do fato;

§2º A notificação de eventos adversos à Anvisa deverá seguir o mesmo procedimento estabelecido para pesquisa clínica, cujas orientações estão disponíveis no portal da Anvisa.

#### **Seção II**

### **Dos Relatórios de Acompanhamento**

Art. 27 O patrocinador ou ORP deverá encaminhar à Anvisa o relatório final referente aos programas assistenciais de acesso expandido, uso compassivo, acesso por paciente indicado e fornecimento de medicamento pós-estudo, em até 90 (noventa) dias após o encerramento do programa.

§1º No caso do programa de acesso expandido e do fornecimento de medicamento pós-estudo, o relatório deverá ser referente ao programa por inteiro e não individualizado por paciente;

§2º Caso o tratamento dos pacientes incluídos em qualquer um dos programas assistências dessa resolução, seja descontinuado antes do período previsto o patrocinador ou ORP deverá notificar a Agência sobre as razões para descontinuação em até 60 (sessenta) dias após a suspensão do tratamento;

§3º Na hipótese do §2º, a interrupção do tratamento deve ser a critério médico e do paciente, e o patrocinador ou ORP deverá anexar ao processo a justificativa fundamentada pelo médico assistente e/ou médico responsável.

Art. 28 Os dados de segurança coletados durante os programas assistenciais não substituirão os ensaios clínicos para fins de registro do medicamento.

Parágrafo único. Os dados de segurança a que se refere o *caput* deste artigo poderão ser enviados pela empresa como dados adicionais no momento do registro do medicamento, bem como poderão ser solicitados pela Anvisa.

### **CAPÍTULO VI DAS ATRIBUIÇÕES**

Art. 29 São atribuições do patrocinador:

I – o fornecimento do tratamento completo e gratuito dos medicamentos dos programas assistenciais;

II - ser responsável pelos medicamentos a serem utilizados nos programas assistenciais, mantendo-os adequadamente armazenados até sua distribuição;

III - não comercializar os medicamentos dos programas assistenciais;

IV - manter monitoramento e registros dos medicamentos entregues aos médicos solicitantes e dos estoques físicos restantes em sua armazenagem, para possível inspeção da Anvisa;

V - notificar a Anvisa sobre a ocorrência de eventos adversos suspeitos, inesperados e graves.

§1º Na hipótese do inciso I deste artigo, tratando-se de pacientes acometidos por doenças crônicas, o patrocinador deve garantir o acesso gratuito ao medicamento objeto dos programas assistenciais, enquanto houver benefício ao paciente, a critério médico;

§2º O patrocinador deve garantir o fornecimento de medicamento pós-estudo de acordo com os critérios definidos nas resoluções e normativas da instância nacional de ética em pesquisa clínica.

Art. 30 São atribuições do médico responsável:

I - efetuar solicitação formal do medicamento ao patrocinador, para cada paciente a ser tratado, justificando o uso através de laudo médico, caso tenha interesse em ter pacientes nos programas assistenciais;

II - armazenar adequadamente os medicamentos de acordo com as instruções do patrocinador e/ou fabricante;

III - notificar o patrocinador sobre a ocorrência de eventos adversos suspeitos, inesperados e graves;

IV - fornecer ao patrocinador ou ORP a documentação necessária para o monitoramento dos programas assistenciais;

V - assumir a responsabilidade pela assistência médica em caso de complicações e/ou danos decorrentes dos riscos previstos e não previstos no programa de acesso expandido.

Parágrafo único. Nos casos do programa de uso compassivo e acesso por paciente indicado, o médico assistente é quem assume as atribuições previstas neste artigo.

### **CAPÍTULO VII DAS MODIFICAÇÕES**

31. É de responsabilidade do patrocinador ou ORP avaliar o impacto das modificações de programas assistenciais, classificando-as como substanciais ou não substanciais, sob o ponto de vista de risco sanitário e à segurança dos pacientes.

§1º As modificações substanciais devem ser peticionadas com as respectivas justificativas e com a documentação comprobatória sobre testes e/ou estudos realizados e respectivas conclusões, quando aplicáveis, e aguardar a manifestação da agência para sua implementação;

§2º As modificações não substanciais devem ser anexadas ao Relatório final do programa assistencial, com as respectivas justificativas e com a documentação comprobatória sobre testes e/ou estudos realizados e respectivas conclusões, quando aplicáveis;

§3º Nos casos em que as modificações tiverem o propósito de salvaguardar a segurança dos pacientes, o patrocinador ou ORP poderá implementá-las imediatamente e notificar à Anvisa posteriormente, no menor tempo possível;

§4º A Anvisa disponibilizará orientações complementares por meio de manuais ou outros instrumentos sobre o enquadramento das modificações como substanciais ou não substanciais.

