

Diagnóstico do cenário de patentes relacionadas ao Zolgensma®: status atual e oportunidades

Diagnosis of the Patent Landscape Related to Zolgensma®: Current Status and Opportunities

Sandro Guimarães Viveiros Rosa^{1*} , Irene von der Weid¹ 

Citação: Viveiros-Rosa, SG.; Von der Weid, I. (2026). Diagnóstico do cenário de patentes relacionadas ao Zolgensma®: status atual e oportunidades. *Revista Brasileira de Ciência, Tecnologia e Inovação*, 11, e26008. <https://doi.org/10.18554/rbcti.v11i00.8352>

Recebido: 13 mar. 2025

Aceito: 28 mai. 2026

Publicado: 20 ago. 2026



Copyright: este é um artigo de acesso aberto distribuído sob os termos da Licença de atribuição Creative Commons, que permite uso irrestrito, distribuição, e reprodução em qualquer meio, desde que o autor original e a fonte sejam creditados.



Instituto Nacional da Propriedade Industrial (INPI), Rio de Janeiro (RJ), Brasil

* Autor correspondente: sandrogvr@gmail.com

Resumo: O Brasil, por meio do SUS, já gastou aproximadamente 1 bilhão de reais com o onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®), terapia gênica para atrofia muscular espinhal. Nesse contexto, as patentes podem influenciar o acesso e o preço dessas tecnologias, embora sua identificação seja dificultada pelo depósito ocorrer antes da definição dos nomes comerciais e genéricos. Este estudo teve como objetivo mapear e investigar as patentes relacionadas ao Zolgensma®, analisando sua vigência, principais tecnologias e depositantes. Foram identificadas 17 famílias de patentes, majoritariamente depositadas pelo Nationwide Children's Hospital. No Brasil, quatro famílias possuem documentos equivalentes no INPI, porém nenhuma foi deferida. A patente base da tecnologia, depositada internacionalmente em 2009, também não foi depositada no Brasil. Esses resultados indicam oportunidades para o fortalecimento da pesquisa, desenvolvimento e inovação nacional em terapias gênicas, especialmente para a atrofia muscular espinhal.

Palavras-chave: Atrofia Muscular Espinhal. Zolgensma. Patentes. Sistema Único de Saúde do Brasil.

Abstract: Brazil, through the Unified Health System (SUS), has already spent approximately BRL 1 billion on onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®), a gene therapy for spinal muscular atrophy. In this context, patents may influence access to and the price of these technologies, although their identification can be challenging because patent applications are filed before commercial and generic names are defined. This study aimed to map and investigate patents related to Zolgensma®, analyzing their validity, main technologies, and applicants. Seventeen patent families were identified, most of them filed by Nationwide Children's Hospital. In Brazil, four families have equivalent patent applications at the Brazilian National Institute of Industrial Property (INPI), but none has been granted. The foundational patent for the technology, internationally filed in 2009, was also not filed in Brazil. These findings indicate opportunities to strengthen national research, development, and innovation in gene therapies, particularly for spinal muscular atrophy.

Keywords: Spinal Muscular Atrophy. Zolgensma. Patents. Brazilian Unified Health System.

1. Introdução

Terapias Avançadas no Brasil

Segundo a Agência de Vigilância Sanitária, podem ser considerados produtos de terapias avançadas (PTAs) os medicamentos especiais que abrangem terapia gênica, terapia celular avançada e de engenharia tecidual (desenvolvimento de tecidos artificiais para uso em humanos) (Agência Nacional de Vigilância Sanitária [ANVISA], 2025). A edição genética é uma abordagem de modificação genética que utiliza métodos moleculares para alterar genes envolvidos em doenças humanas, e tem sido aplicada em pesquisas para terapias anticâncer, doenças hematológicas, infecções virais e doenças oculares (Costanzi-Strauss & Strauss, 2015).

Globalmente, foram aprovadas diversas terapias avançadas, dentre terapias gênicas e celulares. Só nos Estados Unidos da América (US), são mais de 40 terapias já aprovadas pela US Food and Drug Administration (U.S. Food and Drug Administration [FDA], 2024). Já no Brasil, até o início de 2025, apenas uma parte das tecnologias disponíveis já estava aprovada junto à Anvisa (Tabela 1), dentre elas, o onasemnogeno abeparvoveque.

TABELA 1

Exemplos de terapias avançadas aprovadas internacionalmente e pela Anvisa

Marca (Fabricante)	Ativo	Doença	Ano de Aprovação	Preço Estimado
Terapias <i>in vivo</i>				
Zolgensma® (Novartis Biocências)	Onasemnogeno abeparvoveque	Atrofia muscular espinhal até os 2 anos de idade.	2020	R\$ 10,5 milhões ¹
Hemgenix® (CSL Behring)	Etranacogene dezaparvovec	Hemofilia B – Deficiência congenita de fator IX sanguíneo	2024	US\$ 3,5 milhões ^a
Roctavian® (Biomarin Brasil)	Valoctocogeno roxaparvoveque	Hemofilia A – Deficiência de fator VIII sanguínea	2024	US\$ 2,9 milhões ^b
Luxturna® (Novartis Biocências)	Voretigene neparvovec	Perda de visão por distrofia retiniana hereditária	2020	R\$ 3,5 milhões ¹
Terapias <i>ex vivo</i>				
Tecartus® (Gilead Sciences)	Brexucabtagene autoleucel	Linfoma de células do manto (LCM); e Leucemia linfoblástica aguda (LLA).	2022	R\$ 1,1 milhão ¹
Yescarta® (Gilead Sciences)	Axicabtageno ciloleucel	Linfoma de grandes células B e Linfoma folicular - Linfomas não- Hodgkin.	2024	R\$ 2,44 milhões ¹
Kymriah® (Novartis)	Tisagenlecleucel	Leucemia linfoblástica aguda de células B.	2022	R\$ 2,43 milhões ¹

Carvykt® (Janssen Cilag)	Ciltacabtageno autoleucel	Mieloma múltiplo.	2023	R\$ 3,5 milhões ¹
-----------------------------	------------------------------	-------------------	------	------------------------------

Fonte: Anvisa¹ e CMED (Anvisa) (<https://agenciabrasil.ebc.com.br/saude/noticia/2024-04/anvisa-lanca-painel-para-consulta-de-precos-de-medicamentos>);

a - <https://www.drugdiscoverytrends.com/how-price-safety-and-efficacy-shape-the-cell-and-gene-therapy-landscape/?utm>. b - <https://www.fiercepharma.com/pharma/biomarin-ceo-alexander-hardy-hemophilia-gene-therapy-roctavian-needs-3-stars-aligned>. Fonte: Dos autores, 2026.

