



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 622/2025/ASPAR/MS

Brasília, 14 de maio de 2025.

A Sua Excelência o Senhor

Deputado Federal Carlos Veras

Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados

Referência: Requerimento de Informação nº 845/2025

Assunto: *Informações sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.*

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício nº 84/2025, proveniente da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados, referente a o **Requerimento de Informação nº 845/2025**, de autoria da **Deputada Federal Rogéria Santos (REPUBLICANOS/BA)**, por meio do qual são requisitadas informações *sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia*, sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas áreas técnicas da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo Econômico-Industrial da Saúde, por meio da Nota Informativa nº 10/2025-DECIT/SECTICS/MS e da Nota Técnica nº 189/2025-CGQBIO/DECEIIS/SECTICS/MS (0047657833), validadas pelo Secretário através de Despacho (0047657706).
2. Desse modo, no âmbito do Ministério da Saúde, essas foram as informações exaradas pelo corpo técnico sobre o assunto.
3. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,

ADRIANO MASSUDA

Ministro de Estado da Saúde Substituto



Documento assinado eletronicamente por **Adriano Massuda, Ministro de Estado da Saúde substituto(a)**, em 14/05/2025, às 18:06, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0047768717** e o código CRC **AFDD2A71**.

Referência: Processo nº 25000.040874/2025-97

SEI nº 0047768717

Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos - ASPAR
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da
Saúde
Gabinete
Coordenação de Gestão Técnica e Administrativa

DESPACHO

SECTICS/COGAD/SECTICS/GAB/SECTICS/MS

Brasília, 08 de maio de 2025.

URGENTE

Referência Sei:

0047376250, 0047645976, 0047653318, 0047654912 e 0047657833.

Proveniência: Deputada Federal Rogéria Santos.

Assunto: Requerimento de Informação nº 845/2025, o qual requer que sejam solicitadas informações ao Ministério da Saúde, sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

Ciente e de acordo com o teor das manifestações técnicas compiladas no âmbito desta Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (0047657833), as quais respondem ao Requerimento de Informação nº 845/2025, o qual requer que sejam solicitadas informações ao Ministério da Saúde, sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

Restituam-se os autos à Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos (ASPAR), para análise e providências pertinentes.

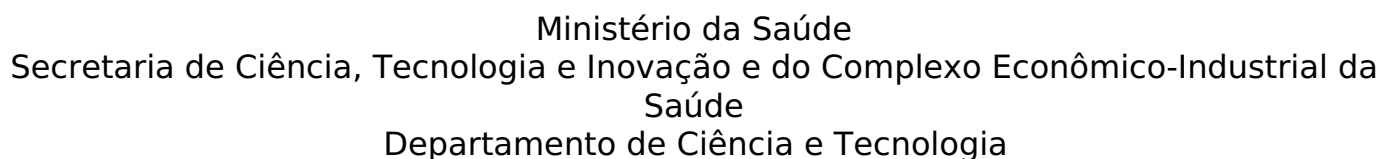
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da
Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Fernanda De Negri, Secretário(a) de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde**, em 14/05/2025, às 09:28, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0047657706** e o código CRC **5341F863**.



Interessada: Deputada Federal Rogéria Santos (REPUBLICANOS/BA)

IX - propor acordos e convênios com os Estados, com o Distrito Federal e com os Municípios para a execução descentralizada de programas e projetos especiais no âmbito do SUS;

X - acompanhar, promover e subsidiar as ações do Programa Nacional de Genômica e Saúde de Precisão - Genomas Brasil;

XI - acompanhar, promover e subsidiar as ações da Rede Brasileira de Pesquisa Clínica; e

XII - contribuir com a formulação e a implementação de programas e ações na área de bioética.

Ademais, informa-se que o Decit/SECTICS/MS é, atualmente, o principal agente de fomento à pesquisa em saúde no País, com recurso próprio. A ação se dá por meio de contratações diretas e chamadas públicas, tanto no âmbito federal quanto estadual, contando com parcerias firmadas com o Conselho Nacional de Desenvolvimento Científico e Tecnológico (CNPq) e com as Fundações de Apoio à Pesquisa (FAPs) locais. Ainda, existem outras formas de fomento e incentivo à pesquisa e inovação em saúde, como as cooperações internacionais e os programas de renúncia fiscal e de imunidade tributária, que contribuem significativamente para o desenvolvimento científico do Brasil.

Argumenta a parlamentar que:

“Considerando a relevância do tema para a saúde pública e a possibilidade de incorporação dessa tecnologia no Sistema Único de Saúde (SUS), é fundamental que esta Casa Legislativa tenha acesso a informações detalhadas sobre os avanços científicos, investimentos, parcerias e estudos clínicos relacionados à aplicação da terapia genética no Brasil.”

Nesse contexto, apresentam-se a seguir respostas aos questionamentos realizados pela parlamentar:

1) Estado atual da pesquisa e desenvolvimento da terapia genética baseadas em CRISPR para tratamento de doença falciforme e beta talassemia.

