



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde
Coordenação de Incorporação de Tecnologias

OFÍCIO Nº 152/2025/CITEC/DGITS/SECTICS/MS

Brasília, 31 de março de 2025.

A Sua Excelência o Senhor

NAPOLEÃO BERNARDES

Deputado Estadual

Assembleia Legislativa do Estado de Santa Catarina - Gabinete do Deputado Estadual Napoleão Bernardes

E-mail: gabinete@napoleaobernandes.com.br

Assunto: Moção nº 0046/2025. Solicitação da incorporação do medicamento delandistrogeno moxeparvoveque.

Prezado Senhor,

Cumprimentando-o cordialmente, referimo-nos ao Ofício nº GPS/DL/040/2025 (0046733788), de 12/03/2025, registrado no Ministério da Saúde sob o 25000.040204/2025-71, que:

"Apela ao Ministro da Saúde e à Diretora do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologia em Saúde pela incorporação do medicamento Elevidys ao Sistema Único de Saúde."

Conforme atribuições insculpidas no art. 36 do Decreto nº 11.798^[1], de 28 de novembro de 2023, o Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS/SECTICS/MS é responsável, dentre outras, por subsidiar e dar suporte às atividades e às demandas da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – Conitec.

A Conitec, órgão colegiado de caráter permanente, integrante da estrutura regimental do Ministério da Saúde, tem por objetivo assessorar a Pasta nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração pelo Sistema Único de Saúde - SUS de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas.

1. Da Distrofia Muscular de Duchenne - DMD

Dentre o espectro de doenças que afetam a fraqueza muscular progressiva, destaca-se a DMD devido, principalmente, ao seu cunho genético. A DMD é caracterizada por uma desordem severa ligada ao cromossomo X causada por mutações no gene da distrofina, que culminam na perda funcional da proteína a ser sintetizada^[2].

Por se tratar de um padrão de herança recessivo, a DMD é mais comum no sexo masculino, embora também ocorra no sexo feminino, em que os sintomas se apresentam mais moderados^[3]. Como revisado por Bez Batti Angulski e colaboradores (2023)^[4], os primeiros sintomas de fraqueza muscular ocorrem inicialmente em músculos proximais e, posteriormente, progredem para os mais distais. Essa característica faz com que o diagnóstico seja feito nos primeiros anos de vida do paciente.

Clinicamente, a manifestação dessa doença é caracterizada pelo atraso no desempenho motor grosso, anormalidades na marcha, hipertrofia da panturrilha, dificuldade de se levantar da posição deitada ou sentada, além de quedas frequentes. Essas manifestações ocorrem devido à perda funcional da distrofina, que modifica os miócitos e progressivamente são substituídos por fibrose e tecido adiposo^[5].

Devido à progressão da doença e consequente perda da funcionalidade muscular, pacientes com DMD usualmente necessitam de cadeiras de rodas entre 10-12 anos e entre 20-40 anos de idade os músculos cardíacos e respiratórios são afetados, culminando em parada cardíaca/respiratória^[6]. Dessa maneira, esses pacientes possuem uma baixa expectativa de vida, com a média de 28 anos para aqueles pacientes que nasceram após 1990^[7].

Essa é a desordem recessiva mais comum no mundo, com uma prevalência global de 3,6 a cada 100.000 pessoas e de 5,1 a cada 100.000 pessoas na América do Norte^{[3],[4]}. No Brasil, não há dados de prevalência acurados para todo o território^[5]. O diagnóstico da DMD é feito clínica e laboratorialmente. São observados os sintomas clínicos do paciente e, juntamente, é realizado diagnóstico molecular, que consiste em verificar mutações no gene da distrofina (via reação em cadeia da polimerase multiplex ou por microarranjo).

No entanto, se a variante gênica causadora não for identificada após essas análises iniciais e também de análise de pequena mutação, os pacientes devem ser encaminhados para realização de biópsia muscular e análise de proteína ou mRNA^[2]. Ainda não há disponibilizado tratamento preventivo ou curativo para a DMD. Atualmente, são utilizados pelo mundo três categorias de medicamentos usados: glicocorticoides, *exon skipping* e terapia gênica.

