

GUIA DA ISSCR PARA TRATAMENTOS COM CÉLULAS- TRONCO



INTERNATIONAL
SOCIETY FOR
STEM CELL
RESEARCH

Outubro 2025

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

Índice

Introdução	3
1. Sobre as células-tronco e os tratamentos com células-tronco	4
1.a. O que são células-tronco?	4
1.b. O que são tratamentos com células-tronco?	5
1.c. Quais são algumas das considerações especiais para os tratamentos com células-tronco?	6
2. Tratamentos com células-tronco aprovados	6
2.a. Quais doenças ou condições têm tratamentos bem estabelecidos com células-tronco?	6
3. Testando tratamentos experimentais com células-tronco em estudos clínicos	7
3.a. Qual é o processo usual de desenvolvimento de um novo tratamento médico?	7
3.b. Como posso saber mais sobre os estudos clínicos com células-tronco?	9
3.c. O que devo analisar se estiver pensando em testar um tratamento experimental com células-tronco por meio de um estudo clínico?	9
3.d. O que é um termo de consentimento informado ou termo de consentimento de tratamento?	10
3.e. O que devo perguntar ao considerar participar de um estudo clínico?	11
4. “Tratamentos” com células-tronco não comprovados	14
4.a. O que é um “tratamento” com células-tronco não comprovado?	14
4.b. Com o que devo ter cuidado se estiver considerando um “tratamento” com células-tronco não comprovado?	14
4.c. O que devo perguntar antes de considerar um “tratamento” com células-tronco não comprovado?	15
4.d. Devo obter uma segunda opinião?	17
Glossário	18
Recursos para pacientes	20

Líder do projeto de tradução: Juliana Borsoi, Universidade de São Paulo

A tradução dos materiais da International Society for Stem Cell Research (ISSCR) para idiomas diferentes do inglês é feita unicamente como uma conveniência para os membros de nossa comunidade global e para cientistas em todo o mundo. A ISSCR e seus parceiros tentaram fornecer uma tradução precisa do material original em inglês, mas pequenas diferenças podem existir. Referências que identificam o documento original em inglês estão disponíveis na maioria dos documentos em outros idiomas. Alguns textos podem não ser traduzidos; isso inclui algumas páginas da Web (URLs), aplicações, gráficos e documentos em PDF vinculados.

Nem a ISSCR nem qualquer agência, oficial ou funcionário da ISSCR garantem a precisão, confiabilidade ou atualidade de qualquer informação traduzida por essas partes e não serão responsabilizados por quaisquer perdas na precisão, confiabilidade ou atualidade de tais informações. Qualquer pessoa ou entidade que confie nas informações traduzidas o faz por sua própria conta e risco.

Os materiais traduzidos permanecem material protegido por direitos autorais e não devem ser reproduzidos sem a permissão da ISSCR. A permissão pode ser obtida mediante a apresentação de um pedido por escrito à ISSCR, 630 Davis St, Suite 200, Evanston, IL 60201, EUA, ou por email para isscr@isscr.org.

INTRODUÇÃO

Créditos: McClendon, Pinto, Stupp, Universidade Northwestern e NIH.

A International Society for Stem Cell Research (ISSCR) é uma sociedade profissional global sem fins lucrativos que promove a excelência na ciência das células-tronco e na medicina regenerativa e suas aplicações à saúde humana. É fundamental para a missão da Sociedade compartilhar **informações cientificamente precisas** para informar pacientes e familiares sobre o estado atual da pesquisa com células-tronco e possíveis tratamentos. A ISSCR tem como objetivo aumentar a segurança dos pacientes e a saúde pública por meio de nossos esforços para **promover pesquisas legítimas com células-tronco e tratamentos confiáveis com células-tronco**.

Muitos de nós já ouvimos falar sobre o extraordinário potencial que as células-tronco têm para o tratamento de uma ampla gama de doenças e condições. Embora as pesquisas com células-tronco em todo o mundo tenham levado a novas descobertas com o potencial de melhorar a saúde humana, ainda é necessário um trabalho considerável para traduzir as pesquisas em terapias específicas, eficazes e seguras.

A maioria das descobertas médicas é baseada em anos de pesquisas realizadas em universidades e empresas farmacêuticas e de biotecnologia. É um processo demorado para transformar as descobertas laboratoriais em tratamentos clinicamente seguros e eficazes. Como qualquer nova terapia, incluindo os medicamentos tradicionais, os tratamentos com células-tronco devem ser avaliados em estudos clínicos e devem atender a determinados padrões antes de receberem a aprovação dos órgãos reguladores nacionais para o tratamento de pacientes.

A ISSCR está cada vez mais preocupada com clínicas e provedores que estão comercializando e administrando tratamentos com células-tronco que não foram testados quanto à segurança ou aprovados pelos órgãos reguladores. Na verdade, muitos tratamentos vendidos por clínicas de células-tronco inescrupulosas não demonstraram ser eficazes ou seguros por meio de uma ciência rigorosa ou, em muitos casos, nem mesmo demonstraram conter células-tronco.

A maioria desses “tratamentos” não foi comprovada e tem o potencial de causar danos. Embora os estudos iniciais pareçam mostrar potencial, são necessários testes científicos subsequentes em estudos clínicos, que podem revelar que a abordagem que está sendo avaliada é ineficaz ou tem efeitos colaterais negativos imprevistos. É importante saber o que deve ser observado antes de considerar um tratamento com células-tronco.

Os tratamentos com células-tronco devem ser avaliados quanto à eficácia e segurança em estudos clínicos regulamentados antes de receberem aprovação.

O que isso realmente significa para você como paciente, defensor do paciente, prestador de serviços de saúde, amigo ou membro da família? Esperamos responder a algumas de suas perguntas sobre células-tronco e tratamentos com células-tronco e fornecer os recursos que você e seu médico ou especialista precisam para tomar as melhores decisões em relação ao tratamento.

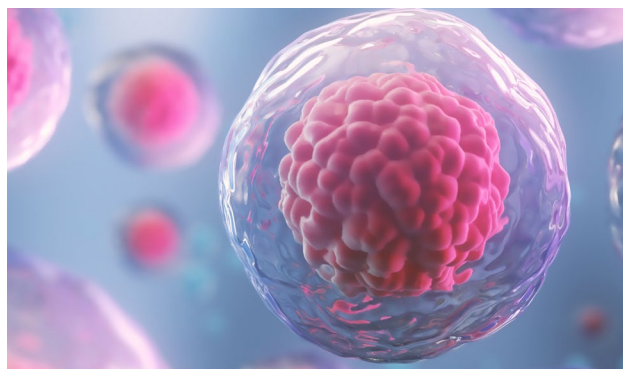


Figura 1. Atualmente, “tratamentos” com células-tronco não comprovados estão sendo comercializados e administrados por clínicas e provedores de células-tronco inescrupulosos em todo o mundo. Este guia ajudará os pacientes a entender o que devem procurar ao considerar um tratamento com células-tronco.

1. SOBRE AS CÉLULAS-TRONCO E OS TRATAMENTOS COM CÉLULAS-TRONCO

1.a. O QUE SÃO CÉLULAS-TRONCO?