O Programa Nacional de Genômica e Saúde Pública de Precisão - Genomas Brasil (BRASIL, 2025), coordenado pelo Decit/SECTICS/MS, foi instituído em 2020 com a missão de fomentar o avanço nacional nos campos da genômica e da saúde de precisão no Brasil. No âmbito do Programa, foi fomentado um projeto envolvendo terapia celular para doença falciforme (DF), desenvolvido no Hospital das Clínicas da Faculdade de Ribeirão Preto, no valor de R\$ 1.102.834,00. O estudo é intitulado “Avaliação de hematopoiese clonal em pacientes submetidos ao transplante de células progenitoras hematopoéticas alogênico para tratamento da doença falciforme” e tem como objetivo estudar a segurança e a eficácia dos tratamentos com terapia celular para a DF, por meio da avaliação da presença da hematopoiese clonal no período pré-transplante de células progenitoras hematopoéticas (TCPH) e do desenvolvimento de hematopoiese clonal no TCPH alogênico a curto e a longo prazo. A pesquisa voltada para DF foi aprovada na Chamada Pública de Saúde de Precisão Nº16/2023, realizada em parceria com o CNPq. No entanto, o escopo da pesquisa não envolve o uso de CRISPR/CAS. Em relação à Beta Talassemia (β -talassemia), não há projetos atualmente em desenvolvimento fomentados pelo Programa Genomas Brasil.

Cabe mencionar que a DF é a hemoglobinopatia mais prevalente no mundo e, apesar do progresso no seu manejo, possui alto risco de morbidade e mortalidade. Além das complicações relacionadas à doença, estima-se que os pacientes tenham um aumento de 3-10 vezes no risco de desenvolvimento de neoplasias hematológicas. O TCPH alogênico e a terapia gênica são tratamentos mais amplamente conhecidos e potencialmente mais seguros para o tratamento da

doença.

A Food and Drug Administration (FDA) dos Estados Unidos, em 2023, aprovou os primeiros medicamentos baseados em edição gênica com uso de CRISPR/Cas9, denominados CASGEVY e LYFGENIA, este último baseado em vetor lentiviral. Apesar da terapia utilizando a CRISPR/Cas9, o complexo enzimático pode ser direcionado para editar o DNA em áreas específicas, permitindo remover, adicionar ou substituir de forma precisa o fragmento de DNA que necessita de ajuste. As células-tronco sanguíneas modificadas são transplantadas de volta para o paciente, se fixando na medula óssea e se multiplicando, o que aumenta a produção de hemoglobina fetal (HbF), um tipo de hemoglobina que promove o fornecimento de oxigênio. Em pacientes com anemia falciforme, níveis elevados de HbF previnem a formação dos glóbulos vermelhos falciformes. Embora seja uma alternativa inovadora para o tratamento de pacientes com DF, essa terapia ainda não está disponível no Brasil.

Segundo a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), os Produtos de Terapias Avançadas (PTA) fazem parte de uma categoria especial de medicamentos complexos que estão sujeitos a passos rigorosos de monitoramento após sua aprovação para uso (registro sanitário). No intuito de ampliar o acesso da população a esses tratamentos inovadores, especialmente àqueles destinados às doenças raras ou a necessidades clínicas não atendidas, a Agência propõe um modelo de registro sanitário condicional baseado em modelos de aprovação de outras autoridades regulatórias internacionais, tal qual a European Medicines Agency (EMA - Europa).

O registro condicional exige a assinatura de um Termo de Compromisso (TC) entre a Anvisa e a empresa/instituição responsável pelo medicamento no Brasil, estabelecendo prazos definidos para a apresentação de dados complementares. Durante o período de monitoramento pós-registro, o detentor do medicamento deve apresentar informações atualizadas sobre a efetividade e a segurança do produto. Caso os novos dados revelem que os riscos superam os benefícios, o registro poderá ser suspenso ou cancelado. No site da Anvisa, constam 7 tratamentos aprovados com PTA; nenhum deles é voltado para a DF ou β -talassemia.

Cabe à Coordenação de Gestão de Programas de Pesquisa da Coordenação-Geral de Fomento à Pesquisa em Saúde (Copp/CGFPS/Demit/SECTICS/MS), a gestão de programas de pesquisa fomentados por meio de recursos de imunidade tributária e de renúncia fiscal, tais como o Programa de Apoio ao Desenvolvimento Institucional do Sistema Único de Saúde (Proadi- SUS), o Programa Nacional de Apoio à Atenção Oncológica (Pronon) e o Programa Nacional de Apoio à Atenção da Saúde da Pessoa com Deficiência (Pronas/PCD).

No âmbito da Copp/CGFPS/Demit/SECTICS/MS, desde 2018, um total de R\$ 57.000.000,00 foi investido, por meio do Proadi-SUS, em um projeto de pesquisa desenvolvido na temática de terapia gênica para pacientes com doença falciforme. O estudo tem como objetivo desenvolver tratamento curativo para anemia falciforme, por meio de transplante autólogo de células-tronco hematopoiéticas corrigidas por terapia gênica.