Embora haja melhora nos parâmetros de força muscular em decorrência dos glicocorticoides (melhora da força, da função motora, retardar a perda de deambulação e também da função pulmonar, etc), ainda não há elucidação total do mecanismo de ação de como esse fenômeno ocorre^[8].

2. Do processo de incorporação de medicamentos no SUS

A Constituição Federal estabelece, em seu art. 200, a competência do SUS, *in verbis*:

"Art. 200. Ao sistema único de saúde compete, além de outras atribuições, nos termos da lei:

- I - controlar e fiscalizar procedimentos, produtos e substâncias de interesse para a saúde e participar da produção de medicamentos, equipamentos, imunobiológicos, hemoderivados e outros insumos;
- II - executar as ações de vigilância sanitária e epidemiológica, bem como as de saúde do trabalhador;
- III - ordenar a formação de recursos humanos na área de saúde;
- IV - participar da formulação da política e da execução das ações de saneamento básico;
- V - **incrementar, em sua área de atuação, o desenvolvimento científico e tecnológico e a inovação;**
- VI - fiscalizar e inspecionar alimentos, compreendido o controle de seu teor nutricional, bem como bebidas e águas para consumo humano;
- VII - participar do controle e fiscalização da produção, transporte, guarda e utilização de substâncias e produtos psicoativos, tóxicos e radioativos;
- VIII - colaborar na proteção do meio ambiente, nele compreendido o do trabalho." (grifamos).

Em consonância com essas disposições e princípios constitucionais, a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, previu o acesso universal e igualitário às ações e aos serviços para a sua promoção, proteção e recuperação e que a incorporação, exclusão e alteração pelo SUS de novos medicamentos deve ser precedida de análise acerca de evidências científicas e de avaliação econômica, veja-se:

"Art. 2º A saúde é um direito fundamental do ser humano, devendo o Estado prover as condições indispensáveis ao seu pleno exercício.

§ 1º O dever do Estado de garantir a saúde consiste na formulação e execução de políticas econômicas e sociais que visem à redução de riscos de doenças e de outros agravos e no estabelecimento de condições que assegurem acesso universal e igualitário às ações e aos serviços para a sua promoção, proteção e recuperação.

§ 2º O dever do Estado não exclui o das pessoas, da família, das empresas e da sociedade.

(...)

Art. 3º Os níveis de saúde expressam a organização social e econômica do País, tendo a saúde como determinantes e condicionantes, entre outros, a alimentação, a moradia, o saneamento básico, o meio ambiente, o trabalho, a renda, a educação, a atividade física, o transporte, o lazer e o acesso aos bens e serviços essenciais. [\(Redação dada pela Lei nº 12.864, de 2013\)](#)

Parágrafo único. Dizem respeito também à saúde as ações que, por força do disposto no artigo anterior, se destinam a garantir às pessoas e à coletividade condições de bem-estar físico, mental e social.

(...)

Art. 19-Q. A incorporação, a exclusão ou a alteração pelo SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica, são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

§ 1º A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, cuja composição e regimento são definidos em regulamento, contará com a participação de 1 (um) representante indicado pelo Conselho Nacional de Saúde e de 1 (um) representante, especialista na área, indicado pelo Conselho Federal de Medicina. [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

§ 1º A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, cuja composição e regimento são definidos em regulamento, contará com a participação de 1 (um) representante indicado pelo Conselho Nacional de Saúde e de 1 (um) representante, especialista na área, indicado pelo Conselho Federal de Medicina. [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

§ 2º O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS levará em consideração, necessariamente: [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso; [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível. [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

§ 3º As metodologias empregadas na avaliação econômica a que se refere o inciso II do § 2º deste artigo serão dispostas em regulamento e amplamente divulgadas, inclusive em relação aos indicadores e parâmetros de custo-efetividade utilizados em combinação com outros critérios. [\(Incluído pela Lei nº 14.313, de 2022\)](#)

Art. 19-R. A incorporação, a exclusão e a alteração a que se refere o art. 19-Q serão efetuadas mediante a instauração de processo administrativo, a ser concluído em prazo não superior a 180 (cento e oitenta) dias, contado da data em que foi protocolado o pedido, admitida a sua prorrogação por 90 (noventa) dias corridos, quando as circunstâncias exigirem. [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