As **células-tronco*** são células singulares definidas por duas propriedades: podem se dividir para produzir mais de si mesmas e podem gerar tipos de células especializadas, como células da pele, musculares ou sanguíneas.

Há dois tipos de células-tronco: células-tronco pluripotentes e células-tronco de tecidos específicos (ou adultas).

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

As células-tronco pluripotentes induzidas (iPSC) são células produzidas em laboratório por meio da conversão de células de tecidos específicos, como as células da pele, em células com as mesmas propriedades das células-tronco embrionárias. Assim como as células-tronco embrionárias, as iPSCs podem dar origem a todos os tipos de células do corpo adulto (consulte a Figura 2B).

As células-tronco pluripotentes são incrivelmente valiosas porque podem ser cultivadas em laboratório em números ilimitados e podem ser usadas para modelar o desenvolvimento e doenças, testar a eficácia de novos medicamentos e desenvolver terapias celulares para tratamento. Você pode saber mais sobre como as células-tronco pluripotentes são doadas e seus usos em [Transforming Scientific Research](#).

As células-tronco de tecidos específicos (também chamadas de células-tronco somáticas ou adultas) são células-tronco encontradas em muitos dos nossos órgãos e tecidos adultos. Elas podem gerar alguns ou todos os tipos de células do tecido do órgão, mas não podem dar origem a todos os tipos de células do corpo adulto. Esse tipo de célula-tronco é responsável por repor as células que

compõem o órgão ou tecido específico em que se encontra. Por exemplo, as células-tronco sanguíneas substituem constantemente as células do sangue e do sistema imunológico, e as células-tronco intestinais reabastecem o intestino e o cólon (consulte a Figura 2C). Embora já utilizemos certas células-tronco de tecidos específicos na clínica (consulte a pergunta 2.a.), os cientistas também estão usando esse tipo de célula-tronco para aprender sobre como os nossos tecidos se desenvolvem, modelar doenças em laboratório e desenvolver ou testar novos tratamentos.

Visite o site AboutStemCells.org para obter mais informações sobre células-tronco, pesquisa com células-tronco, como as células-tronco estão sendo usadas para aprender sobre e tratar diferentes doenças, e alguns dos desafios no campo.

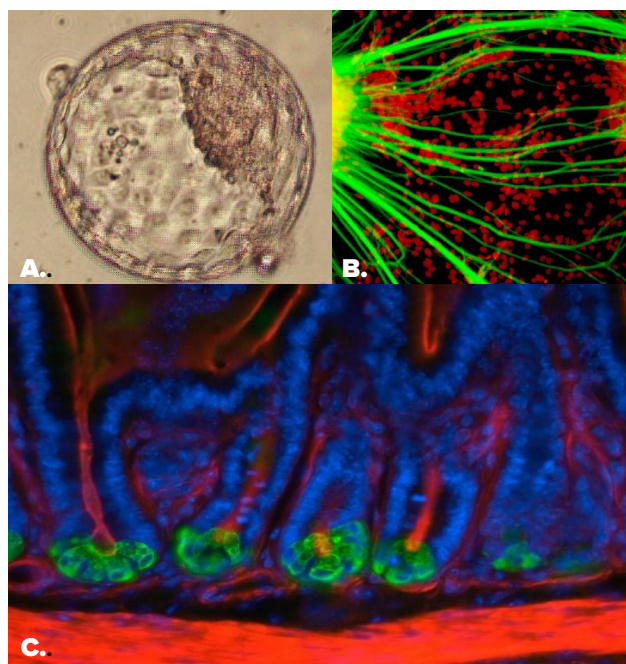


FIGURA 2.A. Este é um embrião humano em estágio inicial, conhecido como blastocisto. **Crédito:** Jenny Nichols, Universidade de Edimburgo, Reino Unido. **B.** Células-tronco pluripotentes induzidas foram transformadas em neurônios (verde), que podem ser usados para modelar doenças que afetam o cérebro ou identificar novos tratamentos. **Crédito:** Laboratório Muotri, Universidade da Califórnia, San Diego, CA, EUA. **C.** Esta é uma seção do intestino de um camundongo. As células marcadas em verde representam as criptas do intestino, o local onde as células-tronco estão presentes. **Crédito:** Paul Appleton, Universidade de Dundee, Reino Unido.

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

1.b. O QUE SÃO TRATAMENTOS COM CÉLULAS-TRONCO?

Um tratamento com células-tronco utiliza células-tronco ou tipos de células especializadas provenientes de células-tronco para substituir ou reparar as células ou tecidos danificados ou ausentes de um paciente. As células-tronco ou as células derivadas delas podem ser do paciente ou de um doador. As células podem ser manipuladas em laboratório, incluindo a adição ou remoção de genes, antes de serem colocadas no sangue do paciente ou transplantadas diretamente no tecido danificado. Os tratamentos com células-tronco também podem envolver o recrutamento de células-tronco nos próprios tecidos do paciente para autorreparação. Entretanto, não é seguro injetar células-tronco pluripotentes indiferenciadas em um paciente, pois elas podem causar a formação de tumores.

Os tratamentos com células-tronco não são únicos.

Os tratamentos com células-tronco não são únicos. Esses tratamentos são específicos para a doença ou condição e o tipo de célula em questão e, potencialmente, podem ser específicos para o próprio paciente. Os pacientes em potencial devem ter cuidado com as clínicas que comercializam um tratamento com células-tronco que pode ser usado para tratar várias doenças diferentes que afetam diferentes partes do corpo.

Este guia descreve três categorias principais de tratamentos com células-tronco - aprovados, em fase de investigação e não comprovados - e o que você deve considerar antes de seguir em frente.

Os **tratamentos com células-tronco aprovados** são respaldados por evidências convincentes de eficácia e segurança, aprovados pelos órgãos reguladores apropriados (por exemplo, a European Medicines Agency (EMA) na Europa, a Food and Drug Administration (FDA) nos Estados Unidos, a Pharmaceutical and Medical Device Agency (PMDA) no Japão, a Therapeutic Goods Administration (TGA) na Austrália ou a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) no Brasil) e são amplamente

aceitos pela comunidade médica global. **As primeiras condições a serem tratadas por terapias com células-tronco aceitas foram certos tipos de câncer no sangue e condições imunológicas selecionadas. Atualmente, há estudos clínicos ativos usando tratamentos com células-tronco para várias doenças, incluindo diabetes, doença de Parkinson, degeneração macular relacionada à idade e outras.**

Antes de um tratamento ser aprovado, ele é considerado um **tratamento experimental**. Um "tratamento experimental" é um termo usado para descrever tratamentos com células-tronco que estão sendo testados em estudos clínicos, mas que não foram aprovados como eficazes e seguros. Para serem comprovadamente eficazes e seguros e receberem a devida aprovação regulatória, os novos usos de células-tronco para o tratamento de doenças devem passar por testes rigorosos por meio de estudos clínicos controlados, ser revisados quanto ao mérito científico por especialistas independentes e aprovados por um comitê de ética para garantir que os direitos e o bem-estar dos participantes sejam respeitados. Esse processo pode levar muitos anos e envolve várias etapas e múltiplas iterações de testes antes que um novo tratamento seja considerado eficaz e seguro e seja aprovado, ou antes que seja determinado como ineficaz ou inseguro. Até a aprovação formal, um tratamento com células-tronco que está sendo testado em estudos clínicos é considerado experimental. É importante entender que testar um tratamento com células-tronco em estudos clínicos não garante que ele se tornará uma terapia estabelecida. Muitos tratamentos com células-tronco, assim como os produtos farmacêuticos testados em estudos clínicos, não são aprovados e não chegam aos pacientes devido a problemas ou falhas detectadas durante os estudos clínicos.

