



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1323/2025

Rio de Janeiro, 19 de setembro de 2025.

Processo nº 5079319-83.2025.4.02.5101,
ajuizado por **B. M. M.**

De acordo com os documentos médicos acostados aos autos, o Autor apresenta **distrofia muscular de Duchenne** (CID-10: G71.0), com deleção dos *éxons* 18 ao 30 no gene DMD, região XP21.2, conformado através de estudo genético. Apresenta a doença ainda em fase ambulatorial, com risco de declínio funcional precoce. Desse modo, necessita de acompanhamento multidisciplinar com neuropediatra, cardiologista e pneumologista, fisioterapia respiratória e motora, fonoaudiologia e terapia ocupacional, objetivando otimizar o desempenho e a função muscular. Atualmente está em uso de Prednisolona e Vitamina D.

Foi participado pelo médico assistente, que o Autor possui indicação precisa, segura e respaldada cientificamente para o uso da terapia gênica com **Delandistrogênio moxeparvoveque** (Elevidys®). A administração do medicamento é urgente e necessária para prevenir o avanço da doença e mitigar danos irreversíveis à função motora e respiratória (Evento 1_LAUDO10_Páginas 1/2; Evento 1_LAUDO11_Páginas 1/2; Evento 1_LAUDO12_Página 1; Evento 1_LAUDO13_Página 1, Evento 11_LAUDO2_Página 7 e 10; Evento 18_LAUDO2_Página 1).

Considerando o objeto da presente ação, convém destacar que a Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA, determinou a suspensão temporária da comercialização, distribuição, fabricação, importação, propaganda e uso do medicamento **Delandistrogênio moxeparvoveque** (Elevidys®), conforme publicado na Resolução – RE nº 2.813, de 24 de julho de 2025¹.

A medida foi adotada após a notificação de três óbitos no exterior associados a terapias gênicas com o mesmo vetor viral, levantando risco de toxicidade hepática. A medida é preventiva e perdura até que a **Roche**, laboratório detentor do registro, apresente dossiê técnico completo com dados clínicos e científicos das investigações. Nos EUA, a *Food and Drug Administration* – FDA autorizou a retomada do uso apenas para pacientes deambuladores, mantendo a suspensão para não deambuladores².

Em nota recente, a **ANVISA** informou que suspensão temporária do **Delandistrogênio moxeparvoveque** (Elevidys®) permanece em vigor, enquanto são aguardadas

¹ DIÁRIO OFICIAL DA UNIÃO. Resolução – RE nº 2.813, de 24 de julho de 2025. Disponível em: <<https://www.in.gov.br/web/dou/-/resolucao-re-n-2.813-de-24-de-julho-de-2025-644079833>>. Acesso em: 19 set. 2025.

² Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA. Monitoramento. Atualização sobre suspensão do medicamento de terapia avançada Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoveque). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2025/atualizacao-sobre-a-suspensao-do-medicamento-de-terapia-avancada-elevidys-r-delandistrogênio-moxeparvoveque>>. Acesso em: 19 set. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

informações técnicas detalhadas por parte da empresa responsável pelo registro do produto no país, a Roche².

Faz-se importante destacar que o Elevidys[®] foi aprovado no Brasil por meio de um **registro excepcional**³, previsto na Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 505/2021, destinado a produtos de terapia avançada para doenças raras graves, em situações com alternativas terapêuticas limitadas⁴. Nesse contexto, a suspensão temporária é uma medida necessária sempre que surgem novos sinais de risco, especialmente em se tratando de um medicamento inovador, com tecnologia complexa, destinado a uma população pediátrica e vulnerável.

Observa-se