§ 1º O processo de que trata o caput deste artigo observará, no que couber, o disposto na Lei nº 9.784, de 29 de janeiro de 1999, e as seguintes determinações especiais: [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

I - apresentação pelo interessado dos documentos e, se cabível, das amostras de produtos, na forma do regulamento, com informações necessárias para o atendimento do disposto no § 2º do art. 19-Q; [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

II - (VETADO); [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

III - realização de consulta pública que inclua a divulgação do parecer emitido pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS; [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

IV - realização de audiência pública, antes da tomada de decisão, se a relevância da matéria justificar o evento. [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

V - distribuição aleatória, respeitadas a especialização e a competência técnica requeridas para a análise da matéria; [\(Incluído pela Lei nº 14.313, de 2022\)](#)

VI - publicidade dos atos processuais. [\(Incluído pela Lei nº 14.313, de 2022\)](#)

(...)

Art. 19-T. São vedados, em todas as esferas de gestão do SUS: [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

I - o pagamento, o ressarcimento ou o reembolso de medicamento, produto e procedimento clínico ou cirúrgico experimental, ou de uso não autorizado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária - ANVISA; [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

II - a dispensação, o pagamento, o ressarcimento ou o reembolso de medicamento e produto, nacional ou importado, sem registro na Anvisa. [\(Incluído pela Lei nº 12.401, de 2011\)](#)

Parágrafo único. Excetuam-se do disposto neste artigo: [\(Incluído pela Lei nº 14.313, de 2022\)](#)

I - medicamento e produto em que a indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro na Anvisa, desde que seu uso tenha sido recomendado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), demonstradas as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança, e esteja padronizado em protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde; [\(Incluído pela Lei nº 14.313, de 2022\)](#).

II - medicamento e produto recomendados pela Conitec e adquiridos por intermédio de organismos multilaterais internacionais, para uso em programas de saúde pública do Ministério da Saúde e suas entidades vinculadas, nos termos do [§ 5º do art. 8º da Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999](#). [\(Incluído pela Lei nº 14.313, de 2022\)](#)." (grifamos).

A regulamentação desses dispositivos legais ficou a cargo do Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, que dispõe sobre a Conitec e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo SUS. Nesse sentido, destaca-se:

"Art. 2º A CONITEC, órgão colegiado de caráter permanente, integrante da estrutura regimental do Ministério da Saúde, tem por objetivo assessorar o Ministério da Saúde nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração pelo SUS de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas.

Art. 3º São diretrizes da CONITEC:

I - a universalidade e a integralidade das ações de saúde no âmbito do SUS com base no melhor conhecimento técnico-científico disponível;

II - a proteção do cidadão nas ações de assistência, prevenção e promoção à saúde por meio de processo seguro de incorporação de tecnologias pelo SUS;

III - a incorporação de tecnologias por critérios racionais e parâmetros de eficácia, eficiência e efetividade adequados às necessidades de saúde; e

IV - a incorporação de tecnologias que sejam relevantes para o cidadão e para o sistema de saúde, baseadas na relação custo-efetividade.

(...)

Art. 5º A estrutura de funcionamento da CONITEC compõe-se de:

~~I - Plenário; e~~

I - Comitê de Medicamentos; [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

~~II - Secretaria-Executiva;~~

II - Comitê de Produtos e Procedimentos; [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

III - Comitê de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas; e [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

IV - Secretaria-Executiva. [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

Art. 6º Os Comitês são responsáveis pela emissão de relatórios e pareceres conclusivos destinados a assessorar o Ministério da Saúde: [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

I - na incorporação, exclusão ou alteração, pelo SUS, de tecnologias em saúde; [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

II - na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas; e [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

III - na atualização da RENAME. [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

(...)