Os **"tratamentos" com células-tronco não comprovados** não foram avaliados em um processo rigoroso de estudos clínicos de várias etapas e, portanto, não demonstraram ser eficazes ou seguros. **Atualmente, os "tratamentos" com células-tronco não comprovados estão sendo comercializados e administrados por clínicas e fornecedores de células-tronco inescrupulosos em todo o mundo e podem causar danos físicos, psicológicos e/ou financeiros.** Para obter mais informações, consulte ["Tratamentos" com células-tronco não comprovados](#).

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

Os tratamentos que usam células-tronco ou células derivadas de células-tronco são em grande parte novos e ainda há muito aprender.

Há desafios específicos na preparação de células-tronco para uso terapêutico. Ao contrário dos medicamentos tradicionais que são sintetizados a partir de compostos químicos padronizados, os tratamentos com células-tronco são desenvolvidos a partir de células vivas. Garantir a uniformidade, a eficácia e a segurança do tratamento com células-tronco requer testes laboratoriais novos e especializados que, em muitos casos, são específicos para o tipo de célula que está sendo usado.

Para a maioria das doenças, ainda está sendo determinado quais células funcionarão melhor para reparar um determinado tecido danificado ou doente, como levar essas células para o lugar certo no corpo, quantas células são necessárias e como garantir que elas sobrevivam no corpo e desempenharão a função desejada.

Além disso, os efeitos colaterais precisam ser documentados e relatados aos órgãos reguladores, e a segurança a longo prazo deve ser determinada, uma vez que as células transplantadas podem permanecer por muitos anos, potencialmente por toda a vida, no corpo dos pacientes. **Os pacientes em potencial devem observar que muitas clínicas que comercializam "tratamentos" com células-tronco não comprovados não têm padrões rigorosos para monitorar e relatar os efeitos colaterais, nem planos de longo prazo para monitorar a saúde de seus pacientes ou determinar se eles estão sofrendo [efeitos colaterais imprevistos](#) como resultado do "tratamento" com células-tronco não comprovado administrado. O monitoramento cuidadoso e o acompanhamento prolongado dos pacientes que recebem tratamentos com células-tronco são extremamente importantes.** Esses estudos são necessários para reduzir os danos físicos, psicológicos e/ou financeiros para os pacientes atuais e futuros.

2. TRATAMENTOS COM CÉLULAS-TRONCO APROVADOS

2.a. QUAIS DOENÇAS OU CONDIÇÕES TÊM TRATAMENTOS BEM ESTABELECIDOS COM CÉLULAS-TRONCO?

Os tratamentos com células-tronco aprovados são limitados. Um tratamento com células-tronco estabelecido e aprovado é o **transplante de células-tronco do sangue**, também conhecido como **transplante de medula óssea ou transplante de células-tronco hematopoiéticas**. Por mais de 50 anos, os médicos têm transferido células-tronco sanguíneas saudáveis para substituir as doentes e tratar o paciente. O transplante de células-tronco do sangue proporcionou recuperação vitalícia para alguns pacientes

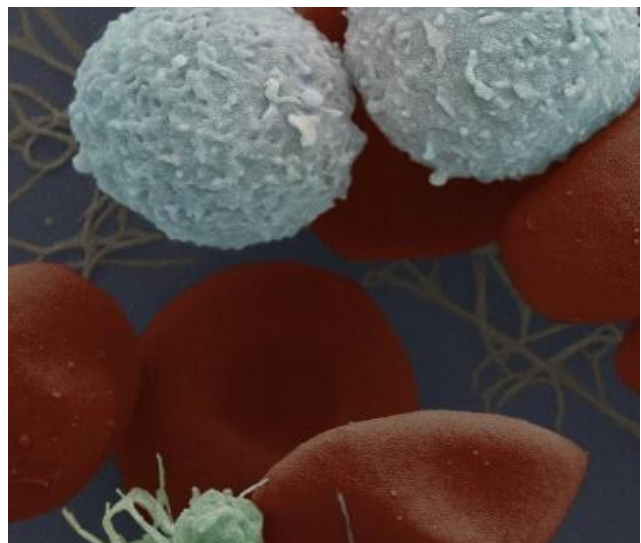


FIGURA 3. As células-tronco do sangue podem dar origem a todas as células do sangue e do sistema imunológico. Os glóbulos brancos redondos nesta imagem são células imunológicas, que ajudarão a combater infecções, e os glóbulos vermelhos são células que contêm hemoglobina e transportam oxigênio pelo corpo. [Crédito: Anne Weston, Francis Crick](#)

com distúrbios do sangue e do sistema imunológico, perda adquirida da função da medula óssea e doenças metabólicas hereditárias (consulte a Figura 3). Saiba mais em [Doação de células-tronco do sangue](#).

As células-tronco do sangue podem ser coletadas para transplante na medula óssea, no sangue circulante ou no sangue do cordão umbilical. O uso do transplante de células-tronco do sangue (ou hematopoiéticas) para tratar o câncer de sangue e alguns distúrbios imunológicos está bem estabelecido, é eficaz e totalmente regulamentado. No entanto, existem clínicas predatórias que oferecem tratamentos não comprovados que alegam tratar uma variedade de outras doenças usando células do sangue do cordão umbilical ou células derivadas da placenta. Esses tratamentos não foram comprovados como eficazes ou seguros. Para saber mais, consulte [Sangue do cordão umbilical e usos no tratamento de doenças](#).

As células-tronco de tecidos específicos ou células-tronco adultas, como as encontradas na pele e na córnea, também desempenham um papel nos transplantes de tecidos e podem contribuir para a regeneração a longo prazo. Por exemplo, um tratamento com células-tronco aprovado pela EMA na Europa usa células-tronco encontradas no olho para [restaurar a visão](#) após lesões na córnea.

No momento, outros tratamentos com células-tronco permanecem experimentais e ainda não iniciaram ou concluíram os testes clínicos (consulte a pergunta 3.a.) ou receberam a aprovação necessária para uso clínico. Antes que outros tratamentos com células-tronco sejam totalmente aprovados, eles devem passar por testes científicos rigorosos para provar que alcançam o resultado desejado e são seguros para o paciente.



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

3. TESTANDO TRATAMENTOS EXPERIMENTAIS COM CÉLULAS-TRONCO EM ESTUDOS CLÍNICOS

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

A tradução clínica é um processo de várias etapas que pode levar de anos a décadas. Esse processo começa em um laboratório onde os cientistas realizam experimentos para entender como os organismos vivos funcionam e o que pode dar errado em doenças ou lesões. Os cientistas desenvolvem hipóteses (ideias que podem ser testadas por meio de experimentos), realizam testes para determinar se as hipóteses estão corretas ou incorretas, analisam os resultados e tiram conclusões. Esses experimentos são a base de importantes descobertas médicas e são fundamentais para a realização de tratamentos médicos no mundo real. Para saber mais, visite [Como a ciência se torna medicina](#).

