



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 1698/2025/ASPAR/MS

Brasília, 08 de dezembro de 2025.

A Sua Excelência o Senhor

Deputado Federal Carlos Veras

Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados

Referência: Requerimento de Informação nº 6464/2025

Assunto: *Informações junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária(ANVISA), acerca da suspensão da comercialização, distribuição, fabricação, importação, propaganda e uso do medicamento Elevidys no Brasil.*

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício nº 396/2025, proveniente da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados, referente a o **Requerimento de Informação nº 6464/2025**, de autoria da **Deputada Federal Renata Abreu - PODE/SP**, por meio do qual são requisitadas informações *junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária(ANVISA), acerca da suspensão da comercialização, distribuição, fabricação, importação, propaganda e uso do medicamento Elevidys no Brasil*, sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas Agência Nacional de Vigilância Sanitária, por meio de Parecer (0052253590).
2. Desse modo, no âmbito do Ministério da Saúde, essas foram as informações exaradas pelo corpo técnico sobre o assunto.
3. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,

ALEXANDRE ROCHA SANTOS PADILHA

Ministro de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Alexandre Rocha Santos Padilha, Ministro de Estado da Saúde**, em 08/12/2025, às 19:49, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0052262163** e o código CRC **62DF1335**.

Referência: Processo nº 25000.192644/2025-11

SEI nº 0052262163

Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos - ASPAR
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br

NOTA TÉCNICA Nº 53/2025/SEI/GSTCO/GGBIO/DIRE2/ANVISA

Processo nº 25351.941091/2025-42

Requerimento de Informação nº 6464/2025 – Deputada Renata Abreu referente a suspensão da comercialização, distribuição, fabricação, importação, propaganda e uso do medicamento Elevidys® no Brasil.**1. Relatório**

Trata-se de Nota Técnica, em resposta ao Requerimento de Informação nº 6464/2025 da Deputada Renata Abreu por meio da qual requer informações e esclarecimentos quanto à suspensão da comercialização, distribuição, fabricação, importação, propaganda e uso do medicamento de terapia gênica Elevidys® no Brasil, em especial os seguintes aspectos:

- 1. Quais as razões que levaram a Anvisa a suspender o uso do medicamento Elevidys?*
- 2. Que tipos de efeitos colaterais são reconhecidos com o uso do Elevidys?*
- 3. Alguma providência ou exigência foi feita junto ao laboratório produtor?*
- 4. Existe algum processo de fiscalização e controle em curso que envolve o Elevidys?*
- 5. Como as autoridades sanitárias de outros países, em especial a dos Estados Unidos e de países da União Europeia, têm conduzido o registro e acompanhamento da comercialização e uso do Elevidys?*

2. Análise*Contexto*

O *delandistrogênio moxeparvoveque* (Elevidys®), desenvolvido pela empresa estadunidense Sarepta Therapeutics e comercializada mundialmente pela empresa farmacêutica Roche, é composto por um vírus adenoassociado recombinante (AAV) não replicante, que carrega um gene de distrofina humana reduzida, otimizado para direcionar a expressão proteica aos músculos esquelético e cardíaco para o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD). A DMD é uma doença rara e grave, afeta aproximadamente 1 indivíduo em cada 3.800 a 6.300 nascidos vivos do sexo masculino, sendo a distrofia muscular mais comum em crianças.

O registro sanitário do medicamento de terapia avançada, do tipo terapia gênica, Elevidys®, foi concedido pela Anvisa em 2 de dezembro de 2024, por meio da Resolução-RE nº 4.486/2024, em caráter excepcional e sob condições específicas. O uso clínico no Brasil foi restrito a pacientes deambuladores, entre 4 e 7 anos de idade, com diagnóstico confirmado de DMD, ausência de deleção nos éxons 8 e/ou 9, e sob protocolos obrigatórios de monitoramento de longo prazo e manejo de riscos, conforme as determinações da RDC nº 505/2021.

