

GUIA PARA TRATAMENTOS BASEADOS EM CÉLULAS ESTAMINAIS DA ISSCR



INTERNATIONAL
SOCIETY FOR
STEM CELL
RESEARCH

Outubro 2025

[ISSCR.org](https://www.isscr.org)

Índice

Introdução	3
1. Células estaminais e tratamentos baseados em células estaminais	4
1.a. O que são células estaminais?	4
1.b. O que são tratamentos com células estaminais?	5
1.c. Quais são algumas das considerações especiais para os tratamentos com células estaminais?	6
2. Tratamentos aprovados com células estaminais	6
2.a. Que doenças ou condições têm tratamentos com células estaminais bem estabelecidos?	6
3. Tratamentos experimentais com células estaminais em ensaios clínicos	7
3.a. Qual é o processo habitual para o desenvolvimento de um novo tratamento médico?	7
3.b. Como posso saber mais sobre ensaios clínicos com células estaminais?	9
3.c. O que devo saber se estiver a pensar integrar um ensaio clínico que utilize células estaminais?	9
3.d. O que é um formulário de consentimento informado ou um formulário de consentimento de tratamento?	10
3.e. O que devo perguntar se estiver a pensar em participar num ensaio clínico?	11
4. “Tratamentos” com células estaminais não comprovados	14
4.a. O que é um “tratamento” com células estaminais não comprovado?	14
4.b. Que cuidados devo ter se estiver a considerar um “tratamento” com células estaminais não comprovado?	14
4.c. O que devo perguntar antes de considerar um “tratamento” com células estaminais não comprovado?	16
4.d. Devo pedir uma segunda opinião?	17
Glossário	18
Informação adicional para doentes	20

Tradução

A tradução de materiais da International Society for Stem Cell Research (ISSCR) para uma língua diferente do Inglês destina-se somente a facilitar o acesso aos membros da nossa comunidade global e aos cientistas de todo o mundo. A ISSCR e os seus parceiros tentaram fornecer uma tradução precisa do material original da língua Inglesa, mas algumas diferenças poderão existir. Referências a identificar o documento original em Inglês estão disponíveis na maioria dos documentos traduzidos. Alguns textos não podem ser traduzidos; estes incluem algumas páginas Web (URLs), aplicações, gráficos e documentos com PDF associados.

Nem a ISSCR, nem qualquer agência, responsável ou funcionário da ISSCR garante a precisão, fiabilidade ou atualidade de qualquer informação traduzida por estas partes, e não pode ser responsabilizada por quaisquer perdas resultantes da confiança depositada na precisão, fiabilidade ou atualidade de tais informações. Qualquer pessoa ou entidade que confie nas informações traduzidas fá-lo-á por seu/sua próprio risco.

Os materiais traduzidos mantêm-se protegidos por direitos de autor e não devem ser reproduzidos sem a autorização da ISSCR. A autorização pode ser obtida após submissão de um pedido escrito para a ISSCR, 630 Davis St, Suite 200, Evanston, IL 60201, USA ou por email para isscr@isscr.org.

A tradução da informação nesta página foi fornecida por Inês Figueira, José Manuel Inácio, Liliana Bernardino, Ana Paula Terrasso, Susana Solá, Maria Arez e João Camões dos Santos.

INTRODUÇÃO

Credit: McClendon, Pinto, Stupp,
Northwestern University and NIH.

A *International Society for Stem Cell Research* (ISSCR) é uma associação global sem fins lucrativos que promove a excelência na ciência das células estaminais, na medicina regenerativa e nas suas aplicações à saúde humana. Para a missão da ISSCR, é fundamental partilhar informações cientificamente precisas de modo a informar os doentes e as suas famílias sobre o estado atual da investigação em células estaminais e potenciais tratamentos. A ISSCR tem como objetivo promover a segurança dos doentes e a saúde pública através do seu empenho na **promoção de uma investigação legítima e em tratamentos credíveis com células estaminais**.

Muitos de nós já ouvimos falar do extraordinário potencial das células estaminais para o tratamento de uma vasta gama de patologias e outras aplicações. De facto, a investigação em células estaminais realizada no mundo inteiro tem conduzido a novas descobertas com potencial para melhorar a saúde humana; no entanto, é ainda necessário um trabalho considerável para atribuir significado a essa investigação sob a forma de terapias específicas, eficazes e seguras.

A maioria das descobertas médicas baseia-se em anos de investigação efetuada quer em universidades quer em empresas farmacêuticas ou de biotecnologia. A evolução destas descobertas laboratoriais para tratamentos clinicamente seguros e eficazes é um processo moroso. Tal como qualquer nova terapia, incluindo os medicamentos convencionais sujeitos a receita médica, os tratamentos com células estaminais têm de ser avaliados em ensaios clínicos e demonstrar que cumprem determinadas normas, antes de receberem a aprovação das entidades reguladoras nacionais para o tratamento de doentes.

A ISSCR está cada vez mais preocupada com as clínicas e os prestadores de serviços que comercializam e administram tratamentos baseados em células estaminais que **não foram testados quanto à sua segurança ou aprovados pelas entidades reguladoras**. Na realidade, muitos dos tratamentos disponibilizados por algumas clínicas que promovem tratamentos experimentais não regulamentados com células estaminais fora dos padrões éticos e regulatórios, não demonstraram ser eficazes ou seguros através de evidência científica. Em muitos casos, nem sequer foi demonstrado conterem células estaminais.

A maioria destes “tratamentos” não está comprovada e pode potencialmente causar sérios danos à saúde dos doentes. Embora estudos pré-clínicos mostrem aparentemente algum potencial, são necessários testes científicos subsequentes em ensaios clínicos que podem revelar que, a abordagem que está a ser avaliada é ineficaz ou tem efeitos secundários negativos imprevistos. É importante que o utente saiba o que deve ter em atenção antes de considerar um tratamento com células estaminais.

Os tratamentos com células estaminais devem ser avaliados quanto à sua eficácia e segurança em ensaios clínicos regulamentados antes de serem aprovados.

O que é que o tratamento significa realmente para si enquanto utente, cuidador, prestador de cuidados de saúde, amigo ou familiar? Esperamos responder a algumas das suas perguntas sobre células estaminais e tratamentos associados, fornecendo os recursos necessários para si ou para o seu médico de família ou especialista, ter em atenção para tomarem as melhores decisões relativamente ao tratamento.

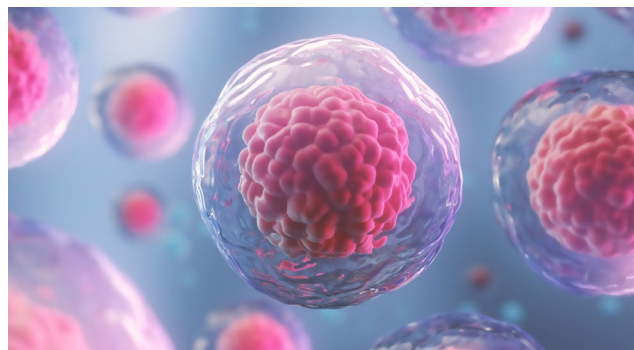


FIGURA 1. Atualmente, os “tratamentos” com células estaminais não comprovados estão a ser comercializados e administrados por clínicas e fornecedores de células estaminais não regulamentadas em todo o mundo. Este guia ajudará os pacientes a compreender melhor o que devem procurar quando consideram um tratamento com células estaminais.

1. CÉLULAS ESTAMINAIS E TRATAMENTOS BASEADOS EM CÉLULAS ESTAMINAIS

1.a. O QUE SÃO CÉLULAS ESTAMINAIS?

Células estaminais são células únicas que se definem por duas propriedades - podem dividir-se indefinidamente e gerar diferentes tipos de células especializadas, como as células da pele, do músculo ou do sangue, entre outras.

Existem dois tipos de células estaminais: as células estaminais pluripotentes e as células estaminais específicas dos tecidos (ou adultas).

As **células estaminais pluripotentes** são células estaminais que podem transformar-se em qualquer célula do corpo e podem ser de dois tipos: células estaminais embrionárias e células estaminais pluripotentes induzidas.