Para testar como um novo agente pode funcionar em uma determinada doença ou lesão, são realizados estudos em modelos da doença em um laboratório (consulte a Figura 4). Esses estudos podem ser feitos em células humanas cultivadas em placas de cultura celular ou em animais com uma doença ou lesão relevante que seja semelhante à condição humana. Esses estudos são chamados de estudos pré-clínicos. Os estudos pré-clínicos devem ser revisados por especialistas, os protocolos e os resultados devem ser publicados em periódicos revisados por pares e reproduzidos, de preferência por um laboratório independente, antes que um novo tratamento experimental seja testado em pacientes em estudos clínicos.

Depois de demonstrar, por meio de estudos pré-clínicos, que o tratamento experimental provavelmente funcionará e será seguro, busca-se a permissão das autoridades regulatórias e dos comitês de revisão ética para realizar estudos clínicos em seres humanos, começando com um

número muito pequeno de indivíduos. Em alguns casos, novos tratamentos experimentais podem ser testados em um número muito pequeno de pessoas antes do início de um estudo clínico. As estruturas regulatórias variam entre as jurisdições e afetam a forma como os tratamentos experimentais são testados.

Um **estudo clínico** é um estudo de pesquisa regulamentado projetado para responder a perguntas específicas sobre um novo tratamento experimental ou uma nova maneira de usar um tratamento aprovado para outros usos. Os estudos clínicos são usados para estabelecer se um novo tratamento em potencial produz de forma confiável o benefício médico pretendido e se é seguro.

Os estudos clínicos comparam formalmente a eficácia e a segurança de um tratamento ou procedimento experimental com um controle. Um **controle** pode ser um tratamento existente e aprovado ou um **placebo**, se não houver alternativa. O ideal é que as pessoas que participam de um estudo clínico sejam designadas aleatoriamente para receber o tratamento ou o controle (conhecido como **estudo randomizado**) e não saibam se estão recebendo o tratamento experimental ou o controle (conhecido como **estudo clínico cego**). Isso reduz o viés e aumenta as chances de obter resultados significativos.

Um estudo bem projetado usará um ou mais desfechos, que são resultados que podem ser medidos objetivamente para determinar se o tratamento experimental é

benéfico. Esses pontos finais são determinados antes do estudo e são usados para gerar evidências confiáveis sobre eficácia e segurança.

À medida que a eficácia, a segurança e os efeitos colaterais são mais bem compreendidos, e os métodos de administração são testados e revisados, o número de pacientes no estudo é aumentado gradualmente.

Depois que os dados do estudo forem coletados, uma agência reguladora nacional ou regional (por exemplo, a EMA, a FDA, a PMDA, a TGA ou a ANVISA) analisará os dados para determinar se a eficácia e a segurança do tratamento foram formalmente demonstradas e se devem ou não ser aprovadas para uso clínico em doenças ou condições específicas.

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

Para saber mais, leia [Sobre estudos clínicos](#). Outras informações que explicam e descrevem os estudos clínicos escritos pelo National Institutes of Health (EUA) podem ser encontradas em [ClinicalTrials.gov](#).



FIGURA 5. Os ensaios clínicos comparam formalmente a eficácia e a segurança de um tratamento experimental com um controle. Antes de concordar em participar de um estudo clínico, os pacientes devem consultar um médico de confiança e qualificado ou um especialista médico para garantir que seus direitos como paciente sejam respeitados.

3.b. COMO POSSO SABER MAIS SOBRE OS ESTUDOS CLÍNICOS COM CÉLULAS-TRONCO?

Pergunte ao seu médico de atenção primária ou especialista médico para obter orientação sobre quais estudos clínicos estão disponíveis em sua área para sua doença ou condição específica. Diferentes estudos clínicos são oferecidos em diferentes instituições em todo o mundo. Lembre-se de que os estudos clínicos têm critérios de entrada rigorosos para ajudar a garantir a segurança dos participantes e para assegurar que os pesquisadores possam responder à pergunta da pesquisa. **Os estudos clínicos confiáveis terão supervisão ética e regulatória e fornecerão aos participantes detalhes claros sobre o que está envolvido e um termo de consentimento informado ([consulte a pergunta 3.d](#)).**

Existem bancos de dados que permitem a pesquisa de estudos clínicos registrados. Por exemplo, as pessoas interessadas podem pesquisar um banco de dados de estudos clínicos patrocinados pelo National Institutes of Health (EUA) em [ClinicalTrials.gov](#). No entanto, é importante observar que nem todos os estudos clínicos estão incluídos nesses bancos de dados e que a inclusão de um estudo em um banco de dados não indica que ele foi aprovado ou liberado para prosseguir por um órgão regulador.

A inclusão de um estudo clínico em um banco de dados não indica que o tratamento seja eficaz ou que seja aprovado ou supervisionado pela organização ou agência reguladora que publica o banco de dados.

3.c. O QUE DEVO ANALISAR SE ESTIVER PENSANDO EM TESTAR UM TRATAMENTO EXPERIMENTAL COM CÉLULAS-TRONCO POR MEIO DE UM ESTUDO CLÍNICO?

Consulte um médico ou especialista médico confiável e qualificado para garantir que haja estudos preliminares que indiquem que o tratamento provavelmente será eficaz e seguro e que seus direitos como paciente estejam sendo respeitados. Para começar, peça evidências de que:

- Os estudos pré-clínicos ([consulte a pergunta 3.a](#)) foram publicados, revisados e repetidos por especialistas da área.
- Os provedores têm a aprovação de um comitê independente, como o Comitê de Ética em Pesquisa (CEP), Conselho de Revisão Institucional (IRB) ou o Conselho de Revisão Ética (ERB), para garantir que os riscos sejam os menores possíveis, que valham a pena quaisquer benefícios potenciais e que seus direitos estejam sendo protegidos.
- Os provedores têm aprovação ou liberação de uma agência reguladora nacional ou regional, como a EMA, a FDA, a PMDA, a TGA ou a ANVISA no Brasil, para a condução segura de estudos clínicos ou uso médico de um produto para essa doença.
- Os pesquisadores são qualificados para conduzir o estudo ou estudos em questão.

Alguns estudos de pesquisa menores podem não precisar desse nível de aprovação regulatória, mas devem ter a aprovação de um comitê de revisão independente e o apoio da liderança clínica e administrativa do local onde o procedimento será realizado.

Não é comum pagar para participar de um estudo clínico. Cobrar de um participante de pesquisa para participar de um estudo clínico é geralmente uma indicação de um estudo problemático ou que pode ter deficiências éticas, legais ou científicas. Do ponto de vista ético, esses chamados estudos "pay-to-play" limitam os participantes apenas àqueles que podem pagar pelo tratamento e, além disso, podem não ter grupos de controle porque é improvável que os pacientes queiram pagar por um placebo. Em última análise, essas questões podem limitar seriamente as conclusões que podem ser tiradas de um projeto de estudo como esse. Esses "estudos" também podem ser um disfarce para cobrar dos pacientes por produtos não comprovados.

Não é comum pagar para participar de um estudo clínico.