A aprovação de Elevidys® seguiu rigoroso processo de análise técnico-regulatória, utilizando dados dos estudos não clínicos e estudos clínicos, bem como dados de qualidade farmacêutica do produto, disponibilizados pela empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A., com base nos critérios de segurança, eficácia e qualidade estabelecidos pelas normativas nacionais e diretrizes internacionais aplicáveis a este tipo especial de medicamento complexo, em contexto de doença rara e debilitante.

A autorização de registro excepcional se deu sob determinadas incertezas, o que está em conformidade com o marco regulatório para produtos inovadores destinados a doenças raras e com

restrições em alternativas terapêuticas. Importante mencionar as incertezas principais observadas nos dados de eficácia, principalmente referente a durabilidade e qualidade do efeito bem como sua segurança por longo prazo, o que exige da Agência Reguladora, uma atenção especial e monitoramento rigoroso de qualquer sinal de riscos ao paciente.

Os eventos adversos observados nos estudos clínicos que embasaram o registro do Elevidys® ocorreram principalmente na forma de elevação de transaminases (hepatite leve a moderada), controladas com o uso de corticoterapia prolongada. Também foram registradas reações imunes previsíveis ao vetor viral, adequadamente manejadas por meio de imunossupressão profilática. Não houve relato de miocardite ou falência hepática nos estudos conduzidos com pacientes deambuladores — população para a qual o produto obteve aprovação no Brasil. A experiência clínica de longo prazo com o Elevidys® ainda é limitada, o que reforça a necessidade de um programa de farmacovigilância robusto, com atenção especial à ocorrência de eventos hepáticos, reações imunológicas e ao risco teórico de integração genômica — considerado raro em vetores AAV, mas não totalmente excluído. Diante dessas incertezas, a Anvisa, em conjunto com a empresa detentora do registro, estabeleceu alertas, precauções e contraindicações específicas, além da obrigatoriedade de estudos de acompanhamento em longo prazo como condição para a manutenção do registro sanitário.

Abaixo apresentam-se as respostas aos questionamentos formulados no Requerimento de Informação nº 6464/2025.

1. Quais as razões que levaram a Anvisa a suspender o uso do medicamento Elevidys?

Posteriormente ao registro do medicamento Elevidys® no Brasil, foram divulgadas pela *Food and Drug Administration (FDA)*, dos Estados Unidos, informações sobre eventos adversos graves, incluindo óbitos, associados ao uso do produto e de outras terapias gênicas baseadas no mesmo vetor viral adeno-associado AAVrh74, tecnologia empregada no desenvolvimento do Elevidys®, da empresa Sarepta Therapeutics.

Foram confirmados três óbitos: dois pacientes pediátricos (15 e 16 anos) com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), ambos não deambuladores, tratados com Elevidys®, e um paciente adulto com Distrofia Muscular de Cinturas (DMC), tratado com produto experimental baseado na mesma plataforma vetorial (AAVrh74). Em todos os casos, houve evolução para insuficiência hepática aguda com desfecho fatal.

Embora os casos tenham ocorrido em pacientes tratados fora das especificações de uso aprovadas no registro brasileiro — isto é, em condições clínicas e faixas etárias distintas das previstas —, trata-se da mesma tecnologia vetorial, que apresenta tropismo hepático conhecido, ou seja, afinidade do vetor viral por células do fígado, o que aumenta o potencial de reações adversas hepáticas graves.

No Brasil, não há registro de óbitos ou eventos graves semelhantes em pacientes que receberam o produto sob as condições de uso aprovadas. Contudo, considerando: o caráter inovador e complexo da tecnologia envolvida; as incertezas inerentes ao perfil de segurança de longo prazo; e o fato de o produto ter sido registrado sob regime de monitoramento intensivo e com obrigação de acompanhamento clínico prolongado (conforme previsto na RDC nº 505/2021), a Anvisa adotou, em caráter preventivo e cautelar, a Resolução-RE nº 2.813/2025, com fundamento no art. 11 da RDC nº 505/2021, art. 7º da Lei nº 6.360/1977 e art. 45 da Lei nº 9.784/1999. A referida resolução determinou a suspensão temporária da importação, distribuição, comercialização e uso do Elevidys® no território nacional, até que seja concluída a reavaliação do seu balanço benefício-risco com base nas novas evidências disponíveis.