As células estaminais embrionárias (do inglês *embryonic stem cells* - ESC) existem apenas nas primeiras fases do desenvolvimento embrionário. Dão origem a todos os tipos de células do indivíduo adulto. As ESC derivam de células do blastocisto, uma fase muito precoce do desenvolvimento embrionário (ver Figura 2A).

As células estaminais pluripotentes induzidas (do inglês *induced pluripotent stem cells* - iPSC) são células que foram produzidas em laboratório através da conversão de células de um tecido específico, como as células da pele, em células com as mesmas propriedades das células estaminais embrionárias. Tal como as células estaminais embrionárias, as iPSC podem dar origem a todos os tipos de células do indivíduo adulto (ver Figura 2B).

As células estaminais pluripotentes são incrivelmente valiosas porque podem ser cultivadas em laboratório num número ilimitado e podem ser utilizadas como modelos para o estudo do desenvolvimento embrionário e de doença, permitindo testar a eficácia de novos fármacos e desenvolver novas terapias celulares. Saiba mais sobre a forma como as células estaminais pluripotentes são doadas e as suas possíveis utilizações em [Transforming Scientific Research](#).

As **células estaminais específicas do tecido** (também chamadas células estaminais somáticas ou adultas) são células estaminais que se encontram em muitos dos nossos órgãos e tecidos adultos. Caracterizam-se por poder gerar alguns ou todos os tipos de células desse tecido orgânico, **não podendo** dar origem a outros tipos de células do organismo adulto. Em determinados órgãos, este tipo de células estaminais é responsável pela reposição das células que constituem o órgão ou tecido em que se encontram. Por exemplo, as células estaminais sanguíneas substituem constantemente as células do sangue e do sistema imunitário, e as células estaminais intestinais repõem o intestino e o cólon (ver Figura 2C). Embora certas células estaminais específicas de tecidos já sejam utilizadas na clínica (ver pergunta 2.a.), os cientistas ainda estão a utilizar este tipo de células estaminais para perceber mais acerca de como os nossos tecidos se desenvolvem, criar modelos que permitam estudar os mecanismos de doença em laboratório e desenvolver ou testar novos tratamentos.

Visite [A Closer Look at Stem Cells](#) para obter mais informações sobre células estaminais, investigação sobre células estaminais, e de que forma as células estaminais estão a ser utilizadas para perceber e tratar diferentes doenças, bem como alguns dos desafios neste domínio.

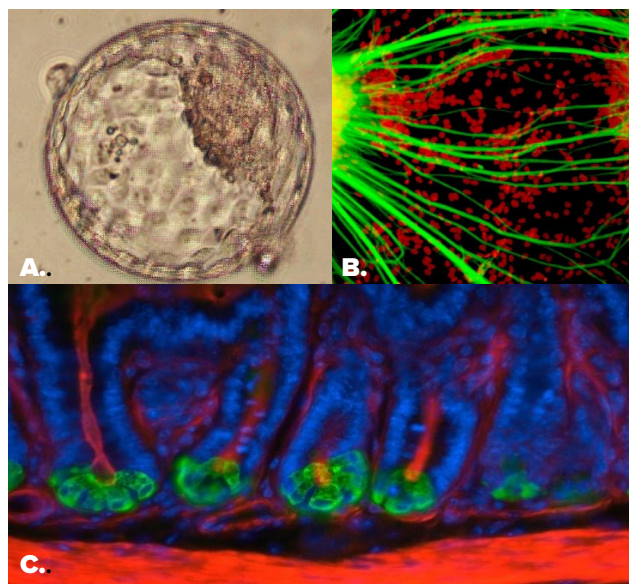


FIGURA 2. A. Este é um embrião humano na fase inicial do desenvolvimento embrionário, conhecido como blastocisto. [Crédito: Jenny Nichols, Universidade de Edimburgo, Reino Unido](#) **B.** As células estaminais pluripotentes induzidas foram transformadas em neurónios (verde), que podem ser utilizados para modelar doenças que afetam o cérebro ou identificar novos tratamentos. [Crédito: Laboratório Muotri, Universidade da Califórnia, San Diego, CA, EUA](#) **C.** Esta é uma secção do intestino de um rato. As células marcadas a verde representam as criptas do intestino, o local onde as células estaminais estão presentes. [Crédito: Paul Appleton, Universidade de Dundee, Reino Unido](#).

* Os termos-chave a laranja estão definidos no [Glossário](#) no final do documento.

1.b. O QUE SÃO TRATAMENTOS COM CÉLULAS ESTAMINAIS?

Um tratamento com células estaminais utiliza células estaminais ou tipos de células especializadas provenientes de células estaminais para substituir ou reparar as células ou tecidos danificados ou ausentes de um doente. As células estaminais ou as células delas derivadas podem ser do doente ou de um dador. As células podem ser manipuladas em laboratório, incluindo a adição ou remoção de genes, antes de serem colocadas no sangue do doente ou transplantadas diretamente no tecido danificado. Os tratamentos com células estaminais podem também envolver o recrutamento das células estaminais nos próprios tecidos do doente para auto-reparação. No entanto, as células estaminais pluripotentes indiferenciadas não são seguras para serem injetadas num doente, uma vez que podem provocar a formação de tumores.

Os tratamentos com células estaminais não são únicos.

Os tratamentos com células estaminais não são universais. Estes tratamentos terão de ser específicos para a doença ou condição patológica e para o tipo de células em causa, podendo ser específico do próprio doente. Assim, os doentes devem ser sempre cautelosos na seleção de clínicas que providenciam tratamentos com células estaminais.

Este guia descreve três categorias principais de tratamentos com células estaminais - **aprovados, experimentais e não comprovados** - e o que deve considerar antes de avançar.

Os **tratamentos com células estaminais aprovados** são apoiados por provas convincentes de eficácia e segurança, validados pelos organismos reguladores adequados (por exemplo, a Agência Europeia de Medicamentos (EMA), a Food and Drug Administration (FDA) nos Estados Unidos, a Pharmaceutical and Medical Device Agency no Japão (PMDA), a Therapeutic Goods Administration (TGA) na Austrália ou o Infarmed - Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I. P. (INFARMED, I.P. em Portugal) e são amplamente aceites pela comunidade médica mundial. **As primeiras doenças a serem seleciona-**

das para tratamentos com células estaminais aprovados consistiram em determinados tipos de cancro do sangue e algumas doenças imunológicas. Atualmente estão ativos vários ensaios clínicos que estudam a utilização de células estaminais para o tratamento de uma série de doenças, incluindo a diabetes, a doença de Parkinson, a degenerescência macular da idade, entre outras.

Antes de um tratamento ser aprovado, este é considerado um **tratamento experimental**. Um “tratamento experimental” é um termo utilizado para descrever tratamentos com células estaminais que estão a ser testados em ensaios clínicos, mas que ainda não estão aprovados, nem como eficazes, nem como seguros. Para se provar que é eficaz e seguro e receber a devida aprovação regulamentar, cada tratamento com células estaminais deverá ser submetido a testes rigorosos através de ensaios clínicos controlados e revistos quanto ao mérito científico por peritos independentes e aprovados por uma comissão de ética, de forma a garantir que os direitos e o bem-estar dos participantes são respeitados. Este processo pode demorar muitos anos e envolve várias etapas e múltiplos testes até o tratamento ser considerado eficaz, seguro e, finalmente, aprovado; ou, mesmo, ser considerado ineficaz ou inseguro. Assim, antes desta aprovação formal, um tratamento com células estaminais, mesmo em fase de ensaios clínicos, é considerado experimental. É importante compreender que testar um tratamento com células estaminais num ensaio clínico não garante que este se torne uma terapia estabelecida. Tal como acontece com outros medicamentos, muitos tratamentos com células estaminais testados em ensaios clínicos não são aprovados, não chegando, por isso, aos doentes devido a problemas ou falhas detetadas durante o ensaio clínico.