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

Se lhe for oferecido um tratamento experimental com células-tronco como parte de um estudo clínico ou um "tratamento" com células-tronco não comprovado fora de um estudo clínico, você deverá receber um **Termo de Consentimento Informado** (Termo de Consentimento Livre e Esclarecido – TCLE) ou Termo de Consentimento para Tratamento. Esse documento descreve seu papel como paciente e as possíveis implicações de prosseguir com o tratamento experimental ou não comprovado. Ele deve fornecer uma descrição clara e detalhada do tratamento ou procedimento em uma linguagem que você possa entender facilmente. Ele deve explicar suas opções de tratamento, os riscos e os possíveis benefícios, bem como suas responsabilidades e as do paciente.

Você deve receber um termo de consentimento para qualquer tratamento ou procedimento experimental com células-tronco. Ele deve enfatizar a natureza experimental do tratamento e descrever os riscos específicos associados.

Um termo de consentimento é uma boa maneira de obter as informações necessárias para determinar se você deseja prosseguir com o tratamento ou procedimento. **É recomendável que você tenha um diálogo aberto com o provedor e que se certifique de que todas as suas perguntas sejam respondidas** (consulte a Figura 6). Depois de ler e entender o termo de consentimento e de ter suas perguntas respondidas por meio de uma discussão significativa com o provedor, o documento deve ser assinado por você (ou seu representante legal) e pela pessoa que está fornecendo as informações. Você deve receber uma cópia desse termo.

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

- ☐ Qual é a diferença entre participar deste estudo clínico e receber o padrão de tratamento atual?
- ☐ Qual é o tratamento ou procedimento experimental que está sendo testado?
- ☐ Qual é a pergunta de pesquisa que está sendo testada e por que essa pesquisa está sendo feita?
- ☐ Quais são os riscos do tratamento experimental?
- ☐ Quais são suas chances de receber um tratamento diferente (placebo ou tratamento alternativo)?
- ☐ O estudo clínico é um estudo randomizado?

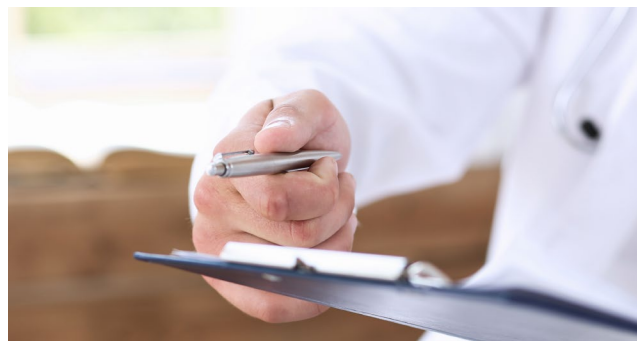


FIGURA 6. Você deve receber um termo de consentimento antes de participar de um estudo clínico ou de receber um "tratamento" com células-tronco não comprovado fora de um estudo clínico. Esse termo deve estar em uma linguagem que você possa entender facilmente e fornecer as informações necessárias para determinar se deseja prosseguir com o tratamento.

- ☐ Quanto tempo durará o teste?
- ☐ O que está envolvido no estudo clínico antes, durante e depois do tratamento (incluindo procedimentos como coleta de sangue)?
- ☐ Quais são seus direitos e responsabilidades como participante?
- ☐ Quem pode ver seus dados de pesquisa/ médicos? Quais são seus direitos à confidencialidade? Como os dados são armazenados e por quanto tempo, e quais dados serão compartilhados com você?
- ☐ Você será informado sobre qualquer nova informação que possa afetar sua decisão de continuar participando do estudo clínico?
- ☐ Quais são as circunstâncias em que você pode ser retirado do estudo?
- ☐ Quem realizará o teste?
- ☐ Quais são os dados de contato da pessoa responsável, como o Pesquisador Principal do estudo, e os dados de contato de uma organização independente que protege os direitos dos pacientes?
- ☐ Quantos participantes estão envolvidos no estudo?
- ☐ Há algum custo associado à participação no estudo?
- ☐ Há circunstâncias em que os participantes do estudo clínico serão compensados ou reembolsados pelos custos relacionados à participação no estudo?
- ☐ Quem pagará pelas despesas médicas se houver um evento médico adverso?

O termo de consentimento também deve esclarecer o seu direito de se retirar a qualquer momento sem consequências e a divulgação de quaisquer conflitos de interesse relevantes. Os documentos não devem incluir linguagem que isente o pesquisador, a instituição, o patrocinador ou seus agentes de responsabilidade por negligência.



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

3.e. O QUE DEVO PERGUNTAR AO CONSIDERAR PARTICIPAR DE UM ESTUDO CLÍNICO?

Você deve fazer muitas perguntas sobre o tratamento que está sendo oferecido e também buscar uma segunda opinião de um profissional de saúde de confiança com qualificações, competência e experiência relacionadas que possam dar respostas precisas e confiáveis. Você não deve se apressar para tomar uma decisão - certifique-se de entender todo o plano de tratamento e todos os riscos associados.

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

Veja a seguir as perguntas recomendadas a serem feitas ao considerar participar de um estudo clínico:

O TRATAMENTO

- ☐ O tratamento é rotineiro para essa doença ou condição específica?
- ☐ O tratamento faz parte de um estudo clínico formal?
- ☐ Quais são as opções alternativas de tratamento para minha doença ou condição?
- ☐ Se eu fizer esse tratamento, isso pode afetar a possibilidade de eu participar de outro estudo clínico no futuro ou me excluir de outros possíveis tratamentos?
- ☐ Quais são os possíveis benefícios que posso esperar? Como isso será medido e quanto tempo levará?
- ☐ É provável que eu tenha benefícios pessoais como resultado de participar deste estudo ou minha participação provavelmente beneficiará futuros pacientes em vez de mim?
- ☐ Que outros medicamentos ou cuidados especiais podem ser necessários?
- ☐ Como é feito esse tratamento ou procedimento com células-tronco?
- ☐ Qual é a fonte das células-tronco?
- ☐ Como as células-tronco são identificadas, isoladas e cultivadas?
- ☐ As células são diferenciadas em células especializadas antes do tratamento?
- ☐ Como as células são enviadas para a parte correta do corpo?
- ☐ Se as células não forem minhas, como evitarei que meu sistema imunológico reaja às células transplantadas?
- ☐ Há alguma vantagem em participar de um estudo clínico que eu deva conhecer antes de decidir se quero participar?
- ☐ Há alguma desvantagem relacionada à participação em um estudo clínico que eu deva conhecer antes de decidir se quero participar?

EVIDÊNCIA CIENTÍFICA E SUPERVISÃO

- ☐ Quais são as evidências científicas de que esse tratamento ou procedimento com células-tronco pode tratar a minha doença ou condição? Onde isso foi publicado? A revista é confiável? As descobertas são confiáveis?
- ☐ Já foram realizados testes clínicos anteriores? O que foi aprendido com esses testes?
- ☐ Existe alguma supervisão independente do plano de tratamento, por exemplo, por um Conselho de Revisão Institucional ou Comitê de Ética em Pesquisa? Você pode fornecer nomes de cientistas e clínicos qualificados que possam dar uma consultoria independente?
- ☐ Existe alguma supervisão ou credenciamento independente da clínica onde o tratamento será realizado e da instalação onde as células são processadas? Esse credenciamento ou supervisão é confiável? Isso me diz algo sobre a credibilidade dessa instituição ou do tratamento que estou considerando?
- ☐ Esse tratamento para essa doença ou condição específica recebeu aprovação de um órgão nacional ou regulatório, como a EMA, a FDA, a PMDA, a TGA ou a ANVISA?

