

Produto: LUXTURNA® (voretigeno neparvoveque)

TERMO DE COMPROMISSO PARA COMPLEMENTAÇÃO DE DADOS E PROVAS ADICIONAIS COMPROBATÓRIAS DE EFICÁCIA CLÍNICA PARA REGISTRO DE PRODUTO DE TERAPIA AVANÇADA CLASSE II

Eu, [REDACTED], abaixo assinado(a), portador de documento de identidade RG [REDACTED], e inscrito(a) no CPF sob nº [REDACTED], em plenos poderes do cargo de Responsável Legal do estabelecimento Novartis Biociências S.A., inscrito no CNPJ sob o nº 56.994.502/0001-30, COMPROMETO-ME, dentro do CRONOGRAMA de que trata o Anexo deste Termo de Compromisso, a apresentar os dados e provas adicionais requisitados pela Anvisa, com fins de complementação do pedido de REGISTRO do produto de terapia avançada (CLASSE II) LUXTURNA® (voretigeno neparvoveque), processo 25351.520073/2019-82, relativamente à seguinte indicação terapêutica:

1) Luxturna® é indicado para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com perda de visão devido à distrofia hereditária da retina causada por mutações bialélicas do RPE65 confirmadas e que tenham suficientes células retinianas viáveis.

DECLARO, que todos os dados e provas apresentados até o presente momento ao corpo técnico da Anvisa são verdadeiros e adequadamente interpretados para os fins a que se destinam, resultando técnica e estatisticamente corretas as inferências e conclusões que reputam segurança e eficácia ao produto em questão.

COMPROMETO-ME, a cumprir as obrigações de que trata este Termo de Compromisso, observado o princípio da boa-fé e o interesse da saúde pública no País, ASSUMINDO, inclusive, o compromisso de comunicar imediatamente à Anvisa intercorrências que possam vir a prejudicar ou impedir o cumprimento do aqui disposto e previsto.

DECLARO-ME ciente de que o descumprimento de condições, obrigações e prazos previstos neste Termo de Compromisso suscitará o imediato cancelamento do registro implicado, sem prejuízo de outras sanções civis, penais e administrativas cabíveis.

E por ser a expressão da verdade, ASSINO o presente, para que surta seus legais e jurídicos efeitos.

São Paulo, 21 de julho de 2020.

Nome: [REDACTED]
Cargo: Gerente de Assuntos Regulatórios
Representante Legal
CPF/ME: [REDACTED]

Nome: [REDACTED]
Coordenadora de Assuntos Regulatórios
Representante Legal
CPF/ME: [REDACTED]

Ordem de realização	Item	Descrição do item	Data em que o item estará disponível na empresa	Data do cumprimento em ato único para ANVISA
1.	LTFU-01*	Estudo de acompanhamento para comprovar a eficácia e segurança a longo prazo: apresentar o relatório concluído após a finalização do estudo e relatórios parciais de progresso do estudo, quando os dados estiverem disponíveis.	Relatório Final em 2031	Até dezembro de 2031
2.	CLTW888A12401**	Estudos pós-autorização: apresentar resultados futuros, principalmente em relação a eventos adversos de interesse especial (eventos oncológicos, hematológicos, neurológicos e imunológicos), ausência de eficácia e/ou declínio da eficácia ao longo do tempo, caso ocorram.	Anualmente, em abril	Em até 30 dias após a disponibilidade na empresa Relatório final em 2030
		Estudos pós-autorização: apresentar os dados observados na população brasileira incluída no estudo.	Anualmente, em abril	Em até 30 dias após a disponibilidade na empresa Relatório final em 2030
3.	Método Quantificação de Agregados	Método Quantificação de Agregados: Apresentar avaliação do método que está sendo desenvolvido pela Spark que poderá determinar que não são necessárias adições à estratégia de controle.	2021	Até dezembro de 2021
4.	Ensaio para proteína residual do hospedeiro	Ensaio para proteína residual do hospedeiro: Apresentar os estudos comparativos entre o Kit [REDACTED] comercial e o método HCP [REDACTED] desenvolvido [REDACTED], com as devidas validações do método, caso seja demonstrado que o método HCP [REDACTED] é superior ao Kit [REDACTED] comercial.	2023	Até dezembro de 2023

* Estudo de acompanhamento a longo prazo em pacientes que receberam vetor viral do adenovírus associado do sorotipo 2 contendo o gene humano RPE65 (AAV2-hRPE65v2) administrado por injeção subretiniana. Este estudo objetiva o acompanhamento a longo prazo de segurança e eficácia dos pacientes que receberam o voretigene neparvoveque no programa clínico.

** Estudo pós-autorização, multicêntrico, multinacional, longitudinal, observacional de registro de segurança para pacientes tratados com voretigene neparvoveque. Este estudo objetiva a coleta de dados quanto aos desfechos de segurança a longo prazo em pacientes tratados com voretigene neparvoveque.