



EXCELENTÍSSIMO SENHOR PRESIDENTE DA ASSEMBLEIA LEGISLATIVA DO
ESTADO DE SANTA CATARINA

MOÇÃO

Apela à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), para que seja dedicado especial esforço em manter o registro do Elevidys, ainda que em caráter excepcional.

O signatário, com base no art. 196 do Regimento Interno deste Poder, considerando:

- que atualmente o *Elevidys*® é o único medicamento de terapia gênica aprovado no país, para tratamento de crianças deambulantes de 4 à 7 anos de idade, diagnosticadas com distrofia muscular de *Duchenne* (DMD);

- a ausência de outras alternativas terapêuticas;

- o registro concedido em caráter excepcional pela ANVISA, que já reconheceu a gravidade da doença e a necessidade médica não atendida;

- as evidências clínicas de benefício funcional em desfechos secundários, que embora o estudo *pivotal* EMBARK (fase 3) não tenha atingido o *endpoint* primário (escala NSAA), houve melhorias estatisticamente significativas em desfechos secundários, como tempo para levantar do chão, caminhar/correr 10 metros e subir escadas. Esses parâmetros têm relevância clínica direta para a qualidade de vida;

- o reconhecimento por agências internacionais de referência, onde o próprio FDA expandiu a aprovação em 2024 para pacientes deambulantes e não deambulantes a partir de 4 anos, destacando que os desfechos secundários e exploratórios mostraram benefício clínico relevante;

- a necessidade de considerar a opção pelo menor grau de certeza científica nesses casos, conforme defendido por entidades médicas como a Sociedade Brasileira de Genética Médica, para viabilizar acesso a terapias promissoras em condições órfãs.

requer o encaminhamento de Moção ao Superintendente da ANVISA, nos seguintes termos:

A Assembleia Legislativa do Estado de Santa Catarina, acolhendo proposição DEPUTADO NAPOLEÃO BERNARDES, apela a Vossa Excelência para que seja dedicado especial esforço em manter o registro do Elevidys, ainda que em caráter excepcional. Atenciosamente, Deputado Júlio Garcia - Presidente.

Sala das Sessões,

Napoleão Bernardes
Deputado Estadual



ELEGIS
Sistema de Processo
Legislativo Eletrônico

Documento assinado eletronicamente por **Ana Caroline Campagnolo**, em 21/08/2025, às 14:32.



ELEGIS
Sistema de Processo
Legislativo Eletrônico

Documento assinado eletronicamente por **Napoleão Bernardes Neto**, em 21/08/2025, às 14:04.