Nota: As terapias gênicas *in vivo* consistem na administração direta do vetor terapêutico no organismo do paciente, promovendo a transferência gênica diretamente às células-alvo. Por outro lado, terapias *ex vivo* envolvem a coleta de células do paciente, sua modificação genética em ambiente controlado e posterior reintrodução no organismo, permitindo maior controle sobre o processo de edição genética.

Zolgensma

O Zolgensma é uma terapia genética inovadora aprovada pelo FDA em 2019 nos EUA para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME), uma doença neuromuscular rara e grave que afeta uma em cada 10 mil pessoas no mundo, primeiramente relatada em 1890 (Mercuri, 2021). No curso da doença, os neurônios motores morrem devido à falta da proteína sintetizada através dos genes SMN (Survival motor neuron) e os pacientes vão aos poucos sentindo os sinais e sintomas da doença, incluindo a perda do controle e da força muscular; a incapacidade/dificuldade na realização de movimentos de locomoção, deglutição, movimento de segurar a cabeça e até mesmo a respiração (European Commission, 2020; Mercuri, 2021). Somando-se a isso, há outras complicações derivadas da AME como consequência da fraqueza muscular, que são tratadas por atendimento médico e de suporte multidisciplinar, incluindo manejo ortopédico e espinhal, manejo nutricional, de deglutição e gastrointestinal, manejo pulmonar, cuidados agudos e cuidados paliativos.

O prognóstico para pacientes portadores de AME tipo 1, com 2 cópias do SMN2, é grave, com o surgimento dos primeiros sinais da doença logo após 6 meses de nascimento, de modo que os pacientes já necessitam de suporte ventilatório e nutricional mecânico após o primeiro ano de vida, com perspectiva máxima de sobrevivência de dois anos. A terapia com Zolgensma é indicada tanto para doentes com atrofia muscular espinal (AME) 5q, com uma mutação bialélica no gene SMN1 e um diagnóstico clínico de AME de Tipo 1, como para doentes com AME 5q com uma mutação bialélica no gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2. A terapia gênica, neste caso, funciona fornecendo ao organismo uma cópia funcional do gene SMN1, que está ausente ou defeituoso em pacientes com AME tipo 1. Ao repor esse gene, o Zolgensma visa interromper a progressão da doença e melhorar a qualidade de vida dos pacientes. Uma cópia funcional do gene SMN1 é entregue às células nervosas através da utilização de um vetor adeno-associado (AAV9), incapaz de se replicar devido à remoção dos genes rep e cap do genoma de AAV de tipo selvagem (European Commission, 2020; Mercuri, 2021).

Custos no SUS

Entre 2019 e 2022, o Ministério da Saúde gastou R\$ 944,8 milhões para cumprir ações judiciais relacionadas ao medicamento Zolgensma para tratamento de AME, uma média anual

de R\$ 251,9 milhões para o tratamento de aproximadamente 29 pacientes. Adicionalmente, foram gastos R\$ 146 milhões no fornecimento dessa terapia para crianças com mais de dois anos de idade, o que está fora da recomendação contida na bula do medicamento e no parecer da CONITEC (Kretzschmar et al., 2024).

No Brasil, o direito à saúde é um direito social, de acordo com a Constituição Federal, sendo garantido a todos os cidadãos através de políticas sociais de Estado visando à redução do risco de doença e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para a sua promoção, proteção e recuperação (Brandão et al., 2011). Contudo, reside no Poder Judiciário, através da judicialização, a alternativa que visa garantir esse direito fundamental à saúde aos cidadãos (Brandão et al., 2011; Kretzschmar et al., 2024) sem o devido tratamento pelo Sistema Único de Saúde (SUS).

Dessa forma, em dezembro de 2022, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) emitiu relatório com decisão favorável à incorporação do Zolgensma no SUS para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com AME do tipo 1 que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde [CONITEC], 2022).

Apesar de as terapias avançadas representarem inovações tecnológicas significativas no tratamento de doenças graves e raras, seu custo é elevadíssimo e, portanto, é um desafio tanto para os adquirentes dessas soluções, sejam eles os pacientes, os planos de saúde ou o SUS do Brasil. O preço dessas terapias pode variar amplamente, dependendo do tipo de tratamento e da doença a ser tratada, além de diversos outros fatores, como os riscos associados à pesquisa, os custos estruturais e de pessoal especializado, despesas com ensaios pré-clínicos e clínicos em humanos, além das etapas de registro em agências sanitárias e da criação de um portfólio de proteção intelectual (DiMasi et al., 2016; Wagner & Wakeman, 2016).