Essa decisão visa proteger os pacientes brasileiros e assegurar que eventuais riscos graves sejam plenamente investigados antes da retomada do uso do produto. Trata-se de uma medida preventiva, compatível com o princípio da precaução e com a responsabilidade regulatória da Anvisa diante de produtos de terapias avançadas, cuja natureza inovadora demanda vigilância contínua e resposta rápida diante de novos sinais de segurança.

2. Que tipos de efeitos colaterais são reconhecidos com o uso do Elevidys?

Nos dados do registro, conforme descrito acima, foram observados, de modo geral, eventos adversos comuns, incluindo vômitos (30%), elevação de enzimas hepáticas (25%) e náuseas (20%). Entre os riscos identificados, destacam-se: lesão hepática aguda, considerada manejável com o uso de corticosteroides; dois casos de miosite imunomediada associados a deleções nos éxons 8 e/ou 9 — o que resultou na inclusão de contraindicação para esse perfil genético —; e um caso isolado de miocardite.

A maioria dos eventos adversos ocorreu nos primeiros 90 dias após a administração, sem evidências de toxicidade tardia. Também foram discutidos riscos potenciais, como reações à infusão e imunogenicidade associada a altos títulos de anticorpos anti-AAVrh74 (>1:400), mitigada pela exigência de teste sorológico prévio à infusão. Não foram detectadas mortes por insuficiência hepáticas nos dados submetidos ao registro sanitário na Anvisa.

A Anvisa recebeu três notificações de eventos adversos em pacientes brasileiros, todas reportadas pela empresa Roche. De acordo com a análise de causalidade, dois desses eventos foram classificados como prováveis, apresentando evolução clínica favorável e compatível com os efeitos descritos na bula e observados nos estudos clínicos. Entre os eventos relatados, destacou-se a elevação de enzimas musculares (creatina quinase), um efeito esperado da terapia gênica mediada por vetor AAV, possivelmente associado à resposta imune ao vetor ou à expressão da microdistrofina nas fibras musculares. Foram também observados sintomas gastrointestinais e elevações de enzimas hepáticas, incluindo casos de hepatite, condizentes com o perfil de segurança já conhecido para produtos baseados em vetores adenoassociados (AAV), devido ao seu tropismo natural por hepatócitos e consequente risco de toxicidade hepática. O terceiro evento notificado no país foi considerado improvável em relação ao uso do Elevidys®, sendo compatível com um quadro de infecção viral grave (Influenza A), agravado pela condição de imunossupressão e que resultou em óbito. A bula brasileira do Elevidys® orienta que a administração do produto deve ser adiada em casos de infecção ativa e recomenda a vacinação prévia como medida preventiva, a fim de reduzir o risco de complicações infecciosas em pacientes sob imunossupressão.

Até o momento, os eventos adversos registrados no Brasil em pacientes deambuladores com DMD, público-alvo da aprovação vigente, não configuram novo sinal de segurança. A bula brasileira já inclui alertas específicos sobre o risco de lesão hepática grave, além de orientações para o manejo de pacientes com histórico de comprometimento hepático, infecções ativas ou crônicas, e uso concomitante de imunossupressores.

No entanto, no final de julho de 2025 o aparecimento de óbitos por insuficiência hepática aguda por uso de Elevidys® alertou a Agência para uma avaliação consubstanciada e profunda para verificar as relações causais e as possibilidades de danos na população brasileira, desta forma, a Anvisa decidiu suspender temporariamente o uso do Elevidys® no país. A medida, adotada com base no princípio da precaução, visa preservar a segurança dos pacientes brasileiros, diante de novos dados internacionais que sugerem risco potencial de hepatotoxicidade grave com desfecho fatal relacionado ao produto.

