

VOTO Nº 285/2023/SEI/DIRE2/ANVISA

Processo nº 25351.930348/2023-79

Expediente nº 1086218/23-0

Analisa o Cronograma de Inspeção Internacional da GSTCO/GGBIO referente ao mês de novembro.

Área responsável: GSTCO/GGBIO

Relator: Meiruze Sousa Freitas

1. Relatório

Trata-se de aprovação de cronograma de inspeção internacional (SEI 2618083) com vistas a Certificação de Boas Práticas de Fabricação (CBPF) de Produto de Terapia Gênica.

A empresa PTC Farmacêutica do Brasil Ltda. peticionou os expedientes 0769455/23-9 e 0769285/23-6 em conformidade com o preconizado com a Resolução-RDC nº 505, de 27 de maio de 2021.

2. Análise

Para esta certificação, a área técnica responsável, Gerência de Sangue, Tecidos, Células e Órgãos - GSTCO, analisou os expedientes protocolados referente ao pedido de Certificado de Boas Práticas de Fabricação (CBPF) para a planta fabril da empresa, da análise por avaliação da matriz de risco, a empresa em questão, enquadra-se na situação “risco sanitário potencial” e neste sentido indicou a necessidade da realização de inspeção.

Inicialmente ressalta-se da análise do dossiê de registro do Upstaza (Eladocageno exuparvoveque), que é um produto de terapia gênica *in vivo*, com base no vetor AAV-2, que expressa a enzima humana descarboxilase L-aminoácidos aromáticos (gene dopa decarboxilase (DDC) humano) para

tratamento de pacientes com AADC com um fenótipo grave, considerada doença rara.

Destaca-se algumas considerações constantes dos Pareceres técnicos relacionado a cada expediente peticionado e referenciados anteriormente:

A planta fabril envolvida na fabricação do componente ativo biológico e produto acabado Upstaza (Eladocageno exuparvoveque), da empresa PTC Farmacêutica do Brasil Ltda. Todas as etapas de produção e controle de qualidade, bem como estudo de estabilidade de forma parcial são realizadas na planta da MassBiologic South Coast, localizada 1240 Innovation Way - Fall River, Massachusetts (MA) 02720 - Estados Unidos da América (EUA). **A empresa não possui CBPFs emitidos pela Anvisa** para a unidade operacional que contempla a linha objeto da petição. O Certificado de Boas Práticas de Fabricação (CBPF) apresentado refere-se à inspeção realizada pela Health Products Regulatory Authority (HPRA) - Irlanda, em 2022. Entretanto, o Relatório de Inspeção que subsidiou a concessão do CBPF menciona quatro componentes de BPF onde são **apontadas não conformidades maiores**, bem como outros oito componentes que fazem referência a não conformidades classificadas como "Outras".

Considerando a análise e diante da complexidade do processo produtivo, e da característica inédita do produto e seu processo fabril, a GSTCO por meio do DESPACHO Nº 151/2023/SEI/GSTCO/GGBIO/DIRE2/ANVISA, entendeu como necessária a inspeção sanitária na planta da MassBiologics South Coast (1240 Innovation Way, Fall River, Massachusetts - EUA).

É importante pontuar ainda, que o processo de inspeção e certificação de BPF de plantas fabris de produtos de terapia avançada está sendo realizado na GSTCO seguindo as mesmas diretrizes da área de inspeção e fiscalização da ANVISA e em conformidade a padronização PIC/s.

3. **Voto**

Diante do exposto, Voto pela Aprovação do cronograma de inspeção constante neste processo na planta fabril da empresa conforme documento (SEI 2618083).

Ademais, manifesto-me de forma FAVORÁVEL ao ressarcimento aos inspetores designados para a missão, caso se faça necessária a realização de testes COVID-19, em trânsito ou

no destino, para atendimento às exigências relacionadas a situação de pandemia pelo novo coronavírus.

Este é o voto que submeto a deliberação pela Diretoria Colegiada da Anvisa e solicito por fim, a inclusão em Circuito Deliberativo.



Documento assinado eletronicamente por **Meiruze Sousa Freitas, Diretora**, em 13/10/2023, às 12:34, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **2628117** e o código CRC **3C212A8A**.

Referência: Processo nº
25351.930348/2023-79

SEI nº 2628117