

SAÚDE

Polilaminina: por que a esperança precisa de método

Três mortes não são apenas tragédias individuais, elas revelam sistema que falhou antes mesmo de ser plenamente colocado à prova

Dimas Covas

03/03/2026 | 05:30



Crédito: Unsplash

A esperança é um dos motores mais poderosos da pesquisa biomédica. Cheguei a essa conclusão após quatro décadas dedicadas à medicina e à ciência: do início, no Hemocentro de Ribeirão Preto, ao CAR-T, no Butantan; da Coronavac à construção de plataformas de terapia avançada.

Nessa trajetória, compreendi, por vezes de forma inexorável, que até a esperança precisa de um método de execução para não se confundir com aposta. Na medicina, apostas feitas sobre pacientes vulneráveis têm um nome técnico: risco não controlado.

Com notícias da Anvisa e da ANS, o JOTA PRO Saúde entrega previsibilidade e transparência para empresas do setor

O caso da polilaminina coloca o Brasil diante de um dilema que vai muito além de uma molécula promissora. É um espelho. E o que ele reflete exige que falemos com clareza.

A ciência merece ser levada a sério

Começamos pelo que é inegável: a polilaminina é ciência brasileira legítima. São quase 30 anos de pesquisa básica em biofísica na UFRJ, conduzida pela professora Tatiana Sampaio, uma das cientistas mais originais da neurociência brasileira das últimas décadas.

Com base molecular sólida e mecanismo biologicamente plausível, a substância funciona como uma espécie de estrutura de apoio da matriz extracelular, criando um ambiente favorável para que os axônios voltem a crescer em um sistema nervoso central que, por suas próprias características, tem baixa capacidade de regeneração.

Os resultados preliminares envolvem oito pacientes com lesão medular completa, classificada como AIS A, ou seja, a forma mais grave da condição. Segundo a literatura médica, esses casos têm taxa de recuperação espontânea entre 0% e 15%. Ainda assim, os dados observados fogem do padrão estatístico esperado e justificam uma investigação científica rigorosa.

Em janeiro de 2026, a Anvisa aprovou o início do estudo clínico de Fase 1, indicando que o conjunto de evidências pré-clínicas de segurança foi considerado suficiente para avançar.

Isso não é pouco. É exatamente esse o processo esperado nas descobertas científicas promissoras: aprovação regulatória, protocolo clínico e monitoramento sistemático. O problema é o que se deu após essa primeira etapa.

O estudo merece ser fortalecido

A questão central levantada pelos críticos, e com razão, não diz respeito à molécula em si, mas ao desenho do estudo. Oito pacientes, sem grupo de controle, não configuram um ensaio clínico com poder inferencial inadequado. São uma série de casos.

Isso não é uma crítica à pesquisadora nem ao mérito científico de sua descoberta. Refere-se, exclusivamente, à definição metodológica do que foi realizado até aqui. Uma série de casos, por mais impressionante que seja, não permite distinguir o efeito do fármaco da recuperação espontânea. Tampouco distingue esse efeito do impacto do cuidado intensivo associado ao protocolo. Há ainda o viés de seleção, inerente a pacientes classificados clinicamente como AIS A, mas que podem apresentar preservação axonal subclínica.

A variabilidade biológica da lesão medular é enorme. Nível neurológico, mecanismo do trauma, tempo de isquemia, comorbidades. Cada paciente acaba se tornando um experimento isolado. Sem um grupo de controle, não é possível saber com precisão qual é o efeito da polilaminina. Ela pode ser revolucionária. Pode produzir efeitos que ainda não conseguimos observar. Nesse contexto, porém, a incerteza não é um gesto de humildade científica, mas o principal desafio a ser enfrentado.

A declaração de que se cogita conduzir as próximas fases do estudo sem grupo controle é, do ponto de vista metodológico, a parte mais preocupante de toda a controvérsia. Não porque controles sejam um dogma burocrático, mas porque, sem eles, ao final do estudo, teremos mais pacientes tratados e menos conhecimento do que poderíamos ter alcançado.

No CAR-T, trabalhamos com séries de casos iniciais em pacientes sem alternativa terapêutica. Ainda assim, esses estudos sempre foram conduzidos com protocolo rigoroso de coleta de dados, contando com comitê independente de monitoramento, o chamado Data Safety Monitoring Board, critérios pré-definidos de eficácia e toxicidade e compromisso explícito de avançar para o ensaio controlado. Para que um sinal inicial se transforme em evidência, é necessário um método. Sem esse rigor, os resultados permanecem como achados preliminares e não sustentam uma decisão regulatória.