Apesar da experiência internacional com mais de 700 pacientes deambuladores tratados com Elevidys® sem relatos de óbito nessa população, a suspensão temporária — alinhada com a Roche — tem o objetivo de permitir uma reavaliação técnica completa, à luz dos novos achados, dos possíveis impactos clínicos e da necessidade de ajustes no plano de gerenciamento de risco e nas estratégias de monitoramento e manejo clínico, antes de eventual retomada da comercialização.

Nos termos do art. 11 da RDC nº 505/2021, a Anvisa pode, a qualquer tempo, solicitar dados adicionais de segurança e eficácia e adotar medidas regulatórias cautelares, inclusive a suspensão temporária da importação, comercialização e uso de um produto até que sua relação benefício-risco volte a ser considerada favorável. Complementarmente, a RDC nº 948/2024 estabelece que, diante de novas evidências que alterem o perfil de benefício-risco de um medicamento regularizado, a agência pode aplicar medidas preventivas ou de suspensão.

3. Alguma providência ou exigência foi feita junto ao laboratório produtor? 4. Existe algum processo de fiscalização e controle em curso que envolve o Elevidys?

Após suspensão a Anvisa instaurou procedimento de investigação sanitária e mantém diálogo técnico contínuo com a empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A., detentora do registro do Elevidys® no Brasil, para identificar as causas dos eventos fatais e avaliar medidas preventivas aplicáveis à população brasileira.

Além das análises técnicas da Anvisa, a empresa foi orientada a realizar investigação consubstanciada em seus dados e submeter o dossiê completo de investigação, contendo as informações e dados técnicos de modo a compor a avaliação dos possíveis impactos dos achados na população brasileira. Em 5 de setembro de 2025, a empresa apresentou relatórios adicionais de investigação, contendo atualizações do perfil de segurança e propostas de mitigação dos riscos identificados.

As investigações permanecem em andamento. A Anvisa identificou, com base nos dados disponíveis, indícios de que as mortes relatadas resultaram da combinação entre os efeitos do vetor viral AAVrh74, idade dos pacientes e o estado clínico prévio dos pacientes, que apresentavam determinado comprometimento hepático.

Diante da gravidade dos eventos relatados e das incertezas ainda existentes, a Anvisa deliberou pela realização de um painel científico independente, composto por especialistas brasileiros em Distrofia Muscular de Duchenne, neurologia, doenças neuromusculares e terapias gênicas. O objetivo do painel foi avaliar, de forma multidisciplinar e baseada em evidências, o balanço benefício-risco do Elevidys, além de discutir **medidas adicionais** de mitigação de riscos e novos mecanismos de monitoramento em longo prazo, visando ao uso seguro e responsável do produto no Brasil.

Como resultado das discussões realizadas, foram reconhecidas incertezas relevantes relacionadas ao perfil de segurança hepática e à resposta imunológica ao vetor viral, as quais estão sendo tratadas pela Anvisa em conjunto com a Roche Farma Brasil. As ações em curso incluem revisões nos protocolos clínicos, ajustes no plano de gerenciamento de risco e aprimoramento das estratégias de acompanhamento de longo prazo, com o propósito de fortalecer a vigilância pós-comercialização e garantir a segurança dos pacientes.

5. Como as autoridades sanitárias de outros países, em especial a dos Estados Unidos e de países da União Europeia, têm conduzido o registro e acompanhamento da comercialização e uso do Elevidys?

Nos Estados Unidos, o Elevidys® foi aprovado para pacientes acima de 4 anos de idade, deambuladores e não deambuladores. Com os casos de óbitos a Agência Reguladora dos Estados Unidos reviu sua decisão com a autorização atualmente vigente com uso restrito a pacientes deambuladores e sob monitoramento rigoroso. Está suspensa a aprovação para pacientes não deambuladores e a FDA implementa investigações regulatórias.

