



CÂMARA DOS DEPUTADOS
Gabinete do Deputado EMIDINHO MADEIRA

COMISSÃO DA SAÚDE

REQUERIMENTO Nº , DE 2025

(Do Sr. EMIDINHO MADEIRA)

Requer a realização de Audiência Pública para debater a ampliação da autorização do uso do medicamento Elevidys no tratamento da doença Distrofia Muscular Duchenne.

Senhor Presidente,

Requeiro a Vossa Excelência, nos termos do artigo 255, do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, e ouvido o plenário desta Comissão, a realização de **Audiência Pública para debater a “ampliação da autorização do uso do medicamento Elevidys no tratamento da doença Distrofia Muscular Duchenne”**.

Para tanto, solicitamos sejam convidados:

- Senhor Alexandre Padilha – Ministro da Saúde
- Presidente da Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA
- Representante da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC
- Senhora Flávia Martins – Gerente de Relações Governamentais do Labo Roche Brasil
- Senhor Fábio Baccheretti – Secretário de Estado de Saúde de Minas Gerais e Presidente do Conselho Nacional de Secretárias de Saúde - CONASS
- Senhor Lucas de Tharso Rocha – pai de Luís Felipe Pereira Rocha diagnosticado com Distrofia Muscular de Duchenne





CÂMARA DOS DEPUTADOS
Gabinete do Deputado EMIDINHO MADEIRA

2

JUSTIFICAÇÃO

A **Distrofia Muscular de Duchenne** é uma enfermidade neuromuscular genética, que provoca **degeneração progressiva da musculatura esquelética e cardíaca, levando à perda de mobilidade**, comprometimento respiratório e insuficiência cardíaca. Acomete, em geral, 1 a cada 3.500 meninos nascidos vivos. Os primeiros sinais costumam surgir entre os dois e cinco anos de idade, com progressão acelerada. Sem tratamento adequado, a expectativa de vida gira em torno de 20 a 30 anos, com limitações severas desde a adolescência.

O medicamento **Elevidys (delandistrogene moxeparvovec-rokl)**, desenvolvido pela empresa Sarepta Therapeutics, utiliza **tecnologia de terapia gênica** para introduzir uma forma funcional da distrofina — proteína essencial para a integridade das fibras musculares, ausente nos pacientes com DMD. A FDA (Food and Drug Administration) dos Estados Unidos aprovou, de forma acelerada, o Elevidys em 2023, reconhecendo seu potencial revolucionário.

No entanto, a ANVISA concedeu o registro do medicamento no Brasil com restrição etária (crianças de 4 a 7 anos) e deambulantes (que ainda conseguem andar), conforme prescrição da empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A., o que gerou grande mobilização de familiares e médicos. Já que muitos pacientes fora dessa faixa etária — como o caso do menino Luís Felipe Pereira Rocha, de 11 anos — estão sendo impedidos de acessar o tratamento, mesmo diante da recomendação médica e da urgência da intervenção precoce, o que agrava a situação de sofrimento das famílias e o risco de progressão irreversível da doença.

Dessa forma, é imperativa a abertura de um diálogo institucional, técnico e humano sobre os critérios regulatórios aplicados à autorização do Elevidys, os fundamentos científicos da restrição imposta e os caminhos possíveis para **ampliar o acesso à terapia genética para todos os pacientes que dela possam se beneficiar, inclusive com a sua incorporação na lista de medicamentos disponíveis no SUS**, respeitando os princípios da equidade, da dignidade da pessoa humana e do direito à saúde prevista na Constituição Federal.

Esta audiência se apresenta como um passo fundamental para garantir que a ciência, a regulação sanitária e os direitos humanos caminhem lado a lado, assegurando aos pacientes brasileiros com DMD o **acesso justo, tempestivo e digno ao que há de mais moderno em terapias globais**.

Sala da Comissão, em 22 de abril de 2025.

Deputado EMIDINHO MADEIRA
PL/MG