Assim, apesar de não ser sempre clara a relação de mercado entre o custo e o preço cobrado pelos medicamentos, parte dos preços cobrados pelas terapias avançadas pode ser atribuída não só a um domínio tecnológico, mas, principalmente, por meio do uso arrojado do sistema de propriedade industrial, através de uma estratégia de proteção por patentes, limitando assim a produção e comercialização da tecnologia pelos demais concorrentes do mercado (Guimarães, 2023). No setor farmacêutico, as patentes apresentam um papel estratégico, uma vez que a pesquisa e desenvolvimento de novos fármacos têm custo estimado entre US\$ 320 milhões e 2,7 bilhões (Barton & Emanuel, 2005; DiMasi et al., 2016; Prasad & Mailankody, 2017; Ward, 2023) por medicamento aprovado, algo perto de 17% do faturamento anual dessa indústria (Wagner & Wakeman, 2016). Considerando que este título de propriedade é garantidor de exclusividade de produção e comercialização de um produto, consequentemente, a proteção da tecnologia por patentes se torna uma forma indispensável de retorno desse investimento (DiMasi et al., 2016).

Sobre a proteção por patentes

Apesar dos documentos de patente serem públicos e de acesso gratuito à população, descobrir quais patentes estão relacionadas a cada medicamento ou terapia avançada não é uma tarefa tão óbvia, uma vez que um medicamento pode demorar anos para ser lançado, devido às exigências com ensaios clínicos, e o depósito da patente ocorre nos estágios iniciais do desenvolvimento de uma tecnologia. Assim, palavras-chave ou descritores como os nomes

comerciais e genéricos do medicamento dificilmente estarão presentes no momento inicial da pesquisa e, conseqüentemente, no documento de patente no momento do depósito.

Ademais, em se tratando de medicamentos biológicos, a identificação das patentes de referência é um processo muito mais complicado do que com medicamentos de moléculas pequenas, pois é comum existir um portfólio paralelo de patentes para outros componentes das formulações ou patentes incrementais e que podem inclusive não pertencer aos proprietários do ativo (Ward, 2023). Além disso, existem os Certificados Complementares de Proteção que alguns países adotam, os quais estendem o prazo de vigência das patentes como forma de estimular a criação de medicamentos para o tratamento de doenças pediátricas e doenças raras órfãs de tratamento (Hu et al., 2020).

Dessa forma, uma precisa divulgação das patentes relativas a essas tecnologias de terapias avançadas e de seu conteúdo pode auxiliar no desenvolvimento de terapias avançadas concorrentes e até melhores soluções tecnológicas. Por outro lado, em países onde a patente não foi depositada, não existe prerrogativa de direito sobre aquela invenção, permitindo maior liberdade para o desenvolvimento, produção e comercialização de biossimilares relacionados a esses medicamentos e/ou terapias.

Diferentes estudos abordam a incorporação de tecnologias médicas de alto custo para doenças raras no SUS, como, por exemplo, a distribuição de Zolgensma (Guimarães, 2023), os custos e perfis de pacientes que judicializaram o acesso ao Zolgensma no SUS (Kretzschmar et al., 2024), enfatizando assim a relação entre os custos de aquisição e a importância de políticas públicas inclusivas e sustentáveis para atender a populações vulneráveis. No entanto, estes estudos não abordam a temática das patentes.

Já Zhou & Wang (2021) apresentam uma análise abrangente das patentes globais de terapia gênica, destacando o domínio dos EUA e o rápido avanço da China no desenvolvimento destas tecnologias, mas não tratam detalhadamente de nenhuma das patentes do Zolgensma. Ponomarev et al. (2023) abordam ensaios clínicos e patentes sobre os tratamentos das AME, incluindo o Zolgensma, Spinraza® (nusinersen) e Evrysdi® (risdiplam), no entanto, não há um aprofundamento em relação a todas as patentes do Zolgensma, além de serem silentes sobre a vigência das mesmas no Brasil. Sendo assim, o objetivo desse trabalho é o levantamento das patentes relacionadas ao Zolgensma, analisando-se as tecnologias protegidas e mapeando-se os depositantes, os países de origem desta tecnologia e mercados de interesse, com foco no portfólio depositado no Brasil.

2. Métodos

A base de dados utilizada para a busca das patentes do Zolgensma foi a *Cortellis Drug Discovery Intelligence®* (CDDI) da *Clarivate Analytics®*, a qual possui mais de 400 mil documentos de patentes depositados nos sete maiores escritórios de patente do mundo, a saber, *China National Intellectual Property Administration* (CNIPA), *United States Patent and Trademark Office* (USPTO), *European Patent Office* (EPO), *World Intellectual Property Organization* (WIPO), *Japan Patent Office* (JPO), *Korean Intellectual Property Office* (KIPO) e o *Indian Patent Office* (IPO). Essa base privada de dados oferece capacidades avançadas de busca de patentes, pois possui resumos e palavras-chave preparados por uma equipe editorial para cada patente e permite que os usuários realizem buscas direcionadas e específicas para medicamentos através dos nomes de seus ativos ou nomes comerciais, além de outras ferramentas de busca por estrutura química e de dados bibliográficos (*Clarivate Analytics*, 2025).

A estratégia de busca utilizou o descritor [zolgensma], no campo “Quick Search”, em maio de 2026, para recuperação de documentos de patentes relacionados a este medicamento, tendo sido então identificadas 17 famílias de patentes cujo princípio ativo é o onasemnogene abeparvovec. No intuito de recuperar os documentos de patentes do Zolgensma depositados no Brasil, foi realizada uma nova busca na base de patentes Espacenet, utilizando como parâmetro de busca os números das patentes base identificadas na CDDI, e foram recuperados assim todos os documentos das famílias INPADOC, entre eles o documento equivalente com depósito no Instituto Nacional da Propriedade Industrial do Brasil. Os documentos recuperados em cada base foram colocados em planilhas do programa Microsoft Excel®, para eliminação de duplicatas e criação de um banco de dados.