Os **“tratamentos” com células estaminais não comprovados** são procedimentos que não foram avaliados neste processo rigoroso de ensaios clínicos de várias etapas e, portanto, não demonstraram ser eficazes, nem seguros. Os **“tratamentos” com células estaminais não comprovados** estão atualmente a ser comercializados e administrados em todo o mundo por clínicas e fornecedores de células estaminais desacreditados e não regulamentados, sendo importante referir que estes podem causar danos físicos, psicológicos e/ou financeiros irreversíveis. Para mais informações, consulte [“Tratamentos” com células estaminais não comprovados](#).

1.c. QUAIS SÃO ALGUMAS DAS CONSIDERAÇÕES ESPECIAIS PARA OS TRATAMENTOS COM CÉLULAS ESTAMINAIS?

Os tratamentos que utilizam células estaminais ou células derivadas de células estaminais são, em grande parte, recentes, e há muito ainda por compreender.

Por exemplo, existem muitos desafios na preparação de células estaminais com fins terapêuticos. Ao contrário dos medicamentos tradicionais, que são sintetizados a partir de compostos químicos padronizados, os tratamentos com células estaminais são desenvolvidos a partir de células vivas. Garantir a uniformidade, eficácia e segurança do tratamento com células estaminais requer testes laboratoriais especializados que, em muitos casos, são característicos de cada tipo de célula a ser utilizado.

Para a maioria das doenças, ainda não se sabem muitos parâmetros: falta determinar quais as células que melhor funcionarão na reparação de um determinado tecido danificado ou num determinado doente; como assegurar que essas células chegam ao destino certo no organismo; quantas células serão necessárias administrar; como garantir que as células sobrevivem e se irão desempenhar a função pretendida.

Além disso, os efeitos secundários devem ser documentados e comunicados às entidades reguladoras. Também a segurança a longo prazo deverá ser determinada, uma vez que as células transplantadas podem permanecer durante muitos anos, potencialmente toda a vida, no corpo dos doentes. **Os doentes devem ter em atenção que, muitas clínicas que comercializam “tratamentos” com células estaminais não comprovadas não dispõem de normas rigorosas para monitorizar a saúde dos seus utentes a longo prazo, nem planos para determinar se estes estão a sofrer [efeitos secundários imprevistos](#). É de extrema importância perceber que a monitorização cuidadosa e o acompanhamento prolongado dos doentes fazem parte do tratamento com células estaminais.** Estes estudos são necessários para reduzir os danos físicos, psicológicos e/ou financeiros dos atuais e futuros pacientes.

2. TRATAMENTOS APROVADOS COM CÉLULAS ESTAMINAIS

2.a. QUE DOENÇAS OU CONDIÇÕES TÊM TRATAMENTOS COM CÉLULAS ESTAMINAIS BEM ESTABELECIDOS?

Os tratamentos com células estaminais aprovados são limitados. O **transplante de células estaminais do sangue**, também conhecido como **transplante de medula óssea** ou **transplante de células estaminais hematopoiéticas** é um tratamento com células estaminais já estabelecido e aprovado. Há mais de 50 anos que os médicos transferem células estaminais sanguíneas saudáveis para substituir as células doentes e tratar o paciente em questão. O transplante de células estaminais sanguíneas tem permitido a recuperação ao longo da vida de alguns pacientes com doenças sanguíneas e do sistema imunitário, bem como a

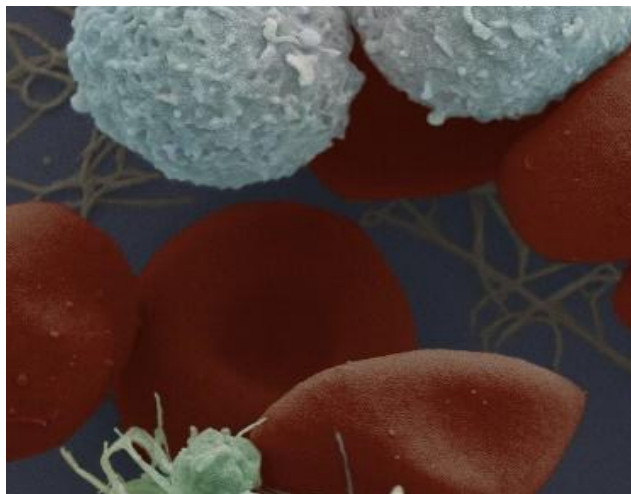


FIGURA 3. As células estaminais hematopoiéticas podem dar origem a todas as células presentes no sangue e no sistema imunitário. Os glóbulos brancos redondos nesta imagem são células imunitárias, que ajudam a combater infeções, e os glóbulos vermelhos são hemácias que contêm hemoglobina e transportam oxigénio pelo corpo. [Crédito: Anne Weston, Instituto Francis Crick, Reino Unido.](#)

perda adquirida da função da medula óssea e doenças metabólicas hereditárias (ver Figura 3). Saiba mais em [Doação de células estaminais sanguíneas](#).

As células estaminais do sangue podem ser recolhidas para transplante a partir da medula óssea, do sangue circulante ou do sangue do cordão umbilical. A utilização do transplante de células estaminais do sangue (células hematopoiéticas) para tratar leucemias e algumas doenças imunitárias está bem estabelecida, sendo eficaz e totalmente regulamentada. No entanto, existem clínicas predatórias que oferecem tratamentos não comprovados que afirmam tratar uma variedade de outras doenças utilizando células hematopoiéticas provenientes do cordão umbilical ou de células da placenta. Tenha atenção que, até à data, estes tratamentos não foram comprovados como eficazes ou seguros. Para saber mais, consulte [Sangue do cordão umbilical e utilizações para o tratamento de doenças](#).

As células estaminais específicas dos tecidos ou células estaminais adultas, como as que se encontram na pele e na córnea, desempenham também um papel nos transplantes de tecidos, podendo contribuir para a sua regeneração a longo prazo. Por exemplo, um tratamento com células estaminais aprovado pela EMA na Europa utiliza células estaminais do tecido ocular para [restaurar a visão](#) após lesões na córnea.

Neste momento, quaisquer outros tratamentos com células estaminais continuam a ser experimentais, estando por iniciar ou concluir os ensaios clínicos necessários ([ver pergunta 3.a](#)), ou faltando a aprovação regulamentar necessária para a sua utilização clínica. Para serem totalmente aprovados, os tratamentos com células estaminais deverão ser submetidos a testes científicos rigorosos para confirmação do resultado pretendido e segurança do doente.



FIGURA 4: O desenvolvimento de um novo tratamento médico pode levar anos ou décadas. Este processo de várias etapas começa num laboratório onde os cientistas realizam estudos pré-clínicos antes da realização de ensaios clínicos em seres humanos.

3. TRATAMENTOS EXPERIMENTAIS COM CÉLULAS ESTAMINAIS EM ENSAIOS CLÍNICOS

3.a. QUAL É O PROCESSO HABITUAL PARA O DESENVOLVIMENTO DE UM NOVO TRATAMENTO MÉDICO?

O processo para converter descobertas científicas em produtos ou processos destinados ao tratamento de doenças e à investigação de translação é um processo com várias etapas que pode levar anos ou décadas a concluir. Este processo inicia-se num laboratório onde cientistas realizam experiências para compreender como funcionam os organismos vivos e o que pode falhar em caso de doença ou lesão. Os cientistas desenvolvem hipóteses (ideias que são testadas através da experimentação laboratorial), realizam testes, analisam os resultados e tiram conclusões para determinar se as hipóteses estão corretas ou incorretas. Estas experiências estão na base de descobertas médicas importantes e são fundamentais para a realização de tratamentos clínicos. Para saber mais, visite [Como a ciência se torna medicina](#).

Para testar o modo como uma nova aplicação pode funcionar numa determinada doença ou lesão, são realizados estudos em modelos de doença num laboratório (ver Figura 4). Estes estudos podem ser realizados em células humanas cultivadas numa placa de cultura ou em modelos animais que reproduzem uma doença ou lesão que seja semelhante à condição humana. Estes estudos são designados por estudos pré-clínicos. Os estudos pré-clínicos devem ser revistos por peritos e os protocolos e resultados devem ser publicados em revistas especializadas e reproduzidos, idealmente, por outro laboratório independente. Estes procedimentos devem ser obrigatoriamente realizados antes de um novo tratamento experimental ser testado num ensaio clínico.