Segundo informações da Roche nos Emirados Árabes Unidos, Catar, Kuwait, Bahrein, Omã segue a aprovação conforme definida nos Estados Unidos. Em Israel e Japão, o produto segue registrado para pacientes restritos (de 4 a 7 anos, Israel e de 3 a 7 anos, no Japão). Destaca-se que no Japão o Elevidys® foi registrado excepcionalmente sob condições de monitoramento de dados de longo prazo.

A *European Medicines Agency* (EMA) divulgou que a Agência recomendou a recusa do registro do Elevidys® na Europa, sendo que a empresa está em articulação para reexame do processo. A EMA publicou que diante das incertezas ainda existentes quanto à eficácia e à segurança do Elevidys®, a relação benefício-risco do produto não se mostrou favorável até o presente momento, não sendo recomendada a sua autorização de comercialização no território europeu enquanto persistirem dúvidas relevantes sobre a magnitude do benefício clínico e o perfil de segurança a longo prazo.

3. Conclusão

A suspensão da importação, distribuição, comercialização e uso do medicamento Elevidys® no território nacional permanece vigente, nos termos da Resolução-RE nº 2.813/2025, adotada como medida de precaução sanitária. Tal suspensão subsistirá até a conclusão da análise técnica final e deliberação oficial da Anvisa, atualmente em fase conclusiva, assegurando que eventual decisão de

liberação ocorra com base em evidências científicas robustas e em estrita observância à legislação sanitária vigente.

A Anvisa reafirma que nenhuma decisão será adotada sem o devido rigor científico, transparência e responsabilidade regulatória, sendo o objetivo central proteger os pacientes brasileiros contra riscos inaceitáveis, diante das incertezas existentes quanto à segurança do Elevidys®. Concluídas as análises técnicas e deliberações científicas, a decisão final será amplamente divulgada por meio dos canais oficiais da Anvisa, de forma pública e transparente.

Para informações adicionais sobre o processo de registro, recomenda-se a consulta ao **Parecer Público de Avaliação de Medicamento (PPAM) – Produto de Terapia Avançada Elevidys® (delandistrogene moxeparvoeque)**, disponível no portal da Anvisa: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/ensaios-clinicos-autorizados/cartas-de-aprovacao/ppam-elevidys-diagramado.pdf/view>



Documento assinado eletronicamente por **Renata Miranda Parca, Especialista em Regulação e Vigilância Sanitária**, em 28/10/2025, às 17:32, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



Documento assinado eletronicamente por **Christiane da Silva Costa, Gerente de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas Substituto(a)**, em 28/10/2025, às 17:34, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



Documento assinado eletronicamente por **Marcelo Mario Matos Moreira, Gerente-Geral de Prod. Biológicos, Rad., Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Prod. de Ter. Avançadas**, em 29/10/2025, às 09:46, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **3885608** e o código CRC **38744AA5**.



CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 396

A Sua Excelência o Senhor
ALEXANDRE PADILHA
Ministro de Estado da Saúde

Assunto: **Requerimento de Informação**

(datado eletronicamente)

Senhor Ministro,

Nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal, encaminho a Vossa Excelência cópia(s) do(s) seguinte(s) Requerimento(s) de Informação:

PROPOSIÇÃO	AUTOR
Requerimento de Informação nº 5.689/2025	Deputada Antônia Lúcia
Requerimento de Informação nº 5.690/2025	Deputada Antônia Lúcia
Requerimento de Informação nº 6.061/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 6.075/2025	Comissão de Fiscalização Financeira e Controle
Requerimento de Informação nº 6.104/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 6.114/2025	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 6.115/2025	Deputado Helio Lopes
Requerimento de Informação nº 6.426/2025	Deputado Dr. Frederico
Requerimento de Informação nº 6.434/2025	Deputado Dr. Luiz Ovando
Requerimento de Informação nº 6.458/2025	Deputado Dr. Frederico
Requerimento de Informação nº 6.464/2025	Deputada Renata Abreu
Requerimento de Informação nº 6.478/2025	Deputado Augusto Coutinho
Requerimento de Informação nº 6.484/2025	Deputado Euclides Pettersen
Requerimento de Informação nº 6.486/2025	Deputado Euclides Pettersen
Requerimento de Informação nº 6.495/2025	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 6.498/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 6.502/2025	Deputado Dr. Ismael Alexandrino
Requerimento de Informação nº 6.507/2025	Deputada Rosangela Moro
Requerimento de Informação nº 6.518/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 6.526/2025	Deputado Gustavo Gayer
Requerimento de Informação nº 6.535/2025	Deputado Capitão Alberto Neto

- NOTA: Na existência de requerimentos de diferentes autorias, deve ser encaminhado um ofício de reposta para cada autor/a da proposição.



Documento assinado por:

05/11/2025 16:37 - Dep. CARLOS VERAS

Selo digital de segurança: 2025-GNUS-HBGX-FWSE-BLHR



CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 396

Requerimento de Informação nº 6.558/2025	Deputado Neto Carletto
Requerimento de Informação nº 6.559/2025	Deputado Neto Carletto
Requerimento de Informação nº 6.560/2025	Deputado Antonio Brito
Requerimento de Informação nº 6.568/2025	Deputado Delegado Caveira
Requerimento de Informação nº 6.592/2025	Comissão de Fiscalização Financeira e Controle
Requerimento de Informação nº 6.603/2025	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 6.604/2025	Deputada Gisela Simona
Requerimento de Informação nº 6.622/2025	Deputado Dr. Frederico
Requerimento de Informação nº 6.635/2025	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 6.639/2025	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 6.641/2025	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 6.650/2025	Deputada Erika Kokay
Requerimento de Informação nº 6.654/2025	Deputada Renata Abreu

Por oportuno, solicito, na eventualidade de a informação requerida ser de natureza sigilosa, seja enviada também cópia da decisão de classificação proferida pela autoridade competente, ou termo equivalente, contendo todos os elementos elencados no art. 28 da Lei nº 12.527/2011 (Lei de Acesso à Informação), ou, caso se trate de outras hipóteses legais de sigilo, seja mencionado expressamente o dispositivo legal que fundamenta o sigilo. Em qualquer caso, solicito ainda que os documentos sigilosos estejam acondicionados em invólucro lacrado e rubricado, com indicação ostensiva do grau ou espécie de sigilo.

Atenciosamente,

Deputado CARLOS VERAS
Primeiro-Secretário

- NOTA: Na existência de requerimentos de diferentes autorias, deve ser encaminhado um ofício de reposta para cada autor/a da proposição.



Documento assinado por:

05/11/2025 16:37 - Dep. CARLOS VERAS

Selo digital de segurança: 2025-GNUS-HBGX-FWSE-BLHR

REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO Nº _____, DE 2025
(Da Sra. RENATA ABREU)

Requer informações ao Exmo. Sr. Ministro de Estado da Saúde, Alexandre Padilha, junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária(ANVISA), acerca da suspensão da comercialização, distribuição, fabricação, importação, propaganda e uso do medicamento Elevidys no Brasil.