SEGURANÇA E EMERGÊNCIAS

- ☐ Quais são os riscos do tratamento em si e os possíveis efeitos colaterais, tanto imediatos quanto de longo prazo?
- ☐ Há algum outro risco para mim ao participar do estudo?
- ☐ **O que será feito se ocorrer uma reação adversa (efeito colateral ruim)?** Quem é a pessoa a ser contatada em caso de emergência ou lesão relacionada ao estudo? Quem fornecerá atendimento médico de emergência? O que devo fazer se não conseguir entrar em contato com alguém da clínica em caso de emergência?
- ☐ A clínica está adequadamente preparada para lidar com emergências, como uma reação alérgica grave?
- ☐ O que acontecerá se eu não estiver mais na clínica quando tiver um efeito colateral grave?

- ☐ A clínica manterá comunicação comigo e fornecerá acompanhamento por um período de tempo prolongado, possivelmente de meses ou até anos, depois que eu me inscrever neste estudo?
- ☐ Qual tratamento de acompanhamento será recebido e por quanto tempo? O que eu precisarei fazer?
- ☐ Quem é o médico responsável pelo tratamento? Qual é o treinamento especializado desse médico? Qual é o nível de treinamento dos outros médicos e da equipe de suporte técnico?
- ☐ Quem é responsável pelo pagamento do custo do atendimento se eu passar por uma emergência médica e, posteriormente, precisar de atendimento médico adicional?
- ☐ Qual seria o custo do tratamento de emergência se algo der errado? **Quem forneceria o atendimento emergencial e quem pagaria por ele?** Antes de viajar ou concordar com o tratamento, informe-se sobre os custos que seu seguro de viagem, provedor de seguro de saúde ou programa nacional de saúde cobrirá, em quais circunstâncias e em quais países.
- ☐ **O que acontece se houver uma complicação grave que resulte em invalidez de longo prazo? Quem é responsável pelo pagamento dos custos associados?**
- ☐ Se eu tiver que ir ao tribunal e buscar soluções por meio de litígio, quem é responsável pelo pagamento das taxas legais?

DIREITOS DOS PACIENTES

- ☐ Quais são meus direitos como participante? Por exemplo, em termos de confidencialidade, tenho direito de ser informado sobre qualquer nova informação que possa surgir e a possibilidade de me retirar do processo de tratamento?
- ☐ Quem tem acesso aos meus dados de saúde e com que frequência posso acessar meus próprios dados de saúde?
- ☐ A que indenização tenho direito se for ferido como resultado da participação neste estudo?
- ☐ Se eu me machucar, os investigadores entenderão que isso aconteceu porque eu estava no estudo ou o ônus da prova recairá sobre mim para argumentar que a lesão resultou da participação no estudo?

CUSTO

- ☐ Há algum custo que terei de pagar se eu participar? Em caso afirmativo, o que isso inclui? Em que outros custos eu incorrerei? Observe que não é comum que alguém pague para participar de um estudo clínico (a não ser, talvez, despesas de viagem e outras despesas pessoais) e, na verdade, cobrar taxas dos participantes da pesquisa para participar de um estudo clínico costuma ser um "sinal de alerta" de um estudo problemático ou que pode ter deficiências éticas, legais ou científicas.

4. "TRATAMENTOS" COM CÉLULAS-TRONCO NÃO COMPROVADOS

4.a. O QUE É UM "TRATAMENTO" COM CÉLULAS-TRONCO NÃO COMPROVADO?

Um tratamento não comprovado é um tratamento experimental que é novo, não testado ou diferente do tratamento médico padrão e que não passou pelo processo regulatório adequado. Isso contrasta com os tratamentos experimentais que estão sendo testados em estudos clínicos com a devida supervisão regulatória e com os tratamentos aprovados com células-tronco que se mostraram razoavelmente eficazes e seguros para o tratamento de uma determinada doença ou condição por meio de um processo formal e regulamentado de estudos clínicos ([consulte a pergunta 3.a.](#)).

O fato de um tratamento ser experimental não significa automaticamente que ele faz parte de um estudo de pesquisa ou estudo clínico.

Os pacientes devem estar cientes de que **muitas clínicas e fornecedores de células-tronco estão atualmente comercializando e administrando "tratamentos" com células-tronco não comprovados, que não são apoiados por uma ciência válida e não demonstraram tratar a doença específica ou ser seguros.** Recursos para ajudar pacientes e familiares a identificar "tratamentos" com células-tronco não comprovados e alegações infundadas podem ser encontrados em [Tratamentos com células-tronco não comprovados](#).

4.b. COM O QUE DEVO TER CUIDADO SE ESTIVER CONSIDERANDO UM "TRATAMENTO" COM CÉLULAS-TRONCO NÃO COMPROVADO?

Embora as pesquisas estejam em andamento, a maioria dos tratamentos com células-tronco são experimentais e não demonstraram ser eficazes e seguros. Há certas informações que você deve investigar se estiver considerando um "tratamento" com células-tronco não comprovado fora de um estudo clínico regulamentado, incluindo uma descrição detalhada do tratamento, a ciência que o sustenta, o resultado esperado e os riscos.

Entre os principais sinais de alerta de uma empresa que anuncia um "tratamento" com células-tronco não comprovado estão

! Alegações baseadas em depoimentos de pacientes. Desconfie de clínicas que se baseiam em experiências de pacientes em vez de estudos devidamente controlados. É fundamental avaliar a resposta de um paciente ao tratamento em um estudo cego, no qual o paciente não sabe se recebeu ou não o tratamento com células-tronco. Às vezes, os pacientes podem observar um benefício percebido após um tratamento que pode não ser resultado do tratamento em si. Os pacientes também podem ter experimentado benefícios não relacionados ao tratamento. **A menos que tenha havido uma pesquisa clínica cuidadosamente avaliada, é difícil de-terminar a eficácia do tratamento e o que o paciente pode esperar.**

! Várias doenças tratadas com as mesmas células. Os tratamentos com células-tronco não são "únicos". Espera-se que diferentes doenças, como o mal de Parkinson e as doenças cardíacas, sejam tratadas com diferentes tipos de células e, portanto, diferentes tratamentos com células-tronco, que são apropriados para a respectiva doença. Além disso, seu tratamento deve ser fornecido por um médico especialista em sua doença ou condição.

 **A origem das células ou a forma como o tratamento será realizado não está claramente documentada.** Essas informações devem ser claramente explicadas em um Termo de Consentimento Informado ou Termo de Consentimento para Tratamento ([consulte a pergunta 3.d.](#)). Além disso, deve haver um protocolo, que pode ser considerado como o manual de operação do tratamento, que descreve o tratamento em detalhes para o médico. Embora ele possa não ser disponibilizado automaticamente, você deve poder solicitar o protocolo. Para um estudo clínico ou tratamento experimental, os protocolos devem ter sido revisados quanto ao mérito científico por especialistas independentes e aprovados por um comitê de ética para garantir que os direitos e o bem-estar dos participantes sejam respeitados. Ao considerar um tratamento com células-tronco, pergunte quem aprovou esse protocolo e quando a aprovação expira.

