



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0944/2025

Rio de Janeiro, 09 de julho de 2025.

Processo nº 5052317-41.2025.4.02.5101,
ajuizado por **T. D. L. O.**

Cumprе esclarecer que para o presente processo, este Núcleo elaborou o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0792/2025, emitido em 04 de junho de 2025 (*Evento 7*), no qual foram esclarecidos os aspectos relativos à indicação e ao fornecimento do medicamento **delandistrogênio moxeparvovec** (Elevidys®) no âmbito do SUS.

Em atendimento ao Despacho/Decisão (*Evento 14*), convém elucidar que a evidência científica de alto nível é caracterizada por sua origem em estudos com delineamento metodológico robusto, notadamente **revisões sistemáticas de ensaios clínicos randomizados controlados** (ECRs) e os próprios **ECRs**. Tais metodologias são intrínsecas à minimização de vieses e, consequentemente, à oferta de resultados com elevada confiabilidade, fundamentais tanto para a prática clínica quanto para o desenvolvimento da pesquisa.

Isto posto, informa-se que até o momento, **não há revisões sistemáticas ou meta-análises** publicadas sobre a eficácia do Elevidys® (delandistrogênio moxeparvovec) no tratamento da distrofia muscular de Duchenne (DMD), segundo a literatura médica consultada. As evidências de maior nível disponíveis derivam de **estudos clínicos randomizados**, que embasaram a aprovação do Elevidys® pela *Food and Drug Administration* – FDA para uso em pacientes com DMD a partir de 4 anos de idade com mutação confirmada no gene DMD¹.

No que tange aos ensaios clínicos randomizados, duplo-cegos e controlados por placebo avaliando a eficácia do Elevidys (delandistrogênio moxeparvovec) no tratamento da distrofia muscular de Duchenne (DMD), os principais estudos publicados incluem o EMBARK e outros estudos multicêntricos de fase 3, que envolveram pacientes pediátricos ambulatoriais com DMD e mutação confirmada no gene DMD^{1,2}.

No estudo EMBARK, 125 pacientes foram randomizados para receber Elevidys® ou placebo, com avaliação do escore total da *North Star Ambulatory Assessment* (NSAA) como desfecho primário após 52 semanas. Não houve diferença estatisticamente significativa entre os grupos no desfecho primário, embora análises exploratórias tenham sugerido benefício numérico em subgrupos mais jovens (4-5 anos). Em desfechos secundários, como tempo para levantar do chão, tempo de caminhada/corrida de 10 metros e tempo para subir 4 degraus, foram observadas

¹ Vandenborne K, Walter GA, Straub V, et al. Quantitative Muscle Magnetic Resonance Outcomes in Patients With Duchenne Muscular Dystrophy: An Exploratory Analysis From the EMBARK Randomized Clinical Trial. *JAMA Neurol*. Published online May 12, 2025. Disponível em:

<https://jamanetwork.com/journals/jamaneurology/fullarticle/2833459?utm_source=openvidence&utm_medium=referral>. Acesso em 09 jul. 2025.

² Drug label information. Elevidys®. Disponível em: <<https://dailymed.nlm.nih.gov/dailymed/drugInfo.cfm?setid=3525abcd-fbd2-46c5-9706-cffdf2e8a361>>. Acesso em 09 jul. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

diferenças de relevância clínica a favor do Elevidys. Medidas quantitativas de ressonância magnética muscular também sugeriram menor progressão da doença no grupo tratado^{1,2}.

Há estudos abertos (como o ENDEAVOR) que sugerem aumento sustentado da expressão de microdistrofina e estabilização ou melhora funcional em comparação com controles históricos, mas esses dados são de menor robustez metodológica³.

No momento, não há novas informações a serem abordadas por este Núcleo, renovando-se o conteúdo já elencado sobre o medicamento pleiteado no parecer anterior.

Sem mais a contribuir, no momento, estando este Núcleo à disposição para eventuais esclarecimentos.

É o parecer.

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

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

³ Zaidman CM, Proud CM, McDonald CM, Lehman KJ, Goedecker NL, Mason S, Murphy AP, Guridi M, Wang S, Reid C, Darton E, Wandel C, Lewis S, Malhotra J, Griffin DA, Potter RA, Rodino-Klapac LR, Mendell JR. Delandistrogene Moxeparvovec Gene Therapy in Ambulatory Patients (Aged ≥ 4 to < 8 Years) with Duchenne Muscular Dystrophy: 1-Year Interim Results from Study SRP-9001-103 (ENDEAVOR). Ann Neurol. 2023 Nov;94(5):955-968. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37539981/>>. Acesso em 09 jul. 2025.