Depois de se demonstrar, através destes estudos pré-clínicos, que o tratamento experimental é suscetível de funcionar e de ser seguro, é solicitada autorização às

autoridades reguladoras e aos conselhos de ética para realizar ensaios clínicos em seres humanos. Em alguns casos, os novos tratamentos experimentais podem ser testados num número muito reduzido de pessoas antes de se iniciar o ensaio clínico propriamente dito. As estruturas regulamentares variam mediante as jurisdições em vigor aplicadas, o que tem impacto na forma como os tratamentos experimentais são testados.

Um **ensaio clínico** é um estudo de investigação regulamentado, concebido para responder a perguntas específicas sobre um novo tratamento experimental ou uma nova forma de utilizar um tratamento aprovado para outras aplicações. Os ensaios clínicos são utilizados para determinar se uma nova abordagem terapêutica produz de forma fiável o benefício médico pretendido e se é seguro.

Os ensaios clínicos comparam formalmente a eficácia e a segurança de um tratamento ou procedimento experimental com um controlo. Um **controlo** pode ser um tratamento existente e aprovado ou um **placebo**, se não existir alternativa. Idealmente, a pessoa que entra num ensaio clínico é designada aleatoriamente para receber o tratamento ou o controlo (conhecido como **ensaio aleatório**) e não saberá se recebe o tratamento experimental ou o controlo (conhecido como **ensaio clínico cego**). Isto reduz o enviesamento e aumenta as hipóteses de obter resultados significativos.

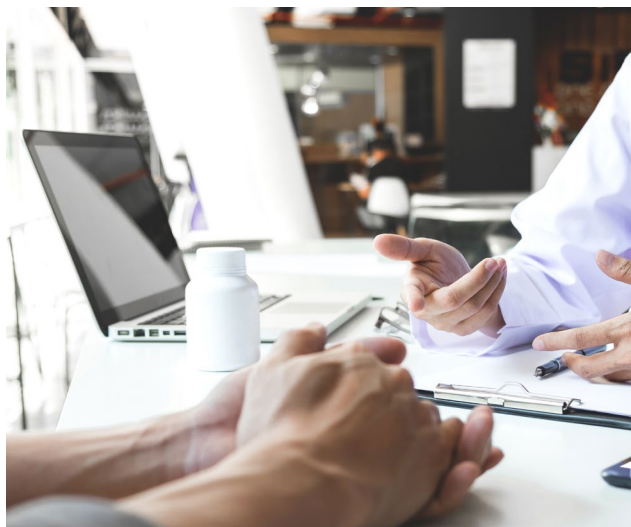


FIGURA 5: Os ensaios clínicos comparam formalmente a eficácia e a segurança de um tratamento experimental com um controlo. Antes de concordar em participar num ensaio clínico, os doentes devem consultar um médico de confiança e qualificado ou um especialista médico para garantir que os seus direitos como doente estão a ser respeitados.

Um ensaio bem concebido utilizará um ou mais parâmetros de avaliação, resultados que podem ser medidos objetivamente para determinar se o tratamento experimental é benéfico. Estes parâmetros são determinados antes do estudo e são utilizados para gerar provas credíveis sobre a eficácia e a segurança do tratamento.

À medida que a eficácia, segurança e eventuais efeitos secundários são esclarecidos e os métodos de administração são testados e revistos, o número de doentes no ensaio é gradualmente aumentado.

Os ensaios clínicos determinam se um potencial novo tratamento é eficaz e seguro.

Uma vez recolhidos os resultados do ensaio, uma agência reguladora nacional, como o Infarmed - Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I. P. (INFARMED, I.P.), ou regional, por exemplo, a EMA, a FDA, a PMDA ou a TGA, analisará os dados para determinar se a eficácia e a segurança do tratamento foram formalmente demonstradas e se este deverá ser, ou não, aprovado para utilização clínica nas doenças ou condições específicas para que foi testado.

Para saber mais, consulte a informação [Sobre os Ensaios Clínicos](#). Mais informações que explicam e descrevem os ensaios clínicos, elaboradas pelo National Institutes of Health (NIH, EUA), podem ser encontradas em [ClinicalTrials.gov](#).

3.b. COMO POSSO SABER MAIS SOBRE ENSAIOS CLÍNICOS COM CÉLULAS ESTAMINAIS?

Peça aconselhamento ao seu médico de família ou a um médico especialista sobre os ensaios clínicos disponíveis para a sua doença ou condição específica. São realizados diferentes ensaios clínicos, em diferentes instituições, em todo o mundo. Lembre-se de que os ensaios clínicos têm critérios de admissão rigorosos para garantir a segurança dos participantes e assegurar que os investigadores conseguem responder à sua pergunta de investigação. **Os ensaios clínicos credíveis terão supervisão ética e regulamentar, fornecendo aos participantes pormenores claros sobre o que está envolvido e um formulário de consentimento informado** ([ver pergunta 3.d](#)).

Existem bases de dados que permitem pesquisar os ensaios clínicos registados. Por exemplo, os interessados podem pesquisar na base de dados de ensaios clínicos registados pelo NIH em [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov). No entanto, é importante notar que nem todos os ensaios clínicos estão incluídos nestas bases de dados, nem a inclusão de um ensaio numa base de dados indica que foi aprovado ou autorizado a prosseguir por um organismo regulador.

A inclusão de um ensaio clínico numa base de dados não indica que o tratamento é eficaz ou que é aprovado ou supervisionado pela organização ou agência reguladora que publica a base de dados.

3.c. O QUE DEVO SABER SE ESTIVER A PENSAR INTEGRAR UM ENSAIO CLÍNICO QUE UTILIZE CÉLULAS ESTAMINAIS?

Consulte um médico ou um outro prestador de cuidados de saúde de confiança, com qualificações, competência e conhecimento na área, para se certificar de que existem estudos que indicam que o tratamento é suscetível de ser eficaz e seguro e que os seus direitos enquanto doente estão a ser assegurados. Deve confirmar que:

- Os estudos pré-clínicos ([ver pergunta 3.a](#)) foram publicados, revistos e repetidos por peritos na matéria.
- Os prestadores de serviços têm a aprovação de um conselho independente, como a Comissão de Ética para a Investigação Clínica (CEIC), para garantir que os riscos são os mínimos possíveis, que valem quaisquer potenciais benefícios e que os seus direitos estão a ser protegidos.
- Os fornecedores têm aprovação ou autorização de uma agência reguladora nacional ou regional, como o Infarmed, a EMA, a FDA, a PMDA ou a TGA, para a realização segura de ensaios clínicos ou utilização médica de um produto para esta doença.
- Os investigadores são qualificados para efetuar o estudo ou estudos em questão.

Alguns estudos de investigação de menor dimensão podem não necessitar deste nível de aprovação regulamentar, mas devem sempre ter a aprovação de uma comissão de revisão independente e o apoio da direção clínica e administrativa do local onde o procedimento será realizado.

Não é habitual pagar para participar num ensaio clínico. Cobrar a um participante para participar num ensaio clínico é frequentemente uma indicação de um estudo duvidoso ou que pode ter deficiências éticas, legais ou científicas. Do ponto de vista ético, estes ensaios chamados “pay-to-play” limitam os participantes apenas àqueles que podem pagar o tratamento e, além disso, podem não ter grupos de controlo porque é pouco provável que os doentes queiram pagar por um placebo. Em última análise, estas questões podem limitar seriamente as conclusões obtidas do mesmo. Estes “estudos” podem também ser um pretexto para cobrar aos doentes produtos não comprovados.

Não é habitual pagar para participar num ensaio clínico.

3.d. O QUE É UM FORMULÁRIO DE CONSENTIMENTO INFORMADO OU UM FORMULÁRIO DE CONSENTIMENTO DE TRATAMENTO?