Contudo, com base em recentes achados científicos, desde 2024, a equipe da pesquisa optou por não mais utilizar o sistema CRISPR para realizar a edição gênica. A justificativa tem como base dados recentes que mostram que a tecnologia CRISPR/Cas9 tem caído em desuso em virtude da clivagem do DNA pela Cas9 gerar uma série de danos às células-tronco hematopoiéticas, tais como:

- a) ativação de vias de percepção de dano de DNA (algumas delas

mediadas por p53), que levam à morte da célula;

b) senescência (envelhecimento) ou perda de potencial das células-tronco;

c) indução de off-targets com DSBs (quebras de fita dupla, do inglês Double-Strand Breaks);

d) largas deleções on-target;

e) inversões cromossômicas (processo em que parte do cromossomo separa-se e reorganiza-se de forma invertida); e

f) cromotripsia (definida como padrões complexos de alterações alternadas no número de cópias de genes ao longo de um cromossomo ou segmento cromossômico e que contribui para o desenvolvimento do câncer ao perturbar o equilíbrio entre oncogenes e genes supressores de tumor).

Diante disso, têm-se optado pelo uso de técnicas de edição gênica mais modernas, tais como Edição de Base (Base Editing), Prime Editing ou PASTE (do inglês Programmable Addition via Site-specific Targeting Elements), que não geram DSBs (quebras de fita dupla do DNA) e que têm se mostrado significativamente mais seguras do que o sistema CRISPR/Cas9.

Dessa forma, desde 2024, já com a utilização de uma nova ferramenta de edição gênica (Editores de Base), a equipe do referido projeto prosseguiu com o estudo, mantendo o objetivo de desenvolver tratamento curativo para anemia falciforme para, futuramente, transferir esse protocolo curativo para o SUS.

2) Quantidade de pacientes participantes de estudos clínicos relacionados à terapia genética mencionada acima.

Com relação ao estudo “Avaliação de hematopoiese clonal em pacientes submetidos ao transplante de células progenitoras hematopoéticas alogênico para tratamento da doença falciforme”, o número amostral previsto é de 60 pacientes, de todas as idades, submetidos ao TCPH alogênico para tratamento de DF nas Unidades de Transplante de Medula Óssea dos dois centros participantes (HC FMRP USP e Pequeno Príncipe de Curitiba), entre 2003 e 2024.

Quanto à pesquisa fomentada por meio de recursos do Proadi-SUS, informa-se que ela está na etapa não-clínica, ou seja, estão sendo executados estudos *in vitro* e *in vivo* (modelo animal) com o intuito de avaliar a segurança da edição do gene da β -globina (HBB), por meio do uso do sistema de editores de base. A expectativa é que com esses ensaios sejam desenvolvidas bases científicas sólidas que permitam transicionar o estudo para a fase clínica.

3) Perspectivas de implementação e disponibilidade da terapia genética para tratamento dessas condições no Sistema Único de Saúde.

O Programa Nacional de Genômica e Saúde Pública de Precisão – Genomas Brasil é uma iniciativa de ciência, tecnologia e inovação que foi concebida na perspectiva estruturar as bases para o desenvolvimento da saúde pública de precisão no País, de modo a contribuir para sua implementação no SUS. No âmbito de suas atividades, o Decit/SECTICS/MS promove e subsidia as ações atinentes ao Programa Genomas Brasil, que foi instituído pela Portaria GM/MS nº 1.949, de 4 de agosto de 2020, e alterado pela Portaria GM/MS nº 6.581, de 29 de janeiro de 2025. Os objetivos do Programa Genomas Brasil são:

- I - incentivar o desenvolvimento científico e tecnológico nacional nas áreas de genômica e saúde pública de precisão;
- II - promover o desenvolvimento da indústria nacional de genômica e saúde pública de precisão;
- III - estabelecer prova de conceito para uma linha de cuidado em genômica e saúde pública de precisão no âmbito do SUS;
- IV - difundir informações acessíveis à população quanto à genômica, à saúde pública de precisão e às ações desenvolvidas pelo Programa;
- V - fomentar pesquisas voltadas para o desenvolvimento de tecnologias aplicáveis ao SUS e que considerem a diversidade étnica e cultural da população brasileira;
- VI - promover o fortalecimento da produção e da inovação em genômica e saúde pública de precisão, em alinhamento à Estratégia Nacional para o Desenvolvimento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde; e
- VII - promover a formação e contínua capacitação de profissionais de saúde nas áreas da genômica e da saúde pública de precisão.

Considerando os objetivos apresentados, o planejamento estratégico, operacional e orçamentário do Programa Genomas Brasil foi delineado com o estabelecimento de 26 macroações estratégicas organizadas em seis eixos. O planejamento dos próximos anos, a partir de 2026, será discutido e deliberado pela gestão do Programa.