Existem caminhos metodológicos capazes de preservar o rigor científico sem negar tratamento a nenhum paciente. Entre eles, o uso de controles históricos estruturados, com pareamento por escore de propensão. Também entram os desenhos adaptativos bayesianos, que ajustam dinamicamente a probabilidade de alocação ao grupo de tratamento à medida que os dados se acumulam. Há ainda programas de acesso compassivo estruturado, com coleta prospectiva e sistemática de dados.

Dessa forma, cada paciente tratado fora de um ensaio formal pode contribuir como evidência do mundo real, com validade regulatória. Em contextos como esse, urgência e precisão caminham juntas. São a única combinação eticamente defensável quando o que está em jogo é a vida de pessoas vulneráveis.

É justamente por isso que a ciência construída pela professora Tatiana Sampaio ao longo de três décadas precisa de um método que a proteja de leituras equivocadas e a conduza ao reconhecimento internacional que, de fato, ela merece.

O paradoxo judicial: acesso sem proteção

O problema mais grave, contudo, não está no que acontece no laboratório, mas fora dele. E um fato ocorrido recentemente torna essa discussão ainda mais urgente.

A Folha de S.Paulo noticiou em 12 de fevereiro de 2026 que três pacientes que receberam polilaminina por ordem judicial morreram no Rio de Janeiro, no Paraná e no Espírito Santo. Não há, até o momento, confirmação de causalidade entre a substância e os óbitos. Mas essa é precisamente a questão: não há como saber.

Justamente porque esses pacientes não estavam sendo monitorados por nenhum protocolo clínico formal. Tampouco integravam algum registro nacional de eventos adversos. Não havia farmacovigilância ativa sobre eles. A própria pesquisadora havia reconhecido publicamente, dias antes: "Imagina se houver um efeito adverso e a pessoa não relatar?". A professora admitiu o vácuo de rastreabilidade que as liminares criaram.

Esse é o paradoxo mais perigoso do acesso judicial a terapias experimentais. O paciente recebe o tratamento, mas a ciência não aprende com a experiência. E, quando algo dá errado, faltam dados para investigar, protocolos para acionar e sistemas capazes de responder.

Compreendo a dor das famílias que recorrem ao Judiciário. Diante de uma lesão medular completa, sem alternativa terapêutica, e diante de resultados que a mídia apresenta como revolucionários, o caminho judicial acaba sendo a única opção disponível. O problema não está no juiz, mas no sistema regulatório, que não oferece uma terceira via entre "aguardar 45 dias pelo processo de uso compassivo" e "recorrer ao tribunal". E, no caso de uma substância que precisa ser administrada em até 72 horas após a lesão, um prazo de 45 dias simplesmente não é biologicamente viável.

É essa mesma dor que nos impõe o desafio de construir um caminho regulatório mais rápido e, ao mesmo tempo, seguro. O intervalo entre a burocracia e a biologia cria um vazio estrutural. É dele que nascem as liminares e, em alguns casos, desfechos fatais que permanecem sem explicação.

Existe ainda um dano silencioso. Pacientes tratados por decisão judicial não podem ser incluídos no protocolo clínico aprovado pela Anvisa. Isso reduz o pool de recrutamento e ameaça a validade estatística do único estudo capaz de responder, ao final, à pergunta central: a polilaminina funciona?

O que precisa ser feito

A resposta não está em proibir nem em ignorar o problema. Está em construir um caminho regulatório que ainda não existe, e que o Brasil tem plena capacidade técnica e institucional para implementar. A seguir, sugiro três medidas concretas que podem ser adotadas sem a necessidade de nova legislação.

- 1. Criar uma via regulatória de acesso urgente** A Anvisa poderia instituir uma via de acesso urgente no âmbito da RDC 38/2013, com análise realizada em até 24 horas por um comitê técnico especializado, destinada a condições clínicas cuja janela terapêutica seja inferior a 72 horas. A proposta envolve a adequação do rito administrativo à biologia da doença, sem alteração dos critérios de qualidade, segurança ou evidência. Na ausência de um mecanismo como esse, decisões judiciais tendem a ocupar o espaço deixado pelo processo regulatório.
- 2. Estruturar um Programa de Acesso Compassivo com geração obrigatória de dados**

Esse programa deveria prever:

- Coleta prospectiva e padronizada de desfechos neurológicos (como escala AIS e ASIA motor score);
- Monitoramento de biomarcadores de segurança e eficácia;
- Seguimento mínimo de 52 semanas;
- Registro dos dados em plataforma compatível com Boas Práticas Clínicas (GCP);
- Análise estatística com metodologias robustas, como score de propensão.