Se lhe for proposto um tratamento experimental com células estaminais como parte de um ensaio clínico ou um “tratamento” com células estaminais não comprovado fora de um ensaio clínico, deverá receber um **Formulário de Consentimento Informado** ou Formulário de Consentimento de Tratamento. Este documento descreve o seu papel como paciente e as possíveis implicações de prosseguir com o tratamento experimental ou não comprovado. Deve fornecer uma descrição clara e pormenorizada do tratamento ou procedimento numa linguagem de fácil compreensão. Deve explicar as suas opções de tratamento, os riscos e os potenciais benefícios, bem como as suas responsabilidades e as dos outros doentes.

Deve receber sempre um formulário de consentimento informado para qualquer tratamento ou procedimento experimental com células estaminais. Este deve salientar a natureza experimental do tratamento e descrever os riscos específicos associados.

Um formulário de consentimento é uma boa forma de obter as informações necessárias para determinar se pretende avançar com o tratamento ou procedimento. **O utente é encorajado a manter um diálogo aberto com o seu prestador de cuidados de saúde e a certificar-se de que todas as suas perguntas são respondidas** (ver Figura 6). Depois de ter lido e compreendido o formulário de consentimento e de as suas perguntas terem sido respondidas através de uma discussão aprofundada com o prestador de cuidados de saúde, o formulário deve ser assinado por si (ou pelo seu representante legal) e pela pessoa que fornece as informações. Deve receber uma cópia deste formulário.

O formulário de consentimento informado ou de consentimento de tratamento para um ensaio clínico deve incluir respostas às seguintes perguntas:

- ☐ De que forma a participação neste ensaio clínico difere de receber o tratamento convencional atual?
- ☐ Qual é o tratamento ou procedimento experimental que está a ser testado?
- ☐ Qual é a questão de investigação que está a ser testada e porque é que esta investigação está a ser feita?
- ☐ Quais são os riscos associados ao tratamento experimental?
- ☐ Quais são as probabilidades de receber um tratamento diferente (placebo ou tratamento alternativo)?
- ☐ O ensaio clínico é um ensaio aleatório?
- ☐ Qual a duração prevista do ensaio?

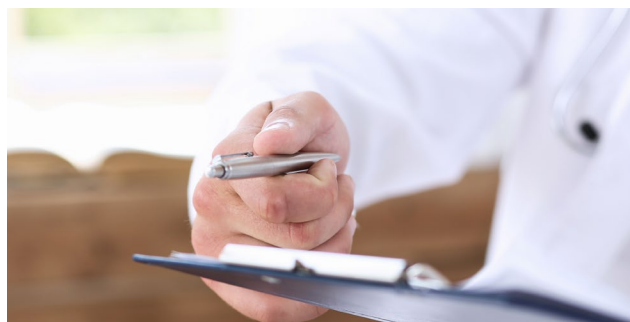


FIGURA 6: Deve receber um formulário de consentimento antes de participar num ensaio clínico ou de receber um “tratamento” com células estaminais não comprovado fora de um ensaio clínico. Este formulário deve ser redigido numa linguagem que possa compreender facilmente e fornecer-lhe as informações necessárias para determinar se pretende avançar com o tratamento.

- ☐ O que está envolvido no ensaio clínico antes, durante e depois do tratamento (incluindo procedimentos como colheitas de sangue)?
- ☐ Quais são os seus direitos e responsabilidades enquanto participante?
- ☐ Quem pode ver os seus dados de investigação/ médicos? Quais são os seus direitos de confidencialidade? Como são armazenados os dados e durante quanto tempo, e que dados serão partilhados consigo?
- ☐ Será informado de quaisquer novas informações que possam afetar a sua decisão de continuar a participar no ensaio clínico?
- ☐ Quais são as circunstâncias em que pode ser retirado do ensaio?
- ☐ Quem vai efetuar o ensaio?
- ☐ Quais são os dados de contacto da pessoa responsável, como o Investigador Principal do ensaio, e os dados de contacto de uma organização independente que protege os direitos dos doentes?
- ☐ Quantos participantes estão envolvidos no ensaio?
- ☐ Há algum custo associado à participação no ensaio?
- ☐ Existe alguma circunstância em que os participantes no ensaio clínico poderão ser compensados ou reembolsados pelos custos relacionados com a participação no ensaio?
- ☐ Quem pagará as despesas médicas se ocorrer uma complicação médica adversa?

O formulário de consentimento deve também clarificar o seu direito de se retirar a qualquer momento sem consequências e a revelação de quaisquer conflitos de interesse relevantes. Os documentos não devem incluir qualquer menção que isente o investigador, a instituição, o promotor ou os seus agentes de responsabilidade por negligência.



FIGURA 7. É fundamental ter uma conversa significativa com o seu prestador de cuidados de saúde de confiança e garantir que todas as suas perguntas são respondidas de forma satisfatória.

3.e. O QUE DEVO PERGUNTAR SE ESTIVER A PENSAR PARTICIPAR NUM ENSAIO CLÍNICO?

Deve fazer todas e quaisquer perguntas sobre o tratamento que lhe está a ser proposto e também procurar uma segunda opinião junto de outro prestador de cuidados de saúde, com qualificações, competência e conhecimentos relacionados, que possa dar respostas exatas e credíveis. **Não deve ser apressado a tomar uma decisão - certifique-se de que compreende todo o plano de tratamento e quaisquer riscos associados.**

Os médicos envolvidos devem ser especializados na sua doença, descrever opções de tratamento alternativas e fornecer um Formulário de Consentimento Informado ou um Formulário de Consentimento de Tratamento que deve responder a muitas das suas perguntas ([ver pergunta 3.d.](#)).

Seguem-se as perguntas recomendadas a fazer quando se considera participar num ensaio clínico:

O TRATAMENTO

- ☐ O tratamento é de rotina para esta doença ou condição específica?
- ☐ O tratamento faz parte de um ensaio clínico formal?
- ☐ Quais são as opções de tratamento alternativas para a minha doença ou condição?
- ☐ Se receber este tratamento, isso pode afetar a possibilidade de participar noutro ensaio clínico no futuro ou excluir-me de outros potenciais tratamentos?
- ☐ Quais são os possíveis benefícios que posso esperar? De que forma será avaliado e quanto tempo demorará?
- ☐ É provável que tenha benefícios pessoais em resultado da minha participação neste estudo, ou é provável que a minha participação beneficie futuros doentes e não a mim?
- ☐ Que outros medicamentos ou cuidados especiais poderei necessitar?
- ☐ De que forma é realizado este tratamento ou procedimento com células estaminais?
- ☐ Qual é a origem das células estaminais?
- ☐ De que forma as células estaminais são identificadas, isoladas e cultivadas?
- ☐ As células são diferenciadas em células especializadas antes do tratamento?
- ☐ De que forma é que as células são dirigidas para a parte correta do corpo?
- ☐ Se as células não são minhas, como é que o meu sistema imunitário pode evitar reagir às células transplantadas?
- ☐ Há alguma vantagem em participar num ensaio clínico que deva conhecer antes de decidir se quero participar?
- ☐ Há alguma desvantagem relacionada com a participação num ensaio clínico que deva conhecer antes de decidir se quero participar?

PROVAS CIENTÍFICAS E CONTROLO

- ☐ Quais são as provas científicas de que este tratamento ou procedimento com células estaminais pode tratar a minha doença ou condição? Onde é que foi publicado? A revista é credível? Os resultados são credíveis?
- ☐ Já houve ensaios clínicos anteriores? Que conclusões se retirou desses ensaios?
- ☐ Existe algum controlo independente do plano de tratamento, por exemplo, um Conselho de Revisão Institucional? Pode fornecer nomes de vários cientistas e clínicos qualificados que possam dar conselhos independentes?
- ☐ Existe alguma supervisão ou acreditação independente da clínica onde o tratamento será efetuado e das instalações onde as células são processadas? Esta acreditação ou supervisão é idónea? Podem fornecer informação adicional sobre a credibilidade desta instituição ou do tratamento que estou a considerar?
- ☐ Este tratamento dirigido a esta doença ou patologia específica foi aprovado por uma agência nacional ou regulamentar, como o Infarmed, a EMA, a FDA, a PMDA ou a TGA?