Art. 15. A incorporação, a exclusão e a alteração pelo SUS de tecnologias em saúde e a constituição ou a alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas serão precedidas de processo administrativo, em procedimento a ser definido em ato do Ministro de Estado da Saúde, que observará as seguintes etapas: [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

I - protocolo do requerimento pela parte interessada; [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

II - análise de conformidade pela Secretaria-Executiva da CONITEC, nos termos do disposto no art. 16; [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

III - elaboração de relatório pela Secretaria-Executiva da CONITEC, para subsidiar as recomendações dos Comitês da CONITEC, nos termos do disposto no art. 18; [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

IV - deliberação preliminar dos Comitês da CONITEC, com a sua posterior submissão à consulta pública, nos termos do disposto no art. 19; [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

V - deliberação final dos Comitês da CONITEC, convertida em registro, nos termos do disposto no art. 17; [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

VI - decisão do Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde, nos termos do disposto no art. 23; e [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

VII - julgamento de eventual recurso pelo Ministro de Estado da Saúde, nos termos do disposto no art. 27. [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

~~§ 1º O requerimento de instauração do processo administrativo para a incorporação e a alteração pelo SUS de tecnologias em saúde e a constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas deverá ser protocolado pelo interessado na Secretaria-Executiva da CONITEC, devendo ser acompanhado de:~~

§ 1º O requerimento de instauração do processo administrativo para a incorporação e a alteração pelo SUS de tecnologias em saúde será protocolado pelo interessado na Secretaria-Executiva da CONITEC, e será acompanhado de: [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

I - formulário integralmente preenchido, de acordo com o modelo estabelecido pela CONITEC;

II - número e validade do registro da tecnologia em saúde na ANVISA;

III - evidência científica que demonstre que a tecnologia pautada é, no mínimo, tão eficaz e segura quanto aquelas disponíveis no SUS para determinada indicação;

IV - estudo de avaliação econômica comparando a tecnologia pautada com as tecnologias em saúde disponibilizadas no SUS;

~~V - amostras de produtos, se cabível para o atendimento do disposto no §2º do art. 19-Q, nos termos do regimento interno; e~~

V - amostras de produtos, se cabível para o atendimento do disposto no [§ 2º do art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990](#), nos termos do disposto em regimento interno; [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

~~VI - o preço fixado pela CMED, no caso de medicamentos;~~

VI - o preço fixado pela CMED, no caso de medicamentos; e [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

VII - análise de impacto orçamentário da tecnologia em saúde no SUS. [\(Incluído pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

(...)

Art. 18. Para subsidiar a deliberação de que trata o art. 17, a Secretaria-Executiva da CONITEC elaborará relatório que levará em consideração: [\(Redação dada pelo Decreto nº 11.161, de 2022\)](#) Vigência

I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso;

II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível; e

III - o impacto da incorporação da tecnologia no SUS." (grifamos).

Portanto, para que um medicamento seja fornecido pelo SUS, é necessário, via de regra:

- i) registro na Anvisa;
- ii) preço regulado pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED;
- iii) que a avaliação seja solicitada à Conitec por algum proponente;
- iv) que ela seja analisada e recomendada pela Conitec; e
- v) que o Secretário de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde - SECTICS/MS decida pela incorporação, após regular análise e recomendação da Conitec, conforme disposto na Lei nº 8.080/1990, no Decreto nº 7.646/2011 e no Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017.

3. Da tecnologia delandistrogênio moxeparvoveque

Delandistrogênio moxeparvoveque (Elevidys®) é uma terapia genética baseada em vetor de vírus adeno-associado - AAV. Foi projetada para fornecer um gene que codifica uma proteína micro-distrofina, uma versão encurtada (138 kDa) da distrofina normal (427 kDa), a todos os músculos afetados pela DMD^[9].

Na Anvisa, o processo de registro sanitário foi publicado em 02/12/2024, por meio da Resolução-RE nº 4.486, de 29 de novembro de 2024. A agência noticiou o registro nos seguintes termos:

"A Anvisa concedeu o registro do Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoveque) para a empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Este é o primeiro medicamento de terapia gênica aprovado no Brasil para tratar crianças deambuladores (que ainda conseguem caminhar) de 4 a 7 anos de idade com distrofia muscular de Duchenne (DMD). O registro foi publicado no Diário Oficial da União desta segunda-feira (2/12).

Para pacientes acima de 7 anos e que perderam a capacidade de locomoção funcional, mesmo que com algumas dificuldades ou limitações, os dados disponíveis são limitados e ainda não são suficientes para verificar o benefício do uso do produto.

Além disso, ressalta-se que há contraindicações aos pacientes com deleções (perdas de parte de um cromossomo) nos éxons 8 e/ou 9 do gene DMD ou com títulos elevados de anticorpos contra o vetor viral. Os éxons são regiões específicas do DNA do paciente.