Os dados gerados poderiam constituir evidência de mundo real (Real-World Evidence – RWE) válida do ponto de vista regulatório, nos formatos já reconhecidos por:

- Food and Drug Administration (FDA), por meio de seu RWE Framework;

- European Medicines Agency (EMA), por meio do programa DARWIN EU;
- E pela própria Anvisa, em conformidade com as diretrizes vigentes para o uso de dados do mundo real.

Acesso sem registro deve ser considerado acesso inadequado, não como punição, mas como condição mínima de segurança e aprendizado coletivo. As mortes anunciadas recentemente reforçam a urgência de um modelo estruturado de monitoramento.

3. Proteger o ensaio clínico e ampliar o acesso de forma responsável

Pacientes elegíveis para o protocolo aprovado devem ter prioridade no recrutamento. O uso compassivo regulado fica restrito àqueles que são clinicamente ou geograficamente inelegíveis para o ensaio. Essa lógica preserva a integridade do estudo e, ao mesmo tempo, amplia o acesso ao tratamento.

A experiência com a Coronavac mostra que a Autorização de Uso Emergencial não funcionou como atalho, mas como um instrumento regulatório robusto. Houve farmacovigilância ativa, critérios claros de inclusão e monitoramento de segurança em tempo real. Em situações como essa, urgência e rigor precisam caminhar juntos. Essa é a única combinação eticamente defensável quando a vida de pessoas vulneráveis está em jogo.

O que está em jogo vai além da polilaminina

Se as liminares passarem a se consolidar como via ordinária de acesso a terapias experimentais no Brasil, criaremos um precedente que contorna, de forma sistemática, a Anvisa. Isso não afetaria apenas a polilaminina, mas toda inovação futura.

Na prática, estaríamos afirmando que o sistema regulatório brasileiro é incapaz de responder à urgência clínica e que o Judiciário seria o árbitro adequado para decisões que exigem avaliação de evidência científica. Nenhuma dessas premissas é verdadeira. E as consequências de agir como se fossem já são conhecidas.

A experiência recente da pandemia deixou isso claro. Os casos da cloroquina e da ivermectina evidenciaram os riscos de decisões terapêuticas dissociadas de uma avaliação científica estruturada. Também mostraram o que ocorre quando a ciência é substituída por decisões de natureza política ou judicial.

O cenário internacional já oferece referências claras. Nos Estados Unidos, o FDA criou a Breakthrough Therapy Designation. Na Europa, foi estabelecido o PRIME Designation. Ambos foram concebidos para acelerar o desenvolvimento de terapias voltadas a necessidades médicas não atendidas, em condições graves sem tratamento adequado ou em situações nas quais uma nova intervenção representa avanço terapêutico relevante.

Esses modelos mostram que é possível combinar velocidade e rigor quando existe método. O Brasil reúne os elementos necessários para isso. Tem competência científica de nível internacional, uma agência regulatória tecnicamente sólida e pesquisadores capazes de gerar inovação genuína, como a polilaminina evidencia. O que ainda falta é a decisão institucional de construir esse caminho antes que o caos o torne inviável. E os sinais de alerta já estão acesos.

O objetivo não é condenar a pesquisa nem a pesquisadora. A polilaminina merece mais do que decisões judiciais isoladas. Precisa de um estudo minucioso, de um registro nacional, de uma via regulatória compatível com a urgência clínica e de uma resposta institucional proporcional à gravidade do momento.

Assine gratuitamente a newsletter Últimas Notícias do JOTA e receba as principais notícias jurídicas e políticas do dia no seu email

As três mortes ocorridas sem monitoramento adequado não são apenas tragédias individuais. Elas revelam um sistema que falhou antes mesmo de ser plenamente colocado à prova.

A esperança é indispensável. Mas, sem método, ela não salva. E, sem farmacovigilância, pode causar danos sem que sequer seja possível compreender por quê. 📌

Os artigos publicados pelo JOTA não refletem necessariamente a opinião do site. Os textos buscam estimular o debate sobre temas importantes para o país, sempre prestigiando a pluralidade de ideias.



DIMAS COVAS

Médico, professor titular da USP, pesquisador CNPq nível 1A. Foi diretor do Instituto Butantan (2017-2023), onde coordenou a implementação da Coronavac no Brasil. Atualmente é cientista-chefe de P&D e Inovação da Sinovac Biotech, liderando a integração tecnológica Brasil-China-Índia-EUA