As ações previstas para os próximos anos envolvem:

- a) o sequenciamento de 100 mil genomas humanos;
- b) a otimização da capacidade da infraestrutura de sequenciamento já instalada através da formalização de hubs;
- c) o estabelecimento de padrões e requisitos técnicos e éticos para o repositório de dados genômicos e de saúde do Programa;
- d) a realização de chamadas públicas e contratações diretas de projetos na temática de saúde pública de precisão envolvendo genômica ou produtos de terapia avançada;
- e) a elaboração de estratégias para apoiar a formação de capital intelectual e a capacitação de profissionais de saúde em genômica e saúde pública de precisão.

O investimento em genômica e saúde pública de precisão por parte do Ministério da Saúde totaliza cerca de 1 bilhão de reais distribuídos em 251 projetos que fazem parte das ações estratégicas para implementação das bases da genômica e saúde de precisão no país. Os temas de pesquisa abordados incluem algumas doenças citadas do Plano Nacional de Saúde, o PNS 2024-2027, tais como as doenças cardiovasculares, doenças infecciosas, doenças raras, doenças oncológicas e doenças crônicas, entre outras. Por meio do Programa Genomas Brasil, esses investimentos contribuirão para que futuramente a genômica e as terapias avançadas aplicadas ao conhecimento das condições genéticas permitam diagnosticar e tratar no âmbito do SUS, de forma mais precisa, as doenças que afetam a nossa população.

4) Investimentos e parceiras públicas e privadas direcionadas ao desenvolvimento dessa tecnologia no Brasil.

Vide respostas aos itens 1, 2 e 3.

5) Quaisquer outras informações relevantes sobre o assunto que possa

contribuir para melhorar compreensão e acompanhamento dessa iniciativa.

Ressalta-se que a tecnologia CRISPR/Cas9 tem caído em desuso em virtude da clivagem do DNA pela Cas9 gerar uma série de danos às células-tronco hematopoiéticas, já relatados nesta Nota Informativa.

Assim, têm-se optado pelo uso de técnicas de edição gênica mais modernas, tais como Edição de Base (Base Editing), Prime Editing ou PASTE (do inglês Programmable Addition via Site-specific Targeting Elements), que não geram DSBs (quebras de fita dupla do DNA) e que têm se mostrado significativamente mais seguras do que o sistema CRISPR/Cas9.

Ademais como informado no item 1, as terapias baseadas em vetores CRISPR/Cas9 ainda não foram aprovados pela Anvisa para comercialização no Brasil, sendo evidente a necessidade de mais estudos que comprovem a eficácia e a segurança do uso dessa ferramenta no âmbito da pesquisa clínica, para a temática apresentada.

Estas são as considerações.

ANDREZA FERNANDES BOTO
Consultora Técnica

CAROLINA CARVALHO GONTIJO
Consultora Técnica

GRAZIELLA SANTANA FEITOSA FIGUEIREDO
Consultora Técnica

MARIELLA GUIMARÃES LACERDA
Consultora Técnica

GIOVANNY VINÍCIUS ARAÚJO DE FRANÇA
Assessor Técnico Especializado

LUCIANA HENTZY MORAES
Analista Técnica de Políticas Sociais

JESSICA DA SILVA RODRIGUES
Coordenadora de Gestão de Programas de Pesquisa

De acordo.

Encaminhe-se à COGAD/SECTICS para conhecimento e providências.

EVANDRO DE OLIVEIRA LUPATINI
Diretor do Departamento de Ciência e Tecnologia substituto
Decit/SECTICS/MS



Documento assinado eletronicamente por **Evandro de Oliveira Lupatini, Diretor(a) do Departamento de Ciência e Tecnologia substituto(a)**, em 08/05/2025, às 14:25, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Giovanny Vinícius Araújo de França, Assessor(a) Técnico(a) Especializado**, em 08/05/2025, às 14:39, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Jessica da Silva Rodrigues, Coordenador(a) de Gestão de Programas de Pesquisa**, em 08/05/2025, às 14:40, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Graziella Santana Feitosa Figueiredo, Consultor(a) Técnico(a)**, em 08/05/2025, às 14:42, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Luciana Hentzy Moraes, Analista Técnico de Políticas Sociais**, em 08/05/2025, às 14:42, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Mariella Guimarães Lacerda, Consultor(a) Técnico(a)**, em 08/05/2025, às 14:43, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Carolina Carvalho Gontijo, Consultor(a) Técnico(a)**, em 08/05/2025, às 14:44, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Andreza Fernandes Boto, Consultor(a) Técnico(a)**, em 08/05/2025, às 14:48, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0047645976** e o código CRC **7505B5E4**.

Brasília, 08 de maio de 2025.