SEGURANÇA E EMERGÊNCIAS

- ☐ Quais são os riscos do tratamento em si e os possíveis efeitos secundários, tanto imediatos como a longo prazo?
- ☐ Existem outros riscos ao participar no ensaio?
- ☐ **Qual será o procedimento se surgir uma reação adversa (efeito secundário negativo)?** Quem é a pessoa a contactar em caso de emergência ou lesão relacionada com o ensaio? Quem prestará cuidados médicos de emergência? O que devo fazer se não conseguir entrar em contacto com alguém da clínica em caso de emergência?
- ☐ A clínica está preparada adequadamente para lidar com emergências, como uma reação alérgica grave?
- ☐ O que acontecerá se já não estiver na clínica quando tiver um efeito secundário grave?

- ☐ A clínica manterá a comunicação e fornecerá acompanhamento durante um período de tempo alargado, potencialmente de meses ou mesmo anos, depois de me inscrever neste ensaio?
- ☐ Que tratamento à posteriori será efetuado e durante quanto tempo? O que será necessário fazer?
- ☐ Quem é o médico responsável pelo tratamento? Que formação especializada possui este médico? Qual a formação dos outros médicos e do pessoal técnico de apoio?
- ☐ Quem é responsável pelo pagamento dos custos dos cuidados de saúde se eu tiver uma emergência médica e, posteriormente, necessitar de cuidados médicos adicionais?
- ☐ Qual seria o custo do tratamento de emergência se algo corresse mal? **Quem prestaria os cuidados de emergência e quem os pagaria?** Antes de viajar ou de aceitar um tratamento, informe-se sobre os custos cobertos pelo seu seguro de viagem, pelo seu prestador de cuidados de saúde ou pelo programa nacional de saúde, em que circunstâncias o fazem e em que países.
- ☐ **O que acontece se houver uma complicação grave que resulte numa incapacidade prolongada? Quem é responsável pelo pagamento dos custos associados?**
- ☐ Se tiver de recorrer a um tribunal e procurar soluções através de litígios, quem é responsável pelo pagamento das custas judiciais?

DIREITOS DOS DOENTES

- ☐ Quais são os meus direitos enquanto participante? Por exemplo, em termos de confidencialidade, o meu direito a ser informado de quaisquer novas informações que possam surgir e a possibilidade de me retirar do processo de tratamento?
- ☐ Quem tem acesso aos meus dados de saúde e com que frequência posso aceder aos meus próprios dados de saúde?
- ☐ A que indemnização tenho direito se for ferido em resultado da participação neste ensaio?
- ☐ Se me lesionar, os investigadores entenderão que isso aconteceu porque participei no ensaio ou o ónus da prova recairá sobre mim para provar que a lesão resultou da minha participação no ensaio?

CUSTO

- ☐ Há algum custo associado à minha participação? Em caso afirmativo, qual o custo? Em que outros custos irei incorrer? Note-se que não é habitual alguém pagar para participar num ensaio clínico (para além, talvez, da viagem e de outras despesas pessoais) e, de facto, cobrar taxas aos participantes na investigação para participarem num ensaio clínico é, muitas vezes, um “sinal de alerta” de um estudo problemático ou que pode ter falhas éticas, legais ou científicas.

4. “TRATAMENTOS” COM CÉLULAS ESTAMINAIS NÃO COMPROVADOS

4.a. O QUE É UM “TRATAMENTO” COM CÉLULAS ESTAMINAIS NÃO COMPROVADO?

Um tratamento não comprovado é um tratamento experimental que é novo, não testado ou diferente do tratamento médico convencional e que não foi submetido a um processo regulamentar adequado. Este tratamento difere dos tratamentos experimentais que estão a ser testados em ensaios clínicos com supervisão regulamentar adequada e dos tratamentos com células estaminais aprovados que demonstraram ser eficazes e seguros para tratar uma determinada doença ou condição mediante um processo formal e regulamentado de ensaios clínicos ([ver pergunta 3.a](#)).


O facto de um tratamento ser experimental não significa automaticamente que faça parte de um estudo de investigação ou de um ensaio clínico.

Os pacientes devem estar cientes de que **muitas clínicas e fornecedores de células estaminais estão atualmente a comercializar e a administrar “tratamentos” com células estaminais não comprovados, que não são apoiados por uma ciência válida e que não demonstraram tratar a doença em particular ou ser seguros.** Os recursos para ajudar os pacientes e familiares a identificar “tratamentos” com células estaminais não comprovados e alegações infundadas podem ser encontrados em [Unproven Stem Cell “Treatments” \(Tratamentos com células estaminais não comprovados\)](#).

4.b. QUE CUIDADOS DEVO TER SE ESTIVER A CONSIDERAR UM “TRATAMENTO” COM CÉLULAS ESTAMINAIS NÃO COMPROVADO?

Embora a investigação esteja em curso, a maioria dos tratamentos com células estaminais são experimentais e não demonstraram ser eficazes e seguros. Há certas informações que deve investigar se estiver a considerar um “tratamento” com células estaminais não comprovado fora de um ensaio clínico regulamentado, incluindo uma descrição detalhada do tratamento, a ciência que o suporta, o resultado esperado e os riscos.

Alguns dos principais sinais de alerta de uma empresa que anuncia um “tratamento” com células estaminais não comprovado, incluem:

 **Alegações baseadas em testemunhos de outros pacientes.** Desconfie de clínicas baseadas em experiências de pacientes em vez de estudos devidamente controlados. É fundamental avaliar a resposta de um paciente ao tratamento num estudo cego, em que o mesmo não sabe se recebeu ou não o tratamento com células estaminais. Por vezes, os doentes podem observar um benefício perceptível após um tratamento que pode não ser o resultado do próprio tratamento. Os doentes podem também ter registado benefícios não relacionados com o tratamento. **A menos que tenha havido uma investigação clínica cuidadosamente avaliada, é difícil determinar a eficácia do tratamento e o que um doente pode esperar.**

! Várias doenças tratadas com as mesmas células. Os tratamentos com células estaminais não são “universais”. É expectável que diferentes doenças, como a doença de Parkinson e as doenças cardíacas, sejam tratadas com diferentes tipos de células e, por conseguinte, com diferentes tratamentos com células estaminais, adequados à respetiva doença. Além disso, o seu tratamento deve ser efetuado por um médico especialista na sua doença ou patologia e não noutra.

! A origem das células ou a forma como o tratamento será efetuado não está claramente documentada. Esta informação deve ser claramente explicada num Formulário de Consentimento Informado ou de Consentimento de Tratamento (ver pergunta 3.d.). Além disso, deve existir um protocolo, que pode ser considerado como o manual de instruções do tratamento, que descreve o tratamento em pormenor para o médico. Embora possa não lhe ser disponibilizado automaticamente, deve poder solicitar o protocolo. Para um ensaio clínico ou tratamento experimental, os protocolos devem ter sido revistos quanto ao mérito científico por peritos independentes e aprovados por um comité de ética para garantir que os direitos e o bem-estar dos participantes serão respeitados. Ao considerar um tratamento com células estaminais, pergunte quem aprovou este protocolo e quando expira a sua aprovação.

! Afirma que não há riscos. Qualquer tratamento envolve sempre um risco. A informação sobre os possíveis riscos deve estar disponível na investigação pré-clínica ou clínica.

! Custo elevado do tratamento ou custos não justificados. Não é habitual que alguém pague para participar num ensaio clínico. Pondere quais os custos envolvidos no “tratamento”. Informe-se sobre os custos adicionais para além da taxa de administração do “tratamento”, tais como os custos dos cuidados médicos de emergência no caso de efeitos adversos, especialmente se estiver fora do seu país. Informe-se sobre os custos que o seu programa nacional de saúde ou o seu fornecedor de seguros de saúde cobrirão, em que circunstâncias e em que países.