Senhor Presidente:

Requeiro a V. Ex^a., com base no art. 50 da Constituição Federal, e na forma dos arts. 115 e 116 do Regimento Interno que, ouvida a Mesa, sejam solicitadas informações ao Exmo. Sr. Ministro de Estado da Saúde, Alexandre Padilha, junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária(ANVISA), no sentido de esclarecer esta Casa quanto à suspensão da comercialização, distribuição, fabricação, importação, propaganda e uso do medicamento Elevidys no Brasil, em especial os seguintes aspectos

1. Quais as razões que levaram a Anvisa a suspender o uso do medicamento Elevidys?
2. Que tipos de efeitos colaterais são reconhecidos com o uso do Elevidys?
3. Alguma providência ou exigência foi feita junto ao laboratório produtor?
4. Existe algum processo de fiscalização e controle em curso que envolve o Elevidys?
5. Como as autoridades sanitárias de outros países, em especial a dos Estados Unidos e de países da União Europeia, têm conduzido o registro e acompanhamento da comercialização e uso do Elevidys?



6. Quais as alternativas terapêuticas existentes e registradas no Brasil para o tratamento de pacientes com a distrofia muscular de Duchenne?

JUSTIFICAÇÃO

A Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), é uma doença neuromuscular genética que causa a degeneração e a fraqueza muscular progressiva e irreversível, principalmente nos músculos esqueléticos, mas que também afeta o coração, resultado da produção inexistente ou deficiente da proteína distrofina, essencial para a integridade das fibras musculares. Atinge predominantemente meninos, manifestando-se na infância com dificuldade para andar, correr e saltar. Em idades mais avançadas, pode demandar o uso de cadeira de rodas e a necessidade de ventilação mecânica.

Até pouco tempo atrás, o tratamento era paliativo e objetivava o controle dos principais sintomas. Entretanto, o surgimento de novas tecnologias tem mudado a perspectiva de paciente com a DMD. Inicialmente, foram as terapias que utilizavam a técnica de exon skipping – salto de éxon, como o Exondys 51, Vyondys 53, Amondys 45 e Viltepsso, os quais, ao excluírem determinados exóons da leitura, conseguiram restaurar parcialmente a produção da distrofina. Apesar dos benefícios, não representava a cura da doença, pois não alterava a causa genética.

Com o surgimento das técnicas de engenharia genética incorporadas à produção de medicamentos, conhecida como terapia gênica, muitos pacientes com doenças genéticas ganharam maiores esperanças de, um dia, obterem a cura definitiva de doenças como a DMD. Nesse contexto, surgiu o Elevidys, a primeira terapia gênica para o tratamento da DMD, que utiliza um vetor viral responsável por entregar um gene que codifica a microdistrofina (versão com a parte funcional da distrofina). Ele é administrado em dose intravenosa única. Foi aprovado pelo FDA/USA em junho de 2023, para menino com 4 a 5 anos de idade e capazes de andar, com mutação



confirmada no gene DMD. Um ano depois, a aprovação foi expandida para englobar pacientes acima de 4 anos deambulantes ou não.

No Brasil, a Anvisa concedeu o registro ao Elevidys em dezembro de 2024, em caráter excepcional, para o tratamento de crianças de 4 a 7 anos que ainda se locomoviam. Esse avanço transformador foi um acontecimento que trouxe muita esperança aos pacientes com distrofia muscular de Duchenne do país, em especial com a existência de dados de estudos clínicos que evidenciaram e reforçaram a eficácia do produto. O principal problema, até então, era o preço da terapia, um obstáculo que não reduziu as expectativas de um futuro sem a doença para muitas crianças.

Entretanto, a Anvisa surpreendeu os pacientes com a DMD e seus familiares ao determinar a suspensão temporária do Elevidys no Brasil, nos termos da Resolução RE nº 2.813, de 24 de julho de 2025. A medida deverá ser mantida enquanto o laboratório Roche, proprietário da marca, não fornecer informações técnicas detalhadas sobre o produto.

O presente Requerimento de Informações, assim, tem o objetivo de esclarecer todas as questões e dúvidas que envolvem a referida suspensão sanitária da comercialização do Elevidys, de modo a fundamentar a adoção de medidas que possam remover os obstáculos impostos aos pacientes com distrofia muscular de Duchenne para o pleno exercício de seu direito à saúde com dignidade.

Sala das Sessões, em de de 2025.

Deputada RENATA ABREU