Referência: Processo nº 25000.040874/2025-97

SEI nº 0047645976

Departamento de Ciência e Tecnologia - DECIT
SRTVN 701, Lote D Via W3 Norte, Edifício PO 700, 5º Andar - Bairro Asa Norte, Brasília/DF, CEP 70719-040
Site - saude.gov.br



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde
Departamento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde e de Inovação para o SUS
Coordenação-Geral de Base Química e Biotecnológica

NOTA TÉCNICA Nº 189/2025-CGQBIO/DECEIIS/SECTICS/MS

1. ASSUNTO

1.1. **Requerimento de Informação nº 845/2025, de autoria da Deputada Federal Rogéria Santos (Republicanos/BA), por meio do qual requisita informações sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.**

2. ANÁLISE

2.1. Trata-se de resposta ao Despacho COGAD/SECTICS (0047544903), de 05 de maio de 2025, o qual encaminha para análise e manifestação desta Coordenação Geral de Base Química e Biotecnológica-CGQBIO o Requerimento de Informação nº 845/2025, de autoria da Deputada Federal Rogéria Santos (Republicanos/BA), por meio do qual requisita informações sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

2.2. No referido Requerimento de Informação foram solicitadas ao Ministério da Saúde as seguintes informações:

1. Estado atual da pesquisa e desenvolvimento da terapia genética baseadas em CRISPR para tratamento de doença falciforme e beta talassemia;
2. Quantidade de pacientes participantes de estudos clínicos relacionados à terapia genética mencionada acima;
3. Perspectivas de implementação e disponibilidade da terapia genética para tratamento dessas condições no Sistema Único de Saúde;
4. Investimentos e parcerias públicas e privadas direcionadas ao desenvolvimento dessa tecnologia no Brasil; e
5. Quaisquer outras informações relevantes sobre o assunto que possa contribuir para melhorar compreensão e acompanhamento dessa iniciativa

2.3. Cumpre esclarecer que esta CGQBIO faz parte do Departamento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde e de Inovação para o SUS (DECEIIS), o qual tem suas competências estabelecidas no Decreto nº 12.036, de 28 de maio de 2024, que diz:

Art. 33. Ao Departamento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde e de Inovação para o SUS compete:

I - estabelecer métodos e mecanismos para a análise da viabilidade de custo-efetividade de empreendimentos públicos no Complexo Econômico-Industrial da Saúde;

II - subsidiar a Secretaria na formulação, na implementação e na avaliação de políticas relativas à inovação, ao desenvolvimento e à produção de insumos e tecnologias em saúde, no âmbito do Complexo Econômico-Industrial da Saúde e para a consolidação da Política Nacional de Promoção da Saúde;

III - propor programas e ações, no âmbito do Ministério da Saúde, que permitam a definição de estratégia nacional de fomento, desenvolvimento, inovação e produção de insumos e tecnologias em saúde;

IV - definir, em articulação com os órgãos governamentais competentes, estratégias de atuação do Ministério da Saúde nas áreas da biossegurança, da biotecnologia, do patrimônio genético e da propriedade intelectual;

V - formular e coordenar as ações de fomento à produção nacional, pública e privada, de medicamentos, vacinas, hemoderivados e outros insumos industriais;

VI - propor acordos e convênios com entidades e órgãos da administração pública, direta e indireta, do terceiro setor e do setor privado para a implementação das diretrizes e a consolidação da Política Nacional de Promoção da Saúde, quanto ao Complexo Econômico-Industrial da Saúde;

VII - definir diretrizes e estratégias para o desenvolvimento tecnológico, inovação e produção de insumos e tecnologias em saúde no âmbito do Complexo Econômico-Industrial da Saúde;

VIII - contribuir com acordos internacionais nos temas relacionados ao Complexo Econômico-Industrial da Saúde; e

IX - promover e articular, intersetorialmente, as políticas nacionais de saúde para o desenvolvimento tecnológico, transferências de tecnologia, produção e inovação em saúde, no âmbito do Complexo Econômico-Industrial da Saúde.

2.4. Sendo assim, o DECEIS tem como objetivo central articular ações estratégicas a fim de promover, fomentar e subsidiar o fortalecimento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (CEIS), em conformidade com a implementação da Política Nacional de Saúde. Dentre suas atribuições, destaca-se a formulação e coordenação de ações para definição de estratégia nacional de fomento, desenvolvimento e inovação para os insumos industriais na área da saúde, bem como, fomento à produção nacional de medicamentos, vacinas, hemoderivados e outros insumos industriais, temas afetos à esta Coordenação-Geral de Base Química e Biotecnológica (CGQBIO).

2.5. Nesse sentido, considerando as competências regimentais estabelecidas para esta CGQBIO, as informações apresentadas nesta nota técnica, serão relacionadas ao atendimento do item a seguir:

4. Investimentos e parcerias públicas e privadas direcionadas ao desenvolvimento dessa tecnologia no Brasil.

3. DO REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO

3.1. O Ministério da Saúde atua na proposição e gestão de políticas públicas para assegurar o acesso universal e equânime à saúde, conforme as diretrizes do Sistema Único de Saúde. Nesse contexto, junto ao governo federal, esta Pasta tem trabalhado no aprimoramento e construção de iniciativas que busquem impulsionar a produção nacional de bens e serviços em saúde, com vistas a reduzir a dependência externa e ampliar o acesso à saúde no SUS.