O registro foi concedido em caráter excepcional, conforme o artigo 30 da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 505/2021, devido à gravidade da DMD, uma doença rara e debilitante, e à ausência de alternativas terapêuticas para os pacientes.

[...]

Benefícios e riscos

Os benefícios do Elevidys no tratamento de pacientes com DMD, deambulantes, com idade de 4 a 7 anos de idade, demonstram uma melhora significativa em funções essenciais, como a capacidade de ficar em pé, caminhar e subir escadas. Esses benefícios superam os riscos associados ao tratamento.

A relação entre benefícios e riscos é considerada favorável, mesmo diante de incertezas, como a duração da resposta terapêutica.

A aprovação do registro do Elevidys oferece uma alternativa terapêutica capaz de retardar ou prevenir o declínio funcional irreversível, em pacientes que possuem poucas ou nenhuma opção de tratamento disponível para evitar a progressão desse declínio ao longo do tempo.

Nesse contexto, o Elevidys foi aprovado por meio da via de registro de caráter excepcional, sob condições de monitoramento de longo prazo, definida na RDC 505/2021, que estabelece a possibilidade de aprovação de medicamentos para doenças raras e graves em relação às quais há uma necessidade clínica não atendida e o medicamento tenha demonstrado efeito em desfechos clínicos que prediz o benefício clínico para os pacientes em longo prazo. Essa via proporciona aos pacientes a possibilidade de acesso a novos medicamentos promissores, com tecnologias inovadoras, e que demonstraram determinados benefícios nos grupos de pacientes submetidos às pesquisas clínicas. **No entanto, é necessário que a empresa detentora do registro continue o monitoramento de dados dos pacientes para confirmar a eficácia e a segurança por um longo período.**

Assim, apesar de os benefícios demonstrados superarem os riscos para pacientes elegíveis, ainda existem incertezas quanto à duração e à característica da resposta em longo prazo, o que deverá ser monitorado pela empresa e avaliado anualmente pela Anvisa.

Monitoramento pós-aprovação e Termo de Compromisso

Um registro sanitário sob condições, em circunstâncias excepcionais, é aplicado a medicamentos que não se encaixam no processo de registro padrão, pois dados abrangentes não podem ser obtidos devido ao pequeno número de pacientes, à dificuldade de coletar informações completas de eficácia e segurança devido a características específicas da doença, ou a lacunas no conhecimento científico, inclusive sobre a tecnologia inovadora. Esses medicamentos estão sujeitos a obrigações específicas de monitoramento pós-registro.

A Anvisa estabeleceu um Termo de Compromisso (TC) com a empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. para que ela forneça dados adicionais sobre a eficácia e a segurança, em longo prazo, dos pacientes incluídos nos ensaios clínicos, com base em um acompanhamento de 15 anos, além de estudos observacionais de efetividade e segurança baseados em dados de pacientes tratados no Brasil e, globalmente, em cenário comercial. Esses estudos serão realizados de acordo com protocolos acordados e os resultados serão monitorados anualmente pela Agência." (destaques nossos).

Como se vê, em que pese a autarquia ter deferido o registro, este foi baseado em desfecho clínico, que prediz o benefício clínico. Conforme os estudos que o embasaram, há, ainda, incertezas quanto ao benefício clínico do medicamento.

A alteração da expressão de distrofina e a diferença em escala, que foram significativas em alguns grupos, não traz, necessariamente desfecho robusto sobre o ganho clínico para esse paciente. Por isso, a Anvisa, ao deferir o registro, impõe a necessidade de monitorar os pacientes para confirmar a eficácia e segurança em longo período.

Destaca-se que, no dia 18 de março de 2025, a empresa Sarepta anunciou a morte de um jovem de 16 anos em decorrência de um quadro de insuficiência hepática aguda. O medicamento foi administrado em dezembro de 2024. A lesão hepática grave aguda está entre os eventos adversos graves após a administração da tecnologia, mas, até o momento, não havia notificação de evolução do quadro para morte. A Sarepta declarou que testes revelaram que o paciente teve uma infecção recente por citomegalovírus (CMV), identificada pelo médico assistente como um possível fator contribuinte, no entanto, a empresa está analisando as informações do caso concreto.