3. Resultados e Discussão

A Tabela Suplementar 1 apresenta todas as 17 famílias de patentes localizadas na base de busca Cortellis Drug Discovery Intelligence, além do detalhamento tecnológico revelado e pleiteado em cada uma dessas patentes-base. Primeiramente, verifica-se que todos os depositantes de patentes são empresas, instituições e universidades dos EUA, caracterizando assim um predomínio desse país no desenvolvimento desta tecnologia. Adicionalmente, nota-se que, dessas famílias de patentes, apenas quatro possuem documento equivalente identificado no INPI do Brasil, e duas possuem prazo para entrar com pedido nacional no país (WO2024226406 e WO2023086615).

Uma análise do andamento processual das patentes depositadas no Brasil revelou que os pedidos de patente BR112015002168, BR112015027336 e BR112019013268, analisados através de trâmite prioritário solicitado pelo Ministério da Saúde em 2020, foram indeferidos com base nos artigos 8 e 13 da Lei de Propriedade Industrial nº 9279 de 1996 (LPI) (Lei nº 9.279, 1996), enquanto que o pedido de patente BR112021009739 está aguardando o exame técnico. Observa-se que a patente base originadora da tecnologia, com data de prioridade internacional de 2009 e publicada sob o número WO2010071832, não foi depositada no Brasil.

Tal fator é curioso, uma vez que o Brasil tem sido um país estratégico para o depósito de patentes por muitas empresas e um dos fatores que corroborariam o interesse do Brasil para o depósito das patentes por empresas e instituições estrangeiras pode ter relação com o tamanho do mercado farmacêutico. Contudo, em relação a outros mercados, os brasileiros gastam menos (Nuno Fracht, 2025). Por exemplo, em 2022, os brasileiros gastaram cerca de R\$ 106 bilhões em farmácias com um consumo per capita anual de US\$ 123, apenas menos que os americanos (US\$ 1.229 por pessoa) e a população da Alemanha (US\$ 884 por pessoa), do Canadá (US\$ 879), da França (US\$ 671), da Itália (US\$ 624), do Reino Unido (US\$ 527) e da Espanha (US\$ 525).

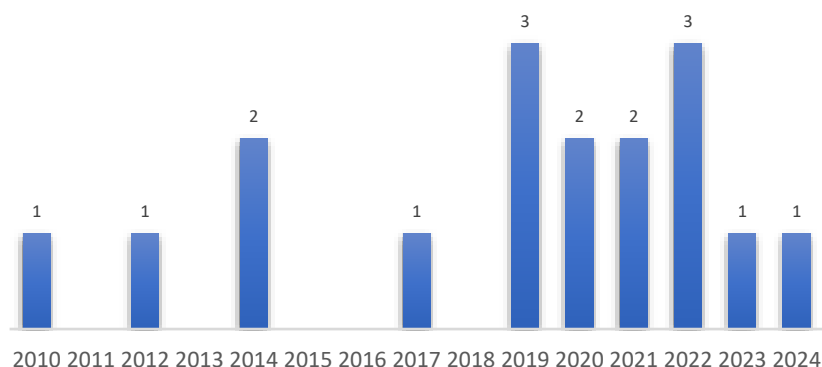
Talvez se justifique não designar o Brasil para o depósito de uma patente da família, pois o Nationwide Children's Hospital não fazia parte de uma grande indústria farmacêutica e os custos com propriedade industrial podem ser muito altos quando somados aos custos de desenvolvimento da tecnologia em si e aos custos com ensaios clínicos, por exemplo. Ademais, já foi relatado na literatura científica que países da América Latina como o Brasil não possuem uma participação relevante na produção de patentes nem de artigos científicos no tocante às terapias gênicas (European Commission, 2020; Guimarães, 2023; Jiang et al., 2023;

Kretzschmar et al., 2024) e, estando a par disso, a depositante pode ter priorizado países com concorrência mais forte pela mesma tecnologia.

A Figura 1 e a Figura 2 apresentam, respectivamente, a quantidade de patentes depositadas internacionalmente por ano e os maiores depositantes de patentes nos sete maiores escritórios do mundo e no Brasil. Como já foi dito, o ano de publicação da primeira patente base sobre o onasemnogeno abeparvoveque foi o de 2010, tendo sido essa patente depositada no ano de 2009.

Figura 1

Ano de publicação das patentes sobre o Onasemnogeno abeparvoveque nos sete maiores escritórios de patente do mundo

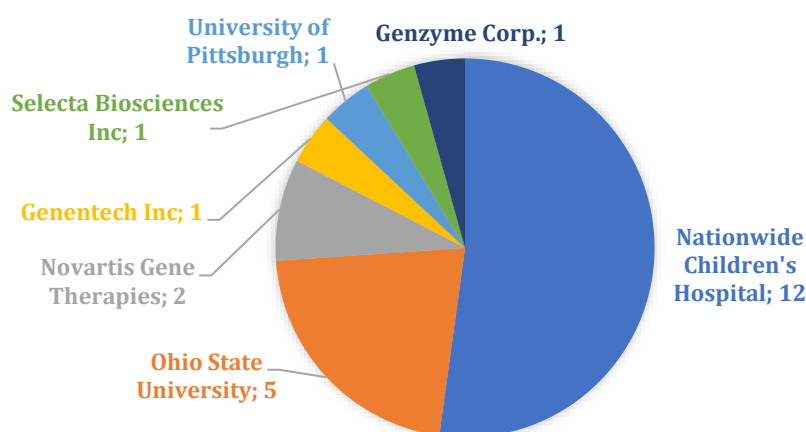


Fonte: Adaptado de *Cortellis Drug Discovery Intelligence*, 2026

Ainda, como pode ser observado na Figura 1, os anos com mais patentes publicadas a respeito dessa tecnologia foram os anos de 2019 e 2022, com 3 documentos para cada um desses anos. Deve-se considerar que mais patentes poderão ser publicadas no futuro referentes aos anos de 2023 e 2024, pois existe um período de sigilo entre o pedido de patente e sua publicação que é de 18 meses, mas que pode variar em casos de solicitações de publicação antecipadas ou até mesmo mais tempo em casos específicos como casos relacionados à segurança nacional (Lei nº 9.279, 1996).