3.2. Desta forma, no presente contexto, considerando a saúde como uma das áreas estratégicas do governo e, uma vez reconhecida a dimensão e relevância do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (CEIS) como vetor do desenvolvimento brasileiro, em 26 de setembro de 2023, foi publicado o [Decreto nº 11.715](#), que instituiu a Estratégia Nacional para o Desenvolvimento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde, com a finalidade de orientar os investimentos, públicos e privados, nos segmentos produtivos da saúde e em inovação, na busca de soluções produtivas e tecnológicas para enfrentar os desafios em saúde, com vistas à redução da vulnerabilidade do SUS e à ampliação do acesso à saúde

3.3. Para orientar a produção nacional no sentido de atender demandas

prioritárias do SUS, o Ministério da Saúde por meio da [Portaria GM/MS nº 2.261/2023](#), de 08 de dezembro de 2023, estabeleceu a Matriz de Desafios Produtivos e Tecnológicos em Saúde, composta pelos desafios em saúde e soluções produtivas e tecnológicas apresentadas na forma dos blocos de “Preparação do Sistema de Saúde para Emergências Sanitárias” e de “Doenças e Agravos Críticos para o SUS” (Anexo I). Considerando os dois blocos estabelecidos, foram elencados 13 desafios em saúde e Soluções Produtivas e Tecnológicas para o SUS na forma de plataformas e produtos. Nesse sentido, tecnologias relacionadas à plataforma produtiva para terapias avançadas podem estar associadas à "Superação de vulnerabilidade em hemoderivados, bioprodutos e modernização de serviços tecnológicos em hemoterapia (Desafio 3)", a "Cânceres com maior incidência e cânceres pediátricos (desafio 8)", a "Doenças associadas ao envelhecimento da população (desafio 11)", a "Doenças raras (desafio 12)" e a "Outras doenças crônicas não transmissíveis (desafio 13)".

3.4. Sendo assim, eventuais necessidades que sejam consideradas desafios em saúde para o SUS, como possíveis ações para produção nacional de terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia, nos termos da Estratégia Nacional de Desenvolvimento do Complexo Econômico-Industrial da Saúde, poderão vir a ser viabilizadas, oportunamente, por meio de programas, tais quais: I - Programa de Parcerias para o Desenvolvimento Produtivo - PDP: tem por objetivo orientar o esforço nacional de investimento em inovação e produção, público e privado, por meio de transferências tecnológicas de produtos estratégicos para a redução das vulnerabilidades do SUS e ampliação do acesso à saúde e II - Programa de Desenvolvimento e Inovação Local - PDIL: tem por finalidade promover o desenvolvimento local de soluções inovadoras voltadas aos desafios em saúde a fim de reduzir da vulnerabilidade produtiva e tecnológica, à promoção da sustentabilidade do SUS e à ampliação do acesso à saúde.

3.5. Nesse sentido, a partir da publicação da [Portaria GM/MS Nº 4.472, de 20 de junho de 2024](#), referente à atualização do normativo das PDP, e, conforme disposto no [Informe Técnico nº 01/2024](#) e na [Nota Informativa nº 5/2024-DECEIS/SECTICS/MS](#), as instituições públicas puderam buscar e selecionar parceiros privados para o desenvolvimento e a transferência de tecnologias de produtos inseridos na Matriz de Desafios Produtivos e Tecnológicos em Saúde, havendo por parte do Ministério da Saúde ambiente de incentivo à produção nacional, oportuno para apresentação de propostas de projetos voltadas aos desafios em saúde, as quais foram submetidas até o dia 30 de setembro de 2024 e, na presente data, encontram-se em fase de análise e avaliação pela Comissão Técnica e Avaliação (CTA) e pelo Comitê Deliberativo (CD), conforme ritos estabelecidos para os Programas.

3.6. Cabe ressaltar quanto ao registro sanitário de Produtos de Terapias Avançadas (PTA) que, segundo a [Agência Nacional de Vigilância Sanitária \(Anvisa\)](#), fazem parte de uma categoria especial de medicamentos complexos que estão sujeitos a passos rigorosos de monitoramento após sua aprovação para uso (registro sanitário). Desta forma, com o intuito de ampliar o acesso da população a esses tratamentos inovadores, a Agência propõe um modelo de registro sanitário condicional baseado em modelos de aprovação de outras autoridades regulatórias internacionais, tal qual a European Medicines Agency (EMA - Europa), ressaltando que o registro condicional exige a assinatura de um Termo de Compromisso (TC) entre a Anvisa e a empresa/instituição responsável pelo medicamento no Brasil, estabelecendo prazos definidos para a apresentação de dados complementares.