Os pacientes com idade abaixo de quatro anos, acima de oito anos e aqueles com condição clínica não-ambulatoriais estão sendo recrutados em ensaios clínicos multicêntricos em outros países, não tendo ainda nenhum dado que demonstre eficácia ou segurança. Importante destacar, a partir do perfil de pacientes em recrutamento nos estudos clínicos, que o uso do Elevidys® continua exigindo acompanhamento e monitoramento dos pacientes para levantar dados de segurança e eficácia, em diferentes perfis de pacientes e faixa etária.

A empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. protocolou pedido de avaliação para incorporação do delandistrogênio moxeparvoveque na Comissão para pacientes pediátricos deambuladores com idade entre 4 e 7 anos, diagnosticados com DMD e mutação confirmada no gene DMD, sem deleção nos éxons 8 e/ou 9 e que possuem título de anticorpos < 1:400. O tema foi avaliado preliminarmente durante a 139ª Reunião Ordinária^[10] da Conitec, no dia 03/04/2025, momento que os membros do Comitê de Medicamentos recomendaram o encaminhamento da demanda à consulta pública com parecer desfavorável.

A demanda seguirá o rito previsto no Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, e será disponibilizada em consulta pública para manifestação da sociedade. Findo o prazo, o Comitê de Medicamentos avaliará as contribuições recebidas e emitirá parecer conclusivo. A decisão final será dada pela Secretária da SECTICS/MS e poderá ser precedida por audiência pública, se a relevância da matéria justificar o evento. Ao final, publica-se a decisão no Diário Oficial da União.

4. Do Monitoramento do Horizonte Tecnológico - MHT para o tratamento da DMD

O MHT é uma etapa específica no processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde - ATS, que tem como objetivo identificar tecnologias novas e emergentes e prever os impactos que essas possam causar no sistema de saúde. Nesse sentido o MHT pode auxiliar o processo de incorporação, no que diz respeito à antecipação das demandas e a identificação de tecnologias que tenham custo financeiro viável para o sistema de saúde, mas também impacto favorável na prática clínica, na organização dos serviços e nos aspectos sociais e éticos associados a sua utilização.

No que tange ao MHT, foi realizada a busca nas bases *ClinicalTrials* e Cortellis, restando claro que além do delandistrogênio moxeparvoveque, os princípios ativos abaixo destacados apresentam potenciais para o tratamento da DMD:

Princípio ativo	Mecanismo de ação	Via de administração	Estudos de Eficácia	Aprovação para a população em análise
Givinostat	Indutor de apoptose que inibe a histona desacetilase	Via oral	Fase 4	Anvisa e EMA: Sem registro FDA: Registrado (2024)
Vamorolone	Análogo do glicocorticoide delta-9	Via oral	Fase 4	Anvisa: Sem registro EMA e FDA: Registrado (2023)
Casimersen	Terapia de RNA antisense	Via intravenosa	Fase 4	Anvisa e EMA: Sem registro FDA: Registrado (2021)
Viltolarsen	Oligonucleotídeo antisense da subclasse fosforodiamidato morfolino oligômero	Via intravenosa	Fase 4	Anvisa e EMA: Sem registro FDA: Registrado (2020)
Golodirsen	Oligonucleotídeo antisense da subclasse fosforodiamidato morfolino oligômero	Via intravenosa	Fase 4	Anvisa e EMA: Sem registro FDA: Registrado (2019)
Sevasemten	Inibidor de miosina II do músculo esquelético	Via oral	Fase 3	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
GNT-004	Terapia gênica de vetor viral adenoassociado 8	Via intravenosa	Fase 3	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
Deramiocecel	Células tronco alogênicas	Via intravenosa	Fase 3	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
Pizuglanstat	Inibidor seletivo da prostaglandina D2 sintase	Via intravenosa	Fase 3	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
Fordadistrogênio movaparvovec	Terapia gênica de vetor viral adenoassociado 9	Via intravenosa	Fase 3	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
ATL-1102	Nucleotídeo antisense de segunda geração que inibe o RNA mensageiro CD49d	Via intravenosa	Fase 2	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
Brogidirsen	Oligonucleotídeo antisense ligado ao exon 44	Via intravenosa	Fase 2	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
Delpacibart zotadirsen	Anticorpo monoclonal ligado ao receptor antitransferrina	Via intravenosa	Fase 2	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
DYNE-251	oligonucleotídeo antisense ligado ao receptor TFR-1	Via intravenosa	Fase 2	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro

PGN-EDO51	Terapia peptídica conjugada a fosforodiamidato morfolino oligômero (PMO)	Via intravenosa	Fase 2	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
RGX-202	Terapia gênica de vetor viral adenoassociado 8	Via intravenosa	Fase 2	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro
Satralizumabe	Antagonista do receptor de IL-6	Via intravenosa	Fase 2	Anvisa, EMA e FDA: Sem registro

Terapias genéticas de vetores de vírus adeno-associados *in vivo*, como o delandistrogeno moxeparoveque envolvem monitoramento de segurança complexo, contínuo e intensivo, com visitas de acompanhamento frequentes devido ao risco de efeitos adversos graves imunomediados. Centros que pretendem oferecer a terapia deverão estabelecer equipes interdisciplinares compostas por neurologia, cardiologia, pneumologia, imunologia, hepatologia, e nefrologia para garantir um tratamento seguro e abrangente^[21]. Consequentemente, o acesso a centros qualificados é restrito, levando a disponibilidade geográfica desigual de instalações de tratamento. Com acesso limitado aos centros, alguns pacientes podem tornar-se ineleáveis devido à soroconversão ou piora do estado médico enquanto aguarda tratamento.

5. Da Disponibilização de Informações na Internet

As demandas submetidas à apreciação da Conitec e o status do processo podem ser conferidas em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas> >.

Os relatórios técnicos e para a sociedade, bem como as portarias decisórias podem ser encontrados em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/recomendacoes-conitec> >.

Sem mais, colocamo-nos à disposição para demais esclarecimentos que se fizerem necessários.

Atenciosamente,

ANDREA BRÍGIDA DE SOUZA

Coordenadora

CITEC/DGITS/SECTICS/MS

LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN

Diretora

DGITS/SECTICS/MS

[1] https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2023-2026/2023/decreto/D11798.htm#art6

[2] HOFFMAN, Eric P.; BROWN JR, Robert H.; KUNKEL, Louis M. Dystrophin: the protein product of the Duchenne muscular dystrophy locus. *Cell*, v. 51, n. 6, p. 919-928, 1987..

[3] SALARI, Nader et al. Global prevalence of Duchenne and Becker muscular dystrophy: a systematic review and meta-analysis. *Journal of orthopaedic surgery and research*, v. 17, n. 1, p. 96, 2022.

[4] BEZ BATTI ANGULSKI, Addeli et al. Duchenne muscular dystrophy: Disease mechanism and therapeutic strategies. *Frontiers in Physiology*, v. 14, p. 1183101, 2023.

[5] SCHNEIDER, Nayê Balzan et al. Estimated costs for Duchenne muscular dystrophy care in Brazil. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, v. 18, n. 1, p. 159, 2023.

[6] MERCURI, Eugenio; BÖNNEMANN, Carsten G.; MUNTONI, Francesco. Muscular dystrophies. *The Lancet*, v. 394, n. 10213, p. 2025-2038, 2019

[7] BROOMFIELD, Jonathan et al. Life expectancy in Duchenne muscular dystrophy: reproduced individual patient data meta-analysis. *Neurology*, v. 97, n. 23, p. e2304-e2314, 2021.

[8] DUAN, Dongsheng et al. Duchenne muscular dystrophy. *Nature Reviews Disease Primers*, v. 7, n. 1, p. 13, 2021.

[9] Hoy, S. M. (2023). Delandistrogene moxeparovec: first approval. *Drugs*, 83(14), 1323-1329.

[10] https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/reuniao_conitec/2025/Pauta139Reunio_Medicamentos_rev.pdf



Documento assinado eletronicamente por **Luciene Fontes Schluckebier Bonan, Diretor(a) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde**, em 07/04/2025, às 19:05, 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](#).



Documento assinado eletronicamente por **Andrea Brigida de Souza, Coordenador(a) de Incorporação de Tecnologias**, em 08/04/2025, às 09:37, 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 **0046930301** e o código CRC **2B2CBF15**.