Figura 2

Depositantes das patentes publicadas sobre o onasemnogeno abeparvoveque nos sete maiores escritórios do mundo. Nota-se que existem casos de cotitularidade e a figura se refere aos números de depósitos de cada titular



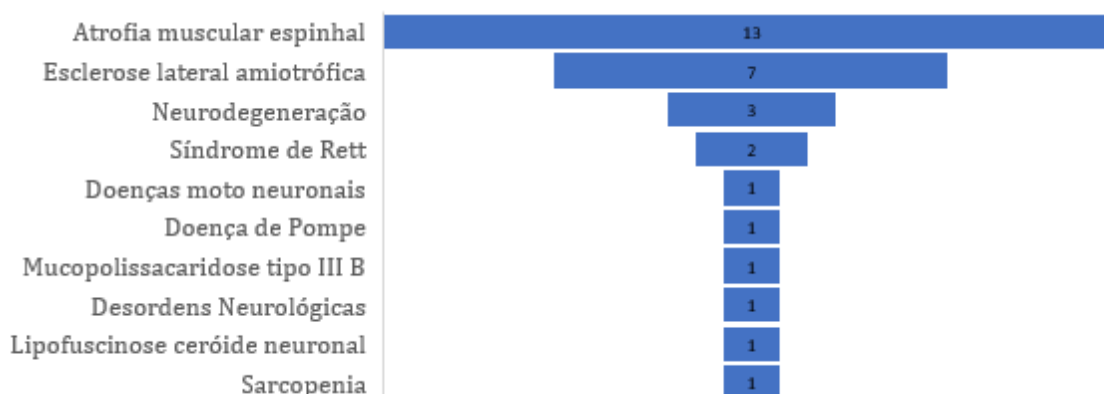
Fonte: Adaptado de *Cortellis Drug Discovery Intelligence*, 2026

O principal depositante dessas patentes foi o mesmo que originou a tecnologia, a instituição norte-americana Nationwide Children's Hospital, titular de 12 das 17 famílias de patentes localizadas. Nesse sentido, nota-se que essa instituição desenvolveu inicialmente essa terapia gênica em conjunto com outras instituições norte-americanas, a Ohio State University e a Mannheimer Foundation, e com a posterior participação de outras duas empresas dos EUA como patrocinadoras, a AveXis e o Grupo Novartis nas fases I, II e III dos ensaios clínicos em humanos. Observa-se que a AveXis foi fundada em 2013 e foi pioneira na pesquisa básica, estabelecendo o AAV9 como um vetor ideal para a transferência de genes, tendo sido adquirida pela Novartis em 2018 (*Clarivate Analytics*, 2025).

Com relação às condições clínicas tratadas, além da AME, outras doenças neurodegenerativas como a esclerose lateral amiotrófica aparecem como possibilidades terapêuticas abordadas nos relatórios descritivos destas patentes, como pode ser visto na Figura 3. Contudo, salienta-se que não há, até o momento, indicação terapêutica aprovada para o Zolgensma para outras doenças.

Figura 3

Condições clínicas sugeridas como possibilidade para o tratamento utilizando o onasemnogeno abeparvoveque de acordo com os pedidos de patentes publicados

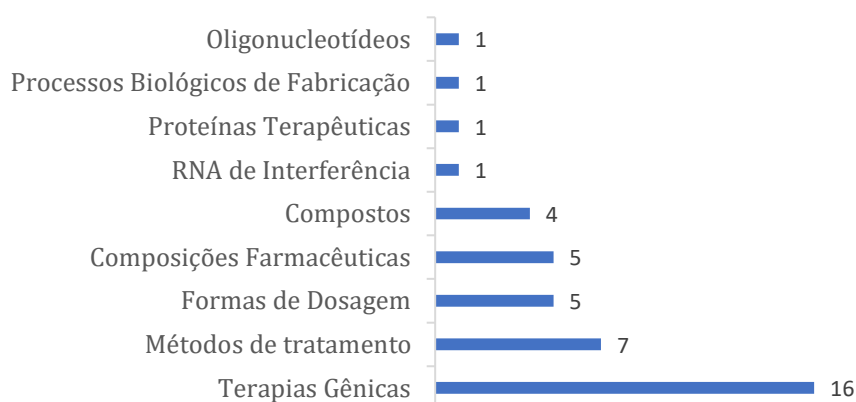


Fonte: Adaptado de *Cortellis Drug Discovery Intelligence*, 2026

Por outro lado, na Figura 4 estão apresentadas as principais matérias reivindicadas nestas 17 famílias de patentes, sendo as mais presentes as terapias gênicas, seguidas dos métodos de tratamento, formas de dosagem e composições farmacêuticas.

Figura 4

Principais matérias reivindicadas nas patentes publicadas envolvendo o onasemnogeno abeparvoveque



Fonte: Adaptado de *Cortellis Drug Discovery Intelligence*, 2026

A proteção por patentes para métodos terapêuticos é vetada no Brasil, com base no artigo 10 da LPI (Lei nº 9.279, 1996), o que pode ter desestimulado o depósito dessa categoria de patentes no país. Apesar da terapia com Zolgensma já ter sido incorporada ao SUS, fazendo do Brasil um grande comprador da mesma, a falta de domínio no campo tecnológico da edição gênica e, conseqüentemente, a aparente falta de concorrência para o desenvolvimento de biossimilares no país já são historicamente conhecidas. Nesse ínterim, verifica-se que é rara a participação de empresas e instituições brasileiras no desenvolvimento de terapias

avancadas, in vivo ou ex vivo, tanto em artigos científicos, como através do depósito de patentes e desenvolvimento de ensaios clínicos já foi destacada na literatura científica (Instituto Nacional da Propriedade Industrial [INPI], 2024a; Nuno Fracht, 2025; Picanço-Castro et al., 2020; Hu et al., 2021), onde também é revelado que países como os EUA, China, França, Reino Unido, Japão, Coreia do Sul e Alemanha figuram entre os principais autores de artigos e patrocinadores de ensaios clínicos.