## **CAPÍTULO VIII DAS DISPOSIÇÕES FINAIS**

Art. 32 Esta resolução não estabelece obrigatoriedade para os patrocinadores ou ORP aceitarem participar dos programas assistenciais.

§1º No caso do programa de fornecimento de medicamento pós-estudo, esta resolução é complementar às normativas e resoluções da instância nacional de ética em pesquisa clínica;

§2º Recomenda-se que os patrocinadores ou ORPs tornem públicas as informações de contato e de adesão aos programas assistenciais.

Art. 33 Os critérios e procedimentos descritos nesta resolução para a solicitação, anuência ou notificação de programas assistenciais poderão ser readequados pela Anvisa, nas situações de enfrentamento de emergências em saúde pública.

Art. 34 A Anvisa poderá, durante os programas assistenciais, solicitar informações adicionais aos responsáveis pela sua execução ou monitoramento, bem como realizar inspeções a fim de verificar o atendimento aos termos de autorização do programa, quando aplicável.

Art. 35 Os modelos de Formulários a serem preenchidos para instrução dos processos de programas assistenciais e outras orientações complementares sobre esta resolução estão disponíveis no portal da Anvisa.

Art. 36 O descumprimento das disposições contidas nesta Resolução constitui infração sanitária, nos termos da Lei nº 6.437, de 20 de agosto de 1977, sem prejuízo das responsabilidades civil, administrativa e penal cabíveis.

Art. 37 Ficam revogadas a Resolução - RDC nº 38, de 13 de agosto de 2013 e a Resolução - RDC nº 311, de 10 de outubro de 2019.

Art. 38 Esta Resolução entra em vigor na data de sua publicação.

### **ANEXO I**

#### **DOCUMENTOS DE INSTRUÇÃO DOS DOSSIÊS DOS PROGRAMAS ASSISTENCIAIS**

*Documento 1:* Formulário de Petição do programa assistencial correspondente, devidamente preenchido e assinado pelo representante legal do patrocinador;

*Documento 2:* Formulário de Declaração de Responsabilidade e Compromisso do Patrocinador assinado pelo representante legal do Patrocinador;

*Documento 3:* Formulário de Declaração de Responsabilidade e Compromisso do Médico assinado pelo Médico Responsável;

*Documento 4:* Formulário de Apresentação do Paciente devidamente preenchido e assinado pelo médico responsável, com adequada justificativa clínica incluindo a descrição da gravidade do quadro clínico do paciente, os tratamentos anteriores e a razão da não adequação para uso dos medicamentos aprovados;

*Documento 5:* Cópia do termo de informação e adesão do paciente, assinado pelo paciente que irá usufruir do programa assistencial ou pelo seu representante legal;

*Documento 6:* Estimativa do quantitativo de medicamento que será necessário importar, considerando o número de pacientes previstos e a posologia diária;

*Documento 7:* Protocolo do programa assistencial contendo a descrição das normas a serem seguidas pelos profissionais de saúde no uso do medicamento, incluindo: título; nome genérico se for o caso; via de administração, apresentação e concentração do medicamento; critérios de inclusão e exclusão de pacientes; esquema posológico; duração do tratamento e conduta em eventos adversos;

*Documento 8:* Dados de segurança e eficácia suficientes para suportar o uso proposto do produto, podendo ser Brochura do Investigador (dados compilados do produto), bula (quando aplicável) e cópia dos artigos de referência a partir dos quais os dados foram obtidos. O nível de evidência de tais referências pode variar desde estudos randomizados controlados, ensaios não-randomizados, relatos de caso até a opinião consensual. O nível das provas exigidas dos artigos de referência dependerá da gravidade da doença;

*Documento 9:* Comunicado Especial que autorizou a realização da pesquisa clínica em território nacional;

*Documento 10:* Comprovante de registro do medicamento e cópia da bula atualizada do medicamento.

**DIRETOR-PRESIDENTE**