

**REQUERIMENTO Nº , DE 2023**

(Do Sr. Pinheirinho)

*Requer a realização de Audiência Pública para debater a respeito da autorização pela ANVISA do medicamento Elevidys no tratamento da doença Distrofia Muscular de Duchenne.*

Senhor Presidente:

Requeiro a Vossa Excelência, com fundamento no art. 24, inc. III, e dos arts. 255 e 256, ambos do RICD, a realização de reunião de Audiência Pública para debater a respeito da utilização e autorização pela ANVISA do medicamento Elevidys no tratamento da doença Distrofia Muscular de Duchenne.

Na oportunidade, sugerimos que sejam convidados:

- **Aliança Distrofia Brasil**, CNPJ: 35495070/0001-42, Av. Água Fria, nº 467 - Sala 132, Bairro Água Fria, São Paulo – SP, 02333-000;
- **Dra. Meiruze Sousa Freitas**, telefone: (61) 34626515//34626728//34626783 - ANVISA;
- **Erick Cavalcanti Cossa**, Rua Delfim Moreira, 535, apto 703, Varginha MG, CEP 37002-070, telefone: 35 99988-7222; e,
- **Giancarlo Frá**, LABORATÓRIO ROCHE, Produtos Roche, Químicos e Farmacêuticos S.A, Rua Dr. Rubens Gomes Bueno, 691, Térreo, 3, 4 e 5, Várzea de Baixo, SP, telefone: 61999958260.



## JUSTIFICAÇÃO

Por iniciativa do colega Deputado Federal Dimas Fabiano (PP/MG), houve o comparecimento do parlamentar junto a Agência de Vigilância Sanitária (ANVISA) para obter informações a respeito do andamento do procedimento para autorização de registro do medicamento “ELEVIDYS, requerido pelo Laboratório Roche, no Brasil.

A Sarepta Therapeutics teve a aprovação acelerada pelo FDA (Federal Drug Administration – órgão governamental dos EUA que faz o controle de medicamentos) do primeiro medicamento do mundo utilizando terapia genética para pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne, uma doença degenerativa, que acomete 1 a cada 3.500 nascidos vivos do sexo masculino no mundo.

O tratamento com microdistrofina ELEVIDYS foi aprovado para pacientes pediátricos ambulatoriais de 4 a 5 anos com distrofia muscular de Duchenne com uma mutação confirmada no gene DMD. O medicamento consiste em uma terapia de transferência de genes de dose única para infusão intravenosa projetada para abordar a causa subjacente da distrofia muscular de Duchenne por meio da produção direcionada de microdistrofina no músculo esquelético.

O tratamento desenvolvido pela Sarepta é inovador, pois além de abordar a causa genética raiz de Duchenne, foi desenvolvido para atender todas as mutações no gene da distrofina, com exceção em pacientes com qualquer deleção no exon 8 e/ou exon 9 no gene DMD, que são contraindicados para o tratamento, isto é, quando mutações ocorrem, a falta de distrofina ou a alteração em sua estrutura impedem sua função de manutenção da membrana celular, levando a frequentes rupturas desta durante as contrações. A ruptura permite com que mais cálcio do meio extracelular entre na célula, ativando um número elevado de proteases, que, por sua vez, quebram proteínas funcionais, causando a morte celular. Além disso, a abertura da membrana libera uma grande quantidade de creatina quinase, responsável pela reserva energética para ativação muscular. Essa ausência de creatina quinase na célula enfraquece os músculos e explica os altos níveis de



creatina quinase da membrana plasmática no sangue de crianças que sofrem com a Distrofia muscular de Duchenne.

A distrofina é responsável por ligar as proteínas do interior da célula muscular a outras proteínas do exterior, garantindo a estabilidade da fibra muscular e a transmissão da força de contração para todo o músculo. O portador de Duchenne não produz essa proteína, por isso, ao longo do tempo, a ausência da distrofina afeta a mobilidade motora e o funcionamento dos demais músculos do corpo.

A importância do tratamento para as crianças com 05 anos de idade é dar a expectativa de melhor eficácia nos testes, como vem ocorrendo nos Estados Unidos e com isso o tempo está passando trazendo a diminuição e a perda da oportunidade para esse grupo de pessoas no tratamento da DMD, caso não haja a agilidade da ANVISA em autorizar o registro do medicamento no Brasil.

Visando obter informações, com mais celeridade e com o objetivo de salvar vidas, garantindo um tratamento digno e responsável para os pacientes com esta doença, se faz necessário a realização da Audiência Pública e dar agilidade para a autorização do registro do medicamento Elevidys, em território nacional.

Assim, entendo necessário o envio de um Requerimento de Audiência Pública, como passo inicial para avaliação do cenário, no intuito de fundamentar futuras ações contempladas para o tratamento digno dos pacientes com a doença de Distrofia Muscular de Duchenne.

Sala das Sessões, em        de novembro de 2023.

**PINHEIRINHO**  
Deputado Federal