O Brasil possui uma complexa indústria farmacêutica, onde empresas nacionais apresentam os maiores faturamentos no país, segundo o Anuário Estatístico da Anvisa de 2022 (ANVISA, 2022). No entanto, tais empresas apresentam um maior faturamento com a produção de medicamentos genéricos e similares, sendo um grupo menor de empresas com faturamento importante desenvolvendo novos medicamentos ou atuando no campo de medicamentos biológicos, setores mais inovadores e complexos da produção de medicamentos. Sendo assim, percebe-se que existe uma prevalência de empresas internacionais dominando os setores mais complexos da produção de medicamentos, demonstrando a dificuldade das empresas nacionais em gerar inovação em produtos novos e biológicos.

Ademais, o país possui outros entraves já citados pelas empresas nacionais como, por exemplo, a necessidade de importação de matérias-primas devido à baixa produção local, pouca mão de obra qualificada em nível de procedimentos industriais no campo de medicamentos biológicos, atraso no exame de patentes pelo INPI e nos processos de registro da Anvisa. Tal cenário dificulta o desenvolvimento de medicamentos de origem biológica de qualquer natureza, inclusive essas terapias avançadas (Instituto Nacional da Propriedade Industrial [INPI], 2024b).

Por outro lado, uma série de iniciativas vem sendo estabelecida no intuito de se promover a Pesquisa e Desenvolvimento (P&D) no Brasil. Uma destas iniciativas, coordenada pelo Ministério da Saúde, visa estruturar a implementação da saúde de precisão e personalizada no SUS, através do Programa Genomas Brasil, criado em 2020, no qual o governo promoverá o sequenciamento de genes e um mapeamento nacional de portadores de doenças raras, cardíacas, câncer e infectocontagiosas, como a COVID-19 (Einstein, 2020). A escolha das doenças que farão parte das pesquisas levará em consideração o perfil epidemiológico da população brasileira e o custo gerado para o SUS.

Nesse contexto, destaca-se o Atlas Tumoral da População Brasileira (ATPBR), um estudo oncológico focado em mapear as características genéticas de cânceres prevalentes na população de forma mais precoce, com a possibilidade de se definir tratamentos personalizados (Associação de Terapias Celulares e Gênicas do Brasil [ATPBR], 2025). Relacionado aos projetos voltados ao sequenciamento genômico da população brasileira, porém com maior foco na investigação de doenças genéticas raras, o Projeto Genoma SUS prevê o sequenciamento de genomas humanos para estruturação de bancos nacionais de dados genômicos e fortalecimento da medicina de precisão no SUS (Ministério da Saúde, 2025). Por outro lado, o Centro de Estudos do Genoma Humano e Células-Tronco da Universidade de São Paulo (C2PO USP, 2025) vem desenvolvendo pesquisas voltadas à identificação de genes e mecanismos moleculares relacionados a doenças genéticas e neuromusculares, além de estudos em medicina regenerativa e terapias celulares (Genoma USP, 2026).

Em 2022 também foi publicado que o Ministério da Saúde investirá R\$ 15 milhões em uma Instituição Científica, Tecnológica e de Inovação (ICT) para desenvolver processos e plataformas tecnológicas nacionais em terapia gênica, terapia celular avançada e engenharia tecidual em uma parceria da pasta com a Associação Brasileira de Pesquisa e Inovação Industrial (Embrapii). A Instituição selecionada será credenciada como Centro de Competência em Terapias Avançadas do Programa Genomas Brasil com o objetivo de ampliar e fortalecer competências para a pesquisa, desenvolvimento e inovação tecnológica, de desenvolver produtos de terapias avançadas (PTAs), além de formar e capacitar profissionais (Ministério da Saúde, 2022).

Por outro lado, grupos brasileiros de pesquisa em terapia gênica também passaram a se organizar por meio do Instituto Nacional de Terapia Gênica (INTERGEN), iniciativa apoiada por agências públicas de fomento à pesquisa, como o CNPq, reunindo pesquisadores de instituições como a Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz), Universidade de São Paulo (USP), Hospital Israelita Albert Einstein, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG) e Universidade Federal do Rio Grande do Sul (UFRGS) (C2PO USP, 2025).

Adicionalmente, dentro do Plano de Neoindustrialização do Brasil (2024-2026), na missão 2 do Programa Nova Indústria Brasil, há a previsão de priorização para financiamento de medicamentos e Insumos Farmacêuticos Ativos (IFAs) inovadores, sem produção local ou que apresentem dependência externa de insumos críticos da cadeia produtiva. Serão contempladas, dentre outras soluções terapêuticas, as inovações em terapias avançadas (Ministério do Desenvolvimento, Indústria, Comércio e Serviços, 2024).

Diante do exposto, percebe-se que tanto o governo brasileiro, como as empresas privadas e as instituições brasileiras de pesquisa no campo da saúde precisam aumentar o investimento em pesquisa e desenvolvimento das tecnologias de edição gênica e terapias avançadas. Assim, por parte do Ministério da Saúde do Brasil, identifica-se uma estratégia de estabelecer uma política de investimento a longo prazo em soluções tecnológicas para terapias avançadas para sua população, especificamente por meio de um investimento junto a empresas parceiras e de um projeto de sequenciamento genético para brasileiros e através de outros grupos privados de pesquisa.

