



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0792/2025

Rio de Janeiro, 04 de junho de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Trata-se de Autor, 07 anos (DN: 28/09/2017), com diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne, confirmada por teste genético que evidenciou deleção dos éxons 18 ao 34 no gene DMD. Assim, foi prescrito o medicamento Delandistrogeno Moxeparvoveque 1,33 x 10¹³ gv/mL (Elevidys®) – aplicar 280mL (28 frascos) por via intravenosa em dose única, em ambiente hospitalar habilitado. Foi mencionado o código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): G35 – Esclerose múltipla. (Evento 1_ANEXO9, página 2 a 4 e Evento 1_ANEXO10, página 2 a 4;6).

Inicialmente cumpre informar que a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) concedeu o registro do medicamento Delandistrogeno Moxeparvoveque (Elevidys®) para a empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A., em caráter excepcional, conforme o artigo 30 da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 505/2021, devido à gravidade da distrofia muscular de Duchenne (DMD), uma doença rara e debilitante, e à ausência de alternativas terapêuticas para os pacientes. Tal decisão foi publicada no Diário Oficial da União em 02 de dezembro de 2024, através da Resolução – RE nº 4.486, de 29 de novembro de 2024.

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado Delandistrogeno Moxeparvoveque (Elevidys®) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor – [NOME], conforme relato médico.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que Delandistrogeno Moxeparvoveque 1,33 x 10¹³ gv/mL (Elevidys®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Tendo em vista o caso em tela, informa-se que no momento não há publicado pelo Ministério da Saúde, Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para distrofia muscular de Duchenne e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

O medicamento Delandistrogeno Moxeparvoveque atualmente encontra-se em análise pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS) para o tratamento de pacientes pediátricos deambuladores com idade entre 04 e 07 anos, diagnosticados com DMD e mutação confirmada no gene DMD, sem deleção nos éxons 8 e/ou 9 e que possuem título de anticorpos $< 1:400$.

Acrescenta-se ainda que a distrofia muscular de Duchenne (DMD) é uma doença rara. Segundo pesquisas a incidência de DMD é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos. Assim, cumpre salientar que o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, as distrofias musculares constam dentre as anomalias congênicas. Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁴ publicado para o manejo da distrofia muscular de Duchenne.

Não há cura para a distrofia muscular de Duchenne, e as intervenções são baseadas na prevenção e tratamento das complicações. Atualmente, a terapia padrão geralmente é baseada em corticosteroides. A maioria das abordagens terapêuticas atuais trata os sintomas da doença. Os tratamentos incluem medicamentos corticosteroides para retardar a



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

progressão da fraqueza muscular, programas de alongamento e exercícios físicos e o uso de equipamentos, como órteses ou cadeira de rodas, à medida que caminhar se torna mais difícil. O Delandistrogeno Moxeparvoveque (Elevidys®) é um medicamento de terapia avançada, classificado como terapia gênica. Ele funciona utilizando um vetor viral para transportar um gene humano que codifica a microdistrofina, com o objetivo de substituir a proteína distrofina disfuncional ou ausente no organismo do paciente. Esse tratamento visa restaurar, ainda que de forma parcial, a função muscular em pacientes pediátricos. O desenvolvimento clínico do Elevidys® foi embasado em diversas pesquisas clínicas que avaliaram sua eficácia e segurança no tratamento da DMD. Os resultados demonstraram, por enquanto, que o medicamento estabiliza e apresenta tendência de melhorar a doença em desfechos funcionais importantes em crianças deambuladoras, de 04 a 07 anos de idade, com mutações confirmadas no gene DMD1.

No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED).

De acordo com publicação da CMED, o Preço Fábrica (PF) deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG) é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, o Delandistrogeno Moxeparvoveque 1,33 x 10¹³ gv/mL (Elevidys®) Solução injetável -Kit com 10 a 70 frascos com 10mL possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 12.182.027,56, alíquota ICMS 0%.

É o parecer.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

À 34ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro,
para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.