 **Afirma que não há risco.** Sempre há riscos envolvidos no tratamento. As informações sobre os possíveis riscos devem estar disponíveis em pesquisas pré-clínicas ou clínicas.

 **Alto custo do tratamento ou custos ocultos. Não é comum que alguém pague para participar de um estudo clínico.** Considere quais são os custos envolvidos no "tratamento". Pergunte sobre custos adicionais além da taxa de administração do "tratamento", como custos de atendimento médico de emergência se algo der errado, principalmente se você estiver fora do seu país. Descubra quais custos seu programa nacional de saúde ou provedor de seguro de saúde cobrirá, em quais circunstâncias e em quais países.

 **Garantias de que você pode armazenar suas células-tronco ou as de seu filho para uso terapêutico futuro.** Embora existam alguns usos legítimos para as células armazenadas, você deve estar ciente de que existem clínicas de células-tronco e bancos de sangue/tecidos inescrupulosos que fazem falsas promessas sobre tratamentos com células-tronco e promovem o armazenamento de células-tronco por anos, ou até décadas, para usos futuros não comprovados contra um amplo espectro de doenças não relacionadas ao tipo de célula armazenada. Você e

sua família devem estar cientes de que o armazenamento de células por tempo indeterminado para um possível "tratamento" futuro pode ser caro e não há garantias de que as células possam ser usadas ou de que o tratamento futuro anunciado se mostrará seguro e eficaz. Para saber mais, consulte [As aplicações clínicas da doação e do armazenamento de células-tronco.](#)

 **Afirma que a aprovação regulatória não é necessária.** Em muitas jurisdições, a supervisão regulatória é necessária se as células forem manipuladas até certo ponto (veja a definição de [manipulação mínima](#), da TGA, como um exemplo) ou se as células forem usadas de uma forma diferente de como funcionariam normalmente (veja a [definição de uso homólogo](#), da TGA como um exemplo). Nesses casos, os tratamentos com células-tronco exigem supervisão regulatória, mesmo que as células sejam colhidas e devolvidas ao mesmo paciente.

4.c. O QUE DEVO PERGUNTAR ANTES DE CONSIDERAR UM "TRATAMENTO" COM CÉLULAS-TRONCO NÃO COMPROVADO?

Você deve fazer muitas perguntas sobre o "tratamento" com células-tronco não comprovado que está sendo oferecido e buscar uma segunda opinião de um médico de confiança, qualificado ou especialista médico com conhecimento suficiente sobre células-tronco e pesquisa clínica. Você não deve ser apressado ou financeiramente seduzido a tomar uma decisão - certifique-se de entender todo o plano de tratamento e todos os possíveis riscos associados.

Os médicos envolvidos devem ser especializados em sua doença ou condição, descrever outras opções de tratamento e discutir todos os riscos que você correrá ao receber um procedimento que não foi comprovado como

seguro ou eficaz. **Você deve receber um Termo de Consentimento Informado ou Termo de Consentimento para Tratamento que deve responder a muitas de suas perguntas** ([consulte a pergunta 3.d](#)). Você deve receber um termo de consentimento para qualquer "tratamento" com células-tronco não comprovado, mesmo que não faça parte de um estudo clínico. Ele deve enfatizar a natureza não comprovada do tratamento e descrever os riscos específicos associados ao(s) tratamento(s) com células-tronco. Esse termo deve ser assinado por você (ou seu representante legal) e pela pessoa que forneceu as informações. Você deve receber uma cópia desse documento.

Veja a seguir as perguntas recomendadas a serem feitas ao considerar um "tratamento" com células-tronco não comprovado

O "TRATAMENTO"

- ☐ O "tratamento" é rotineiro para essa doença ou condição específica?
- ☐ Quais são as opções alternativas de tratamento para minha doença ou condição?
- ☐ Se eu fizer esse "tratamento", isso poderá afetar a minha participação em um estudo clínico ou me excluir de outros tratamentos em potencial?
- ☐ Quais são os possíveis benefícios que posso esperar? Como isso será medido e quanto tempo levará?
- ☐ Que outros medicamentos ou cuidados especiais eu poderia precisar?
- ☐ Como isso se encaixa no meu plano de tratamento de longo prazo?
- ☐ Como é feito esse "tratamento" com células-tronco?
- ☐ Qual é a fonte das células-tronco?
- ☐ Como as células-tronco são identificadas, isoladas e cultivadas?
- ☐ As células são diferenciadas em células especializadas antes do "tratamento"?
- ☐ Como as células são enviadas para a parte correta do corpo?
- ☐ Se as células não forem minhas, como meu sistema imunológico será impedido de reagir às células transplantadas?

EVIDÊNCIA CIENTÍFICA E SUPERVISÃO

- ☐ Qual é a evidência científica atual de testes preliminares usando esse "tratamento"? Essa clínica realizou estudos pré-clínicos ou testes clínicos com esse produto? Quais foram os resultados? Se não realizou, por que não?
- ☐ Há alguma supervisão independente do plano de tratamento? Você pode fornecer nomes de cientistas e clínicos que possam dar conselhos independentes?
- ☐ Existe alguma supervisão ou credenciamento independente da clínica onde o "tratamento" será realizado e da instalação onde as células são processadas? Em caso afirmativo, essa supervisão ou credenciamento é confiável? Devo confiar nisso de alguma forma ao tomar decisões sobre minha saúde e cuidados com a saúde?
- ☐ Existe aprovação de uma agência reguladora nacional ou regional, como a EMA, a FDA, a PDMA, a TGA ou a ANVISA, desse tratamento para essa doença ou condição específica?

SEGURANÇA E EMERGÊNCIAS

- ☐ Quais são os riscos do procedimento em si e os possíveis efeitos colaterais imediatos e de longo prazo?
- ☐ O que será feito se ocorrer uma reação adversa (efeito colateral ruim)? Quem é a pessoa a ser contatada em caso de emergência ou lesão relacionada ao tratamento? Quem fornecerá atendimento médico de emergência? O que devo fazer se não conseguir entrar em contato com alguém da clínica em caso de emergência?
- ☐ A clínica está adequadamente preparada para lidar com emergências, como uma reação alérgica grave?
- ☐ Qual tratamento de acompanhamento será recebido e por quanto tempo? O que eu precisarei fazer?
- ☐ Quem é o médico responsável pelo "tratamento"? Qual é o treinamento especializado desse médico? Qual é o nível de treinamento dos outros médicos e da equipe de suporte técnico?

DIREITOS DOS PACIENTES

- ☐ Quais são meus direitos como participante - por exemplo, confidencialidade, meu direito de ser informado sobre qualquer nova informação que possa surgir, meu direito de me retirar do processo de tratamento?
- ☐ A que indenização tenho direito se for ferido como resultado desse "tratamento"? O que precisarei fazer para obter essa indenização? Terei que entrar na justiça e processar?