Nesse longo caminho, o Ministério da Saúde tem estabelecido parâmetros de negociação, baseados em estudos de evidência científica pela CONITEC e de regulamentação de preço pelo CMED, para incorporação de parte dos tratamentos com edição gênica já disponíveis no mercado, mesmo que o preço pago seja bastante alto. Especificamente no caso do Zolgensma, a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) no Brasil definiu o preço máximo de venda em R\$ 6,5 milhões (55% menor que solicitado pela Novartis) e com o pagamento por tratamento parcelado em cinco anos e atrelado à performance da terapia, sendo 20% do preço do medicamento divididos anualmente, onde a Novartis Biociências só receberá as parcelas após o primeiro ano da infusão e se a criança atingir os marcos motores e a manutenção dos mesmos ao final do quarto e quinto ano (CONITEC, 2022).

Vale lembrar que esse trabalho não é exaustivo a ponto de representar uma total liberdade de operação (*Freedom to operate*, FTO) para produção de um medicamento biossimilar do onasemnogeno abeparvoveque, pois, conforme já dito acima, podem existir patentes incrementais, semelhantes ou de outros componentes da formulação em exame ou

até mesmo concedidas, inclusive de outros titulares (Hu et al., 2020; Ward, 2023). Ainda, o status das patentes aqui apresentadas se refere a decisões em fase administrativa, ou seja, em relação ao depósito no INPI do Brasil, mas ele não exclui a possibilidade de futuras ações judiciais das empresas titulares dessas patentes com o intuito de se obter alguma reversão dessas decisões administrativas e, assim, se obter o deferimento de alguns desses pedidos depositados no Brasil.

Dessa maneira, esse estudo espera contribuir para o esclarecimento aos atores envolvidos e a todo o público interessado em terapias avançadas sobre os aspectos relacionados à proteção patentária do medicamento Zolgensma, com o objetivo de fortalecer a discussão e o desenvolvimento tecnológico para a produção dessa terapia avançada no país, possibilitando reduzir seu custo, além de abrir novos caminhos para o desenvolvimento de outras terapias avançadas.

4. Conclusão

No presente estudo, foram localizadas na base Cortellis Drug Discovery Intelligence 17 famílias de patentes relacionadas ao desenvolvimento do medicamento biológico de alto custo Zolgensma, depositadas nos sete principais escritórios do mundo, todas depositadas por empresas e instituições estadunidenses, sendo apenas 4 depositadas no Brasil. Contudo, a patente base originadora da tecnologia não foi depositada no Brasil, apesar de existir uma previsão de vendas dessa terapia avançada no país, principalmente através do SUS, de algo em torno de R\$ 250 milhões por ano. Por outro lado, estão em curso algumas iniciativas governamentais no sentido de um investimento maior na pesquisa e desenvolvimento de terapias avançadas e biossimilares, além de uma negociação de preço mais coerente com as indústrias comercializadoras para terapias avançadas. Tais iniciativas recentes como o Programa Genomas Brasil e o fortalecimento de estruturas nacionais de P&D indicam um cenário emergente de desenvolvimento tecnológico, que pode contribuir para a redução da dependência externa e ampliação do acesso a terapias avançadas no país.

Contribuição dos autores: Os autores contribuíram igualmente para a concepção do estudo, delineamento metodológico, coleta, análise e interpretação dos dados, redação e revisão crítica do manuscrito, bem como para a aprovação da versão final a ser publicada.

Conflito de interesse: Os autores declaram não haver conflito de interesses.

Declaração ética: Este estudo foi desenvolvido exclusivamente a partir de informações provenientes de bases públicas de patentes, documentos oficiais e literatura científica, não envolvendo pesquisa com seres humanos ou animais, razão pela qual não houve necessidade de submissão ao Comitê de Ética em Pesquisa.

Financiamento: Não houve financiamento para esse estudo.

Agradecimentos: Os autores não possuem agradecimentos a declarar.

Referências

Agência Nacional de Vigilância Sanitária. (2022). Anuário estatístico do mercado farmacêutico. <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/centraisdeconteudo/publicacoes/medicamentos/cmmed/anuario-estatistico-2022/view>

Agência Nacional de Vigilância Sanitária. (2025). Relatórios de monitoramento de produtos de terapias avançadas. <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2025/anvisa-disponibiliza-relatorios-de-monitoramento-de-produtos-de-terapias-avancadas>

Associação de Terapias Celulares e Gênicas do Brasil. (2025). <https://atpbr.org>

Barton, J., & Emanuel, E. J. (2005). The patents-based pharmaceutical development process: Rationale, problems, and potential reforms. *JAMA*, 294(16), 2075–2082. DOI:10.1001/jama.294.16.2075

Brandão, C. M. R., Guerra, A. A. Jr., Cherchiglia, M. L., Andrade, E.I.G., Almeida, A.M., da Silva, G.D., de Queiroz, O.V., Faleiros, D.R. & Acurcio, F. A. (2011). Gastos do Ministério da Saúde do Brasil com medicamentos de alto custo: Uma análise centrada no paciente. *Value in Health*, 14, S71–S77. DOI:10.1016/j.jval.2011.05.028

C2PO USP. (2025). Grupos de pesquisa brasileiros lançam o Instituto Nacional de Terapia Gênica (INTERGEN). <https://c2po.usp.br/grupos-de-pesquisa-brasileiros-lancam-o-instituto-nacional-de-terapia-genica/>

Clarivate Analytics. (2025). Cortellis Drug Discovery Intelligence. <https://www.cortellis.com/drugdiscovery/home>

CONITEC. (2022). Onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal. https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf

Costanzi-Strauss, E., & Strauss, B. E. (2015). Perspectivas da terapia gênica. *Revista de Medicina*, 94(4), 211–222. <https://doi.org/10.11606/issn.1679-9836.v94i4p211-222>

DiMasi, J. A., Grabowski, H. G., & Hansen, R. W. (2016). Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs. *Journal of Health Economics*, 47, 20–33. DOI: 10.1016/j.jhealeco.2016.01.012