! Garantias de que pode armazenar as suas células estaminais ou as do seu filho para utilização terapêutica futura. Embora existam algumas utilizações legítimas para as células armazenadas, deve estar ciente de que existem clínicas de células estaminais e bancos de sangue/tecidos não regulamentados que fazem falsas promessas sobre tratamentos com células estaminais e promovem o armazenamento de células estaminais durante anos, ou mesmo décadas, para utilizações futuras não comprovadas ou direcionadas a um vasto espectro de doenças não relacionadas com o tipo de células armazenadas. Você e a sua família devem estar cientes de que armazenar células durante um período de tempo indefinido para um potencial “tratamento” futuro pode ser dispendioso e que não existem garantias de que as células possam ser utilizadas ou de que o tratamento futuro anunciado se revele seguro e eficaz. Para saber mais, consulte [As aplicações clínicas da doação e armazenamento de células estaminais](#).

! Afirma que a aprovação regulamentar não é necessária. Em muitas jurisdições, a supervisão regulamentar é necessária se as células forem manipuladas até um certo ponto (ver a definição de [manipulação mínima](#), da TGA, como um exemplo) ou se as células forem utilizadas de uma forma diferente da forma como normalmente funcionariam (ver a [definição de utilização homóloga](#), da TGA, como um exemplo) ou se as células forem utilizadas de uma forma diferente da forma como normalmente funcionariam (ver a [definição de utilização homóloga](#), da TGA, como um exemplo). Nestes casos, os tratamentos com células estaminais requerem uma supervisão regulamentar, mesmo que as células sejam colhidas e devolvidas ao próprio doente.

4.c. O QUE DEVO PERGUNTAR ANTES DE CONSIDERAR UM “TRATAMENTO” COM CÉLULAS ESTAMINAIS NÃO COMPROVADO?

Deve fazer todas e quaisquer perguntas sobre o “tratamento” com células estaminais não comprovado que lhe está a ser proposto e procurar uma segunda opinião de um médico ou prestador de cuidados de saúde, com qualificações, competência e conhecimentos suficientes sobre células estaminais e investigação clínica. Não deve ser apressado ou financeiramente seduzido a tomar uma decisão - certifique-se de que compreende todo o plano de tratamento e quaisquer potenciais riscos associados.

Os médicos envolvidos devem ser especializados na sua doença ou estado de saúde, descrever outras opções de tratamento e discutir todos os riscos que corre ao ser submetido a um procedimento que não foi provado ser seguro ou eficaz. **Deverá ser-lhe fornecido um Formulário de Consentimento Informado ou um Formulário de Consentimento para Tratamento que deverá responder a muitas das suas questões** ([ver pergunta 3.d.](#)). Deve receber um formulário de consentimento para qualquer “tratamento” com células estaminais não comprovado, mesmo que não faça parte de um ensaio clínico. O formulário deve sublinhar a natureza não comprovada do tratamento e descrever os riscos específicos associados ao(s) tratamento(s) com células estaminais. Este formulário deve ser assinado por si (ou pelo seu representante legal) e pela pessoa que fornece a informação. Deverá receber uma cópia deste formulário.

Seguem-se as perguntas recomendadas a fazer quando se considera um “tratamento” com células estaminais não comprovado

O “TRATAMENTO”

- ☐ O “tratamento” é de rotina para esta doença ou condição específica?
- ☐ Quais são as opções de tratamento alternativas para a minha doença ou condição?

- ☐ Se fizer este “tratamento”, isso poderá afetar a minha participação num ensaio clínico ou excluir-me de outros potenciais tratamentos?
- ☐ Quais são os possíveis benefícios que posso esperar? Como serão avaliados e quanto tempo demorará?
- ☐ Que outros medicamentos ou cuidados especiais poderei necessitar?
- ☐ De que forma é que isto se enquadra no meu plano de tratamento a longo prazo?
- ☐ De que forma é realizado este “tratamento” com células estaminais?
- ☐ Qual é a origem das células estaminais?
- ☐ Como é que as células estaminais são identificadas, isoladas e cultivadas?
- ☐ As células são diferenciadas em células especializadas antes do “tratamento”?
- ☐ De que forma é que as células são dirigidas para a parte correta do organismo?
- ☐ Se as células não são minhas, de que forma é que o meu sistema imunitário pode evitar reagir às células transplantadas?

PROVAS CIENTÍFICAS E CONTROLO

- ☐ Quais são as provas científicas mais recentes, dos testes preliminares realizados com este “tratamento”? Esta clínica efetuou, ela própria, os estudos pré-clínicos ou ensaios clínicos com este produto? Quais foram os resultados? Se não, porquê?
- ☐ Existe algum controlo independente do plano de tratamento? Pode indicar nomes de vários cientistas e médicos que possam dar conselhos independentes?
- ☐ Existe alguma supervisão ou acreditação independente da clínica onde o “tratamento” será efetuado e das instalações onde as células são processadas? Em caso afirmativo, essa supervisão ou acreditação é credível? Devo confiar nela de alguma forma quando tomar decisões sobre a minha saúde e cuidados de saúde?

- ☐ Este tratamento foi aprovado por uma agência reguladora nacional ou regional, como o In-farmed, a EMA, a FDA, a PDMA ou a TGA, para esta doença ou patologia específica?

SEGURANÇA E EMERGÊNCIAS

- ☐ Quais são os riscos do procedimento e os possíveis efeitos secundários imediatos e a longo prazo?
- ☐ O que será feito se surgir uma reação adversa (efeito secundário negativo)? Quem é a pessoa a contactar em caso de emergência ou lesão relacionada com o tratamento? Quem prestará cuidados médicos de emergência? O que devo fazer se não conseguir entrar em contacto com alguém da clínica em caso de emergência?
- ☐ A clínica está adequadamente preparada para lidar com emergências, como uma reação alérgica grave?
- ☐ Que tratamento de acompanhamento será efetuado e durante quanto tempo? O que precisarei fazer?
- ☐ Quem é o médico responsável pelo “tratamento”? Que formação especializada tem esse médico? Qual é a formação dos outros médicos e do pessoal técnico de apoio?

DIREITOS DOS DOENTES

- ☐ Quais são os meus direitos enquanto participante - por exemplo, a confidencialidade, o meu direito a ser informado de quaisquer novas informações que possam surgir, o meu direito a retirar-me do processo de tratamento?
- ☐ Se ficar ferido em consequência deste “tratamento”, a que indemnização tenho direito? O que terei de fazer para obter essa indemnização? Terei de ir a tribunal e avançar com uma ação judicial?

CUSTO

- ☐ Existem custos para o tratamento? Em caso afirmativo, o que é que isso inclui? Que outros custos terei de suportar?
- ☐ Quais serão os custos de um tratamento de urgência se surgirem complicações?
- ☐ Quem prestaria os cuidados de emergência e quem os pagaria?
- ☐ **O que acontece se houver uma complicação grave que resulte numa incapacidade prolongada? Quem é responsável pelo pagamento dos custos associados?**
- ☐ Se tiver de recorrer a um tribunal e procurar soluções através de litígios, quem é responsável pelo pagamento das custas judiciais?
- ☐ Antes de viajar ou de aceitar um tratamento, informe-se sobre os custos que o seu seguro de viagem, o seu prestador de cuidados de saúde ou o seu programa nacional de saúde cobrem, em que circunstâncias e em que países.
- ☐ Como posso obter uma pré-aprovação da minha seguradora ou plano de saúde e tomar medidas para evitar receber faturas médicas inesperadas e indesejadas?

4.d. DEVO PEDIR UMA SEGUNDA OPINIÃO?

É aconselhado fazer todas e quaisquer perguntas sobre o “tratamento” que lhe está a ser proposto e a procurar obter segundas opiniões de médicos independentes e qualificados. O seu médico deve apoiá-lo e ajudá-lo no processo de obtenção de uma segunda opinião. Os prestadores de cuidados primários devem facilitar o acesso a especialistas para ajudar os doentes a tomar decisões mais informadas sobre os seus cuidados. Os registos médicos, protocolos de investigação, protocolos de tratamento e documentos de consentimento informado devem ser fornecidos à pessoa que dá uma segunda opinião.