CUSTO

- ☐ Há algum custo para o tratamento? Em caso afirmativo, o que isso inclui? Em que outros custos eu incorrerei?
- ☐ Quais seriam os custos do tratamento de emergência se algo der errado?
- ☐ Quem forneceria o atendimento de emergência e quem pagaria por ele?
- ☐ O que acontece se houver uma complicação grave que resulte em invalidez de longo prazo? Quem é responsável pelo pagamento dos custos associados?
- ☐ Se eu tiver que ir ao tribunal e buscar soluções por meio de litígio, quem é responsável pelo pagamento das taxas legais?
- ☐ Antes de viajar ou concordar com o tratamento, informe-se sobre os custos que seu seguro de viagem, provedor de seguro de saúde ou programa nacional de saúde cobrirá, em quais circunstâncias e em quais países.
- ☐ Como posso obter a pré-aprovação da minha seguradora ou plano de saúde e tomar medidas para evitar o recebimento de contas médicas inesperadas e indesejadas?

4.d. DEVO OBTER UMA SEGUNDA OPINIÃO?

Você é incentivado a fazer muitas perguntas sobre o "tratamento" que está sendo oferecido e a buscar segundas opiniões de médicos qualificados e independentes. Seu médico deve lhe dar apoio e ajudar no processo de obtenção de uma segunda opinião. Os cuidadores primários devem facilitar o acesso a especialistas para ajudar os pacientes a tomar decisões mais informadas sobre seus cuidados. Registros médicos, protocolos de pesquisa, protocolos de tratamento e documentos de consentimento informado devem ser fornecidos à pessoa que está dando uma segunda opinião.

Para obter mais informações, acesse AboutStemCells.org.

Agradecimentos

Clare Blackburn, PhD, Instituto de Regeneração e Reparo e Instituto de Pesquisa de Células-Tronco, Universidade de Edimburgo, Reino Unido

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

Kym Kilbourne, International Society for Stem Cell Research, EUA

Jack Mosher, PhD, International Society for Stem Cell Research, EUA

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

Julie Perlin, PhD, Ten Bridge Communications, EUA

Kendra Prutton, PhD, International Society for Stem Cell Research, EUA

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

GLOSSÁRIO

Termo	Definição
Tratamentos com células-tronco aprovados	Tratamentos que são respaldados por evidências convincentes de eficácia e segurança, aprovados pelos órgãos reguladores apropriados e amplamente aceitos pela comunidade médica global. No momento, além do tratamento de vários cânceres do sangue e de condições imunológicas selecionadas, há muito poucas condições para as quais as terapias baseadas em células-tronco são estabelecidas como tratamentos eficazes e seguros.
Estudo clínico cego	Os participantes não sabem se recebem o tratamento que está sendo avaliado, um tratamento controle ou um placebo.
Transplante de células-tronco do sangue/transplante de medula óssea	O transplante de medula óssea, de células-tronco do sangue ou de células-tronco hematopoiéticas é um dos únicos tratamentos com células-tronco comprovadamente eficazes e seguros. Por meio do transplante de células-tronco sanguíneas, as células-tronco sanguíneas saudáveis podem substituir as células doentes, potencialmente produzindo todas as células sanguíneas e imunológicas futuras e tratando o paciente. Os transplantes de células-tronco do sangue são mais comumente usados para tratar doenças do sangue (como cânceres ou distúrbios dos glóbulos vermelhos), doenças de insuficiência da medula óssea e certas doenças resultantes da falta ou disfunção de células imunológicas. Doenças metabólicas hereditárias (deficiências na decomposição de substâncias no corpo) também podem ser tratadas por meio de transplante.
Estudo clínico	Um estudo de pesquisa projetado para responder a perguntas específicas sobre um novo tratamento ou uma nova maneira de usar um tratamento atual que também estabelece se os possíveis tratamentos são eficazes e seguros.

Termo	Definição
Células-tronco	Células singulares em nosso corpo definidas por duas propriedades: podem se dividir para produzir mais de si mesmas e podem gerar tipos de células especializadas, como células da pele, musculares ou sanguíneas.
Células-tronco pluripotentes (PSCs)	Células-tronco que podem se diferenciar em todos os tipos de células do corpo. As PSCs incluem células-tronco embrionárias e células-tronco pluripotentes induzidas.
Termo de Consentimento Informado ou de Tratamento	Documento que descreve o papel do paciente no recebimento de um tratamento experimental e as possíveis implicações de prosseguir com o tratamento experimental ou não aprovado. Ele deve fornecer uma descrição clara e detalhada do tratamento ou procedimento em linguagem simples e explicar as opções de tratamento do paciente, seus direitos e responsabilidades e os possíveis riscos.
Tratamento experimental/procedimento experimental	Termos usados às vezes para descrever tratamentos com células-tronco que estão sendo testados em estudos clínicos, mas que não foram aprovados como eficazes e seguros. Até a aprovação formal, um tratamento com células-tronco que está sendo testado em estudos clínicos é considerado experimental. É importante entender que testar um tratamento com células-tronco em estudos clínicos não garante que ele se tornará uma terapia aprovada e estabelecida.
Placebo	Um tratamento inativo que é usado como comparação para ajudar os pesquisadores a determinar se um tratamento é mais eficaz do que nenhum tratamento.
Estudo clínico randomizado	Os participantes são designados aleatoriamente para receber diferentes intervenções a fim de reduzir o viés.
"Tratamento" com células-tronco não comprovado	Tratamento que não foi testado por meio de estudos clínicos formais ou regulamentados e que não demonstrou ser eficaz ou seguro. Atualmente, "tratamentos" com células-tronco não comprovados estão sendo comercializados e administrados por clínicas e provedores de células-tronco em todo o mundo que operam fora dos padrões éticos aceitos. A administração de "tratamentos" não comprovados pode causar danos físicos, psicológicos e/ou financeiros.

Para acessar o glossário completo sobre células-tronco, visite <https://www.aboutstemcells.org/info/glossary>.

Recursos do ISSCR

Site de educação pública da ISSCR, About Stem Cells (Sobre células-tronco):

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

Nove coisas que você deve saber sobre os tratamentos com células-tronco: <https://www.aboutstemcells.org/info/nine-things-to-know-about-stem-cell-treatments>

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

Glossário de células-tronco: <https://www.aboutstemcells.org/info/glossary>

Sobre os estudos clínicos: <https://www.aboutstemcells.org/clinical-trials>

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

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

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

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

Recursos de estudos clínicos

Recursos de estudos clínicos: <https://www.clinicaltrials.gov/>

Como funcionam os estudos clínicos: <https://www.australianclinicaltrials.gov.au/what-clinical-trial/how-clinical-trials-work>

O que é um placebo e por que os placebos são usados em estudos clínicos: <https://health.ucdavis.edu/ctsc/area/clinicaltrials/documents/What-is-a-Placebo.pdf>

Termos comuns que você deve conhecer ao se inscrever em um estudo clínico: <https://jcto.weill.cornell.edu/patients/clinical-trials-common-terms-to-know>

Recursos adicionais

Interpretação de manipulação mínima e uso homólogo: 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 produto medicinal baseado em células-tronco: <https://www.eurostemcell.org/story/europe-approves-holoclar-first-stem-cell-based-medicinal-product>

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