3.7. Por fim, informa-se que, no âmbito do Programa de PDP, não foi

apresentada proposta de projeto relacionada à terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

4. CONCLUSÃO

4.1. Ante ao exposto, o Ministério da Saúde tem promovido ações e implementado programas voltados à construção de arranjos produtivos que busquem impulsionar a produção nacional de bens e serviços em saúde e o desenvolvimento tecnológico local, para reduzir a dependência externa e a vulnerabilidade, assim como ampliar o acesso à saúde no SUS. No entanto, não foi apresentada proposta de projeto no âmbito dos Programas PDP relacionada à terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

4.2. Sem mais, colocamo-nos à disposição para quaisquer esclarecimentos adicionais que se façam necessários.

LORENA BRITO EVANGELISTA
Consultora Técnica

Ciente,

MAÍRA FERREIRA CARNEIRO
Coordenadora-Geral de Base Química e Biotecnológica



Documento assinado eletronicamente por **Lorena Brito Evangelista, Consultor(a) Técnico(a)**, em 08/05/2025, às 18:19, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Maíra Ferreira Carneiro, Coordenador(a)-Geral de Base Química e Biotecnológica**, em 08/05/2025, às 18:20, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0047653318** e o código CRC **D130CA1F**.

Referência: Processo nº 25000.040874/2025-97

SEI nº 0047653318

Coordenação-Geral de Base Química e Biotecnológica - CGQBIO
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br



OS DEPUTADOS

Deputada Rogéria Santos | REPUBLICANOS/BA

REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO Nº 2025
(Da Sra. Rogéria Santos)

Requer que sejam solicitadas informações ao Ministério da Saúde, sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

Senhor Presidente,

Requeiro a V. Ex^a, com base no art. 50, § 2º da Constituição Federal, e na forma dos arts. 115 e 116 do Regimento Interno que, ouvida a Mesa, sejam solicitadas informações ao Exmo. Sr. Ministro da Saúde, sobre terapia genética baseada na tecnologia CRISPR para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

JUSTIFICAÇÃO

A doença falciforme e a beta talassemia são distúrbios hematológicos genéticos que afetam milhares de brasileiros, causando complicações graves à saúde, redução da qualidade de vida e alta demanda por cuidados médicos contínuos. O avanço na tecnologia CRISPR representa uma inovação promissora para o tratamento dessas condições, podendo oferecer uma alternativa curativa para pacientes que, até então, dependem de tratamentos paliativos, transfusões regulares e, em alguns casos, transplante de medula óssea.

Considerando a relevância do tema para a saúde pública e a possibilidade de incorporação dessa tecnologia no Sistema Único de Saúde (SUS), é fundamental que esta Casa Legislativa tenha acesso a informações

Apresentação: 18/03/2025 13:37:28.930 - Mesa

RIC n.845/2025





OS DEPUTADOS

Deputada Rogéria Santos | REPUBLICANOS/BA

detalhadas sobre os avanços científicos, investimentos, parcerias e estudos clínicos relacionados à aplicação da terapia genética no Brasil.

Além disso, a recente aprovação dessa abordagem terapêutica por agências reguladoras internacionais desperta questionamentos sobre o seu possível uso no país, bem como os desafios regulatórios, logísticos e financeiros para sua implementação. Dessa forma, a solicitação de informações ao Ministério da Saúde se faz necessária para assegurar transparência e possibilitar um acompanhamento legislativo adequado, visando ao melhor interesse dos pacientes e ao aprimoramento das políticas públicas de saúde.¹

Nesse contexto, e considerando o papel do Poder Legislativo na fiscalização e no aprimoramento das políticas públicas de saúde, por meio deste requerimento, solicita-se a disponibilização das seguintes informações:

1. Estado atual da pesquisa e desenvolvimento da terapia genética baseadas em CRISPR para tratamento de doença falciforme e beta talassemia.
2. Quantidade de pacientes participantes de estudos clínicos relacionados à terapia genética mencionada acima.
3. Perspectivas de implementação e disponibilidade da terapia genética para tratamento dessas condições no Sistema Único de Saúde.
4. Investimentos e parcerias públicas e privadas direcionadas ao desenvolvimento dessa tecnologia no Brasil.
5. Quaisquer outras informações relevantes sobre o assunto que possa contribuir para melhorar compreensão e acompanhamento dessa iniciativa.

A disponibilização dessas informações é essencial para a avaliação da eficácia das políticas públicas e para o desenvolvimento de

¹ <https://www1.folha.uol.com.br/equilibrioesaude/2023/11/anemia-falciforme-terapia-genetica-e-a-esperanca-contradoenca-invisivel-que-afeta-milhares-de-brasileiros.shtml>





OS DEPUTADOS

Deputada Rogéria Santos | REPUBLICANOS/BA

estratégias que assegurem uma melhor cobertura e eficiência no combate a anemia falciforme e a beta talassemia, beneficiando milhares brasileiros e de crianças que entre os anos de 2014 e 2020, a média anual de novos casos de crianças diagnosticadas com DF no PNTN foi de 1.087, numa incidência de 3,75 a cada 10.000 nascidos vivos. Estima-se que há 60.000 a 100.000 pacientes com DF no país. A distribuição no Brasil é bastante heterogênea, sendo a Bahia, o Distrito Federal e Minas Gerais as unidades federadas de maior incidência. Uma vez que se trata de uma doença genética de origem africana, a DF é mais comum (mas não exclusivas) em pretos e pardos.²

Solicito ainda que as informações sejam disponibilizadas de maneira clara e acessível, de modo a possibilitar uma compreensão abrangente das ações desenvolvidas pelo Ministério nesse sentido.