Para mais informações, visite [A Closer Look at Stem Cells](#).

GLOSSÁRIO

Termo	Definição
Tratamentos com células estaminais aprovados	Tratamentos baseados em provas convincentes de eficácia e segurança, aprovados pelos organismos reguladores adequados e amplamente aceites pela comunidade médica mundial. Atualmente, para além do tratamento de várias leucemias e linfomas e de determinadas doenças imunológicas, existem muito poucas doenças para as quais as terapias baseadas em células estaminais estão estabelecidas como tratamentos eficazes e seguros.
Ensaio clínico cego	Os participantes não sabem se recebem o tratamento que está a ser avaliado, um tratamento de controlo ou um placebo.
Transplante de células estaminais do sangue/transplante de medula óssea	O transplante de medula óssea, o transplante de células estaminais do sangue ou o transplante de células estaminais hematopoiéticas é um dos únicos tratamentos com células estaminais que se provou ser eficaz e seguro. Através do transplante de células estaminais sanguíneas saudáveis, estas podem substituir as células doentes, produzindo potencialmente todas as futuras células sanguíneas e imunitárias e tratando o doente. Os transplantes de células estaminais sanguíneas são frequentemente utilizados para tratar doenças do sangue (como cancros ou doenças dos glóbulos vermelhos), doenças de insuficiência da medula óssea e certas doenças que resultam da falta ou disfunção de células imunitárias. Doenças metabólicas hereditárias também podem ser tratadas através de transplante.
Ensaio clínico	Um estudo de investigação concebido para responder a perguntas específicas sobre um novo tratamento, ou uma nova forma de utilização de um tratamento atual, e que estabelece se o potencial tratamento é eficaz e seguro.

Termo	Definição
Células estaminais	Células únicas do nosso corpo, definidas por duas propriedades: podem dividir-se indefinidamente e podem gerar vários tipos de células especializadas, como as células da pele, dos músculos ou do sangue, entre outros.
Célula estaminal pluripotente (PSC)	Células estaminais que se podem diferenciar em todos os tipos de células do corpo. As PSC incluem células estaminais embrionárias e células estaminais pluripotentes induzidas.
Formulário de consentimento informado ou de tratamento	Documento que descreve o papel de um paciente ao receber um tratamento experimental e as possíveis implicações de prosseguir com o tratamento experimental ou não aprovado. Deve fornecer uma descrição clara e pormenorizada do tratamento ou procedimento, numa linguagem simples e explicar as opções de tratamento do paciente, os seus direitos e responsabilidades e os riscos que incorre.
Tratamento/procedimento experimental	Termos frequentemente utilizados para descrever tratamentos com células estaminais que estão a ser testados em ensaios clínicos, mas que não estão aprovados como eficazes e seguros. Até à aprovação formal, um tratamento com células estaminais que está a ser testado em ensaios clínicos é considerado experimental. É importante compreender que testar um tratamento com células estaminais em ensaios clínicos não garante que este se irá tornar uma terapia aprovada e estabelecida.
Placebo	Tratamento inativo utilizado como comparação para ajudar os investigadores a determinar se um tratamento é mais eficaz do que não receber qualquer tratamento.
Ensaio clínico aleatório	Os participantes são selecionados aleatoriamente para receberem diferentes intervenções, com o objetivo de reduzir o enviesamento.
“Tratamento” com células estaminais não comprovado	Tratamento não testado em ensaios clínicos formais ou regulamentados, não demonstrando, por isso, ser eficaz ou seguro. Atualmente, os “tratamentos” com células estaminais não comprovados estão a ser comercializados e administrados por clínicas e fornecedores de células estaminais em todo o mundo que operam fora dos padrões éticos reconhecidos. A administração de “tratamentos” não comprovados pode causar danos físicos, psicológicos e/ou financeiros irreversíveis.

Recursos da ISSCR

Sítio Web de educação pública da ISSCR, Sobre as células estaminais:

<https://www.aboutstemcells.org/>

9 factos importantes sobre tratamentos com células estaminais: <https://www.aboutstemcells.org/info/nine-things-to-know-about-stem-cell-treatments>

Informações específicas sobre doenças: <https://www.aboutstemcells.org/disease-specific-information>

Glossário sobre células estaminais: <https://www.aboutstemcells.org/info/glossary>

Acerca dos ensaios clínicos: <https://www.aboutstemcells.org/clinical-trials>

Tipos de células estaminais: <https://www.aboutstemcells.org/info/stem-cell-types>

Como a ciência se torna medicina: <https://www.aboutstemcells.org/science-to-medicine>

Doação e bancos de células estaminais: <https://www.aboutstemcells.org/donation-banking>

Sangue do cordão umbilical e utilizações no tratamento de doenças: <https://www.aboutstemcells.org/info/cord-blood>

Recursos para ensaios clínicos

Recursos para ensaios clínicos: <https://www.clinicaltrials.gov/>

Como funcionam os ensaios clínicos: <https://www.cancer.gov/research/participate/clinical-trials/how-trials-work>

O que é um placebo e porque é utilizado em ensaios clínicos: <https://health.ucdavis.edu/ctsc/area/clinicaltrials/documents/What-is-a-Placebo.pdf>

Termos comuns que deve saber quando se inscreve num ensaio clínico: <https://jcto.weill.cornell.edu/patients/clinical-trials-common-terms-to-know>

Recursos adicionais

Interpretação de Manipulação Mínima e Uso Homólogo:

Infarmed: <https://www.infarmed.pt/>

AU: <https://www.tga.gov.au/method-preparation-interpretation-minimal-manipulation>

EMA: https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-cats-views-classification-atmps-homologous-use-nicolas-ferry_en.pdf

FDA: <https://www.fda.gov/media/109176/download>

A Europa aprova o Holoclar®, o primeiro medicamento baseado em células estaminais: <https://www.eurostemcell.org/story/europe-approves-holoclar-first-stem-cell-based-medical-product>

O que são terapias não comprovadas?: <https://www.eurogct.org/what-are-unproven-therapies>

SPCE-TC (Sociedade Portuguesa de Células Estaminais e Terapias Celulares: <http://spce-tc.org/>

Agradecimentos

Clare Blackburn, PhD, Instituto de Regeneração e Reparação e Instituto de Investigação em Células Estaminais, Universidade de Edimburgo, Reino Unido

Anna Couturier, PhD, EuroGCT, Universidade de Edimburgo, Reino Unido

Kym Kilbourne, Sociedade Internacional para a Investigação em Células Estaminais, EUA

Jack Mosher, PhD, Sociedade Internacional para a Investigação em Células Estaminais, EUA

Megan Munsie, PhD, Universidade de Melbourne e Murdoch Children's Research Institute, Austrália

Julie Perlin, PhD, Ten Bridge Communications, EUA

Kendra Prutton, PhD, Sociedade Internacional para a Investigação em Células Estaminais, EUA

Leigh Turner, PhD, Universidade da Califórnia, Irvine, EUA

Editores e Revisores da Tradução do Documento em Língua Portuguesa

Inês Figueira, PhD, NOVA Institute for Medical Systems Biology, Universidade NOVA de Lisboa, Lisboa, Portugal

José Manuel Inácio, PhD, NOVA Medical School, Universidade NOVA de Lisboa, Lisboa, Portugal

Liliana Bernardino, PhD, Universidade da Beira Interior, Covilhã, Portugal

Ana Paula Terrasso, PhD, iBET - Instituto de Biologia Experimental e Tecnológica, Oeiras, Portugal

Susana Solá, PhD, iMed.Ulisboa, Research Institute for Medicines, Faculty of Pharmacy, Universidade de Lisboa, Lisboa, Portugal

Maria Arez, PhD, Instituto de Bioengenharia e Biociências (iBB), Instituto Superior Técnico, Universidade de Lisboa, Lisboa, Portugal

João Camões dos Santos, MSc, Instituto de Bioengenharia e Biociências (iBB), Instituto Superior Técnico, Universidade de Lisboa, Lisboa, Portugal