Einstein. (2020). Projeto Genoma Raros será lançado com aula on-line totalmente gratuita e convidado internacional. <https://medicalsuite.einstein.br/Biblioteca/Paginas/Destaque.aspx?ItemID=353>

European Commission. (2020). Community register. https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2020/20200810148650/anx_148650_pt.pdf

Genoma USP. (2026). Centro de Estudos do Genoma Humano e Células-Tronco. <https://www.genoma.ib.usp.br/>

Guimarães, R. (2023). New challenges in health technology assessment (HTA): The case of Zolgensma. *Ciência & Saúde Coletiva*, 28(7), 1881–1889. DOI: 10.1590/1413-81232023287.18122022

Hu, S., Alimire, A., Lai, Y., Hu, H., Chen, Z. & Li, Y. (2021). Trends and Frontiers of Research on Cancer Gene Therapy From 2016 to 2020: A Bibliometric Analysis. *Frontiers in Medicine*. 8:740710. doi: 10.3389/fmed.2021.740710

Hu, Y., Eynikel, D., Boulet, P., & Krikorian, G. (2020). Supplementary protection certificates and their impact on access to medicines in Europe: case studies of sofosbuvir, trastuzumab and imatinib. *Journal of Pharmaceutical Policy and Practice*, 13(1), 1–12. <https://doi.org/10.1186/s40545-019-0198-6>

Instituto Nacional da Propriedade Industrial. (2024a). CRISPR, ZFN e TALEN: Mapeamento de pedidos de patente relacionados a tecnologias de edição gênica com aplicação em saúde. <https://www.gov.br/inpi/pt-br/assuntos/informacao/RadarTecnologicoEdioGnicaSade.pdf>

Instituto Nacional da Propriedade Industrial. (2024b). Trastuzumabe e pertuzumabe: Anticorpos monoclonais para tratamento de câncer de mama HER2+. https://www.gov.br/inpi/pt-br/assuntos/informacao/copy3_of_Estudos_Setoriais_GTIPIOutubro2024_mAbsHER2_VERSAO_FINAL.pdf

Jiang, F., Zhang, C., Liu, W., Liu, F., Huang, H., Tan, Y., & Qin, B. (2023). Bibliometric analysis of global research trends in adeno-associated virus vector for gene therapy (1991–2022). *Frontiers in Cell and Infection Microbiology*, 13. <https://doi.org/10.3389/fcimb.2023.1301915>

Kretzschmar, A. K. M., Silva, E. N., Almeida, A. T. C., & Gadelha, C. A. G. (2024). Judicialization of Zolgensma in the Ministry of Health: Costs and clinical profile of patients. *Revista de Saúde Pública*, 58, 36. <https://doi.org/10.11606/s1518-8787.2024058005899>

Lei nº 9.279, de 14 de maio de 1996. Regula direitos e obrigações relativos à propriedade industrial. https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l9279.htm

Mercuri, E. (2021). Spinal muscular atrophy: From rags to riches. *Neuromuscular Disorders*, 31, 998–1003. DOI: 10.1016/j.nmd.2021.08.009

Ministério da Saúde. (2022). Brasil terá centro de pesquisa em terapias avançadas de saúde. https://www.gov.br/saude/acl_users/credentials_cookie_auth/require_login?came_from=https%3A//www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/2022/agosto/brasil-tera-centro-de-pesquisa-em-terapias-avancadas-de-saude

Ministério da Saúde. (2025). Estudo financiado pelo Ministério da Saúde tem potencial para transformar o cenário da oncologia de precisão no país. <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/2026/marco/estudo-financiado-pelo-ministerio-da-saude-tem-potencial-para-transformar-o-cenario-da-oncologia-de-precisao-no-pais>

Ministério do Desenvolvimento, Indústria, Comércio e Serviços. (2024). Nova Indústria Brasil: Plano de ação para a neointustrialização 2024–2026. https://portal.ifce.edu.br/documents/14070/Plano_de_A%C3%A7%C3%A3o_para_a_Neointustrializa%C3%A7%C3%A3o_2024-2026pdf.pdf

Nuno Fracht. (2025). Panorama farmacêutico brasileiro. <https://nunofracht.com.br>

Picanço-Castro, V., Pereira, C. G., Covas, D. T., Porto, G. S., Athanassiadou, A., & Figueiredo, M. L. (2020). Emerging patent landscape for non-viral vectors used for gene therapy. *Nature Biotechnology*, 38(2), 151–157. <https://doi.org/10.1038/s41587-019-0402-x>

Ponomarev, A.S., Chulpanova, D.S., Yanygina, L.M., Solovyeva, V.V., Rizvanov, A.A. (2023). Emerging Gene Therapy Approaches in the Management of Spinal Muscular Atrophy (SMA): An Overview of Clinical Trials and Patent Landscape. *International Journal of Molecular Sciences*. 24(18):13743. <https://doi.org/10.3390/ijms241813743>

Prasad, V. & Mailankody, S. (2017). Research and development spending to bring a single cancer drug to market. *JAMA Internal Medicine*, 177(11), 1569-1575. DOI: 10.1001/jamainternmed.2017.3601

U.S. Food and Drug Administration. (2024). Approved cellular and gene therapy products. <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products>

Wagner, S., & Wakeman, S. (2016). What do patent-based measures tell us about product commercialization? *Research Policy*, 45(5): 1091–1102. <https://doi.org/10.1016/j.respol.2016.02.006>

Ward, M. (2023). Pharma spends big to access key cell and gene therapy assets. *Nature Biopharma Dealmakers*. <https://www.nature.com/articles/d43747-023-00093-1>

Zhou, W., & Wang, X. (2021). Human gene therapy: A scientometric analysis. *Biomedicine & Pharmacotherapy*, 138:111510. DOI: 10.1016/j.biopha.2021.111510