

SUS vai oferecer terapia inovadora para doenças raras

Category: BRASIL, GERAL, SAÚDE, TECNOLOGIA e CIÊNCIA
escrito por Chellsen Carneiro | 2 de março de 2026



Uma única dose e a possibilidade de uma vida longa. Esta é a esperança trazida pela terapia gênica inovadora para o tratamento de pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) Tipo 1, que iniciou de forma histórica o primeiro estudo clínico com seres humanos para essa tecnologia no Brasil. Com investimento federal de R\$ 122 milhões na plataforma produtiva de plasmídeos e vetores virais, utilizados na produção desta e de outras terapias voltadas a doenças raras, a pesquisa foi anunciada pelo ministro da Saúde, Alexandre Padilha, e pelo presidente da Fiocruz, Mário Moreira.

“Quando o SUS oferece uma terapia inovadora, estamos mudando o curso da doença e o destino dessas crianças. É a medicina mais avançada do mundo sendo ofertada gratuitamente à população brasileira, reafirmando o SUS como um patrimônio do nosso povo”, disse Alexandre Padilha.

A AME é uma doença rara que se manifesta nos primeiros meses de vida e é causada por uma alteração no gene SMN1, responsável por produzir uma proteína essencial para o funcionamento dos neurônios responsáveis pelo comando dos movimentos. A ausência da proteína provoca a perda progressiva da força muscular e pode comprometer a sobrevivência das crianças nos primeiros anos de vida.

O estudo do GB221 posiciona o Brasil como protagonista na assistência da AME e fortalece a medicina de precisão na América Latina, considerando que os resultados positivos podem ampliar a qualidade e expectativa de vida dos pacientes. A primeira infusão do medicamento foi realizada em janeiro deste ano, após a autorização da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, e está em avaliação da segurança e tolerabilidade (fase 1) e análise da eficácia da tecnologia (fase 2). A medicina de precisão e as terapias gênicas são altas tecnologias da saúde, que se caracterizam pela adoção de tratamentos individualizados.

Com resultados positivos e autorização da Anvisa, a tecnologia poderá ser ofertada no SUS após a análise de incorporação realizada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), possibilitando o acesso gratuito ao tratamento inovador em tempo oportuno.

Podem participar do estudo crianças sintomáticas com diagnóstico confirmado, por análise genética, com mutações no gene SMN1 e até três cópias do SMN2 e idade entre duas semanas e 12 meses, com início dos sintomas nos primeiros seis meses de vida. Para os participantes pré-sintomáticos, os critérios são: risco de AME Tipo 1, confirmado por análise genética, com mutações bialélicas no SMN1 e até duas cópias do SMN2, entre 14 dias e 150 dias de vida.

A participação de novos pacientes no estudo será realizada de forma gradual, com previsão de inclusão do segundo paciente nos próximos meses. O medicamento foi desenvolvido pela empresa norte-americana Gemma Biotherapeutics, Inc. (GEMMABio) e terá a transferência de tecnologia para a Bio-Manguinhos, da Fiocruz, responsável pelo desenvolvimento das terapias gênicas no país. A ação também possibilitará o desenvolvimento de outras terapias para pelo menos cinco doenças raras, como a Atrofia Muscular Esquelética; Atrofia Muscular Espinhal e Bulbar; Leucodistrofia Metacromática; Doença de Krabbe; e

Gangliosidose GM1.

O Governo do Brasil, por meio do Ministério da Saúde, investe no avanço da ciência em saúde, como em pesquisas voltadas para o tratamento de doenças raras. São destinados R\$ 214 milhões para estudos de novas tecnologias para diagnósticos, medicamentos, mapeamento de perfil epidemiológico e sequenciamento de genes. Entre eles, estão os Projetos de Alto Impacto em parceria com a Empresa Brasileira de Pesquisa e Inovação Industrial (Embrapii), com investimento de R\$ 40,5 milhões para o desenvolvimento de duas terapias inovadoras: síntese do nusinersena, RNA modificado e estratégias terapêuticas inovadoras baseadas em anticorpo anti-VLA-4.

Para o fortalecimento da produção nacional e redução da dependência externa do país em tecnologias em saúde, o governo assinou oito Parcerias para o Desenvolvimento Produtivo (PDP) voltadas para medicamentos de doenças raras, que mobilizam R\$ 2 bilhões na aquisição desses fármacos para o SUS. Entre eles estão: cladribina e natalizumabe, para esclerose múltipla; ivacaftor, para fibrose cística; e sirolimo, imunossupressor utilizado principalmente para prevenir a rejeição de órgãos em pacientes transplantados renais.

“Estamos investindo mais de R\$ 2 bilhões em parcerias para produzir esses medicamentos no Brasil. Isso garante soberania, segurança e estabilidade no tratamento, sem depender das oscilações internacionais e assegurando que as famílias tenham acesso contínuo às terapias”, explicou o ministro Padilha.

Já por meio do Programa de Desenvolvimento e Inovação Local (PDIL), serão investidos R\$ 2,8 milhões em teste de exoma completo, que visa ao diagnóstico mais preciso de doenças com análise da fração do DNA. O projeto prevê a capacitação de 40 especialistas do Hospital de Clínicas da Universidade de São Paulo para a realização do teste.

Fonte: g1 e Publicado Por: Jornal Folha do Progresso em

02/03/2026/07:34:59

O formato de distribuição de notícias do [Jornal Folha do Progresso](#) pelo celular mudou. A partir de agora, as notícias chegarão diretamente pelo formato Comunidades, ou pelo canal uma das inovações lançadas pelo WhatsApp. Não é preciso ser assinante para receber o serviço. Assim, o internauta pode ter, na palma da mão, matérias verificadas e com credibilidade. Para passar a [receber as notícias](#) do Jornal Folha do Progresso, clique nos links abaixo siga nossas redes sociais:

- [Clique aqui e nos siga no X](#)
- [Clica aqui e siga nosso Instagram](#)
- [Clique aqui e siga nossa página no Facebook](#)
- [Clique aqui e acesse o nosso canal no WhatsApp](#)
- [Clique aqui e acesse a comunidade do Jornal Folha do Progresso](#)

Apenas os administradores do grupo poderão mandar mensagens e saber quem são os integrantes da comunidade. Dessa forma, evitamos qualquer tipo de interação indevida. Sugestão de pauta enviar no e-mail: folhadoprogresso.jornal@gmail.com.

Envie vídeos, fotos e sugestões de pauta para a redação do JFP (JORNAL FOLHA DO PROGRESSO) Telefones: WhatsApp [\(93\) 98404 6835](#)– (93) 98117 7649.

“Informação publicada é informação pública. Porém, para chegar até você, um grupo de pessoas trabalhou para isso. Seja ético. Copiou? Informe a fonte.”

*Publicado por Jornal Folha do Progresso, Fone para contato 93 981177649 (Tim) WhatsApp: [-93- 984046835](#) (Claro)
- Site: www.folhadoprogresso.com.br e -
mail: folhadoprogresso.jornal@gmail.com/ou e -
mail: adeciopiran.blog@gmail.com*