Diante do exposto, solicitamos o apoio para a aprovação do presente Requerimento de Informações, no sentido de elucidar, sobre informações detalhadas sobre os avanços científicos, investimentos, parcerias e estudos clínicos relacionados à aplicação da terapia genética no Brasil, para pacientes com doenças falciforme e beta talassemia.

Sala das Sessões, em ____ de _____ de 2025.

ROGÉRIA SANTOS

Deputada Federal

² [https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/d/doenca-falciforme#:~:text=No%20Brasil,exclusivas\)%20em%20pretos%20e%20pardos.](https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/d/doenca-falciforme#:~:text=No%20Brasil,exclusivas)%20em%20pretos%20e%20pardos.)





CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 84

Brasília, 8 de abril de 2025.

A Sua Excelência o Senhor
ALEXANDRE PADILHA
Ministro de Estado da Saúde

Assunto: **Requerimento de Informação**

Senhor Ministro,

Nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal, encaminho a Vossa Excelência cópia(s) do(s) seguinte(s) Requerimento(s) de Informação:

PROPOSIÇÃO	AUTOR
Requerimento de Informação nº 672/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 682/2025	Deputado Cabo Gilberto Silva
Requerimento de Informação nº 713/2025	Deputado Junio Amaral
Requerimento de Informação nº 724/2025	Deputado Alfredo Gaspar
Requerimento de Informação nº 745/2025	Deputado Delegado Ramagem
Requerimento de Informação nº 752/2025	Deputado Cabo Gilberto Silva e outros
Requerimento de Informação nº 764/2025	Deputado Roberto Monteiro Pai
Requerimento de Informação nº 765/2025	Deputado Roberto Monteiro Pai
Requerimento de Informação nº 767/2025	Deputado Roberto Monteiro Pai
Requerimento de Informação nº 771/2025	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 774/2025	Deputada Duda Salabert
Requerimento de Informação nº 775/2025	Deputado Capitão Alden
Requerimento de Informação nº 778/2025	Deputada Maria Arraes
Requerimento de Informação nº 784/2025	Deputada Rosangela Moro
Requerimento de Informação nº 785/2025	Deputado Coronel Meira
Requerimento de Informação nº 793/2025	Deputada Rosangela Moro
Requerimento de Informação nº 802/2025	Deputado Marcos Tavares
Requerimento de Informação nº 811/2025	Deputada Enfermeira Rejane
Requerimento de Informação nº 812/2025	Deputada Enfermeira Rejane
Requerimento de Informação nº 816/2025	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 818/2025	Deputada Flávia Moraes
Requerimento de Informação nº 821/2025	Deputado Hugo Leal

- NOTA: os Requerimentos de Informação, quando de autorias diferentes, devem ser respondidos separadamente.

/DFO



Documento assinado por:
09/04/2025 15:29 - Dep. CARLOS VERAS

Selo digital de segurança: 2025-NTBM-AVRK-AQQO-BLHQ

Ofício 1ªSec/RI/E nº 84 (0047168313)

SEI 25000.040874/2025-97 / pg. 19



CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 84

Brasília, 8 de abril de 2025.

Requerimento de Informação nº 822/2025	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 832/2025	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 834/2025	Deputada Caroline de Toni
Requerimento de Informação nº 845/2025	Deputada Rogéria Santos
Requerimento de Informação nº 846/2025	Deputada Rogéria Santos

Por oportuno, solicito, na eventualidade de a informação requerida ser de natureza sigilosa, seja enviada também cópia da decisão de classificação proferida pela autoridade competente, ou termo equivalente, contendo todos os elementos elencados no art. 28 da Lei nº 12.527/2011 (Lei de Acesso à Informação), ou, caso se trate de outras hipóteses legais de sigilo, seja mencionado expressamente o dispositivo legal que fundamenta o sigilo. Em qualquer caso, solicito ainda que os documentos sigilosos estejam acondicionados em invólucro lacrado e rubricado, com indicação ostensiva do grau ou espécie de sigilo.

Atenciosamente,

Deputado CARLOS VERAS
Primeiro-Secretário

- NOTA: os Requerimentos de Informação, quando de autorias diferentes, devem ser respondidos separadamente.

/DFO



Documento assinado por:

09/04/2025 15:29 - Dep. CARLOS VERAS

Selo digital de segurança: 2025-NTBM-AVRK-AQQQ-BLHQ

Ofício 1ª Sec-RI-E nº 84 (0047168313)

SEI 25000.040874/2025-97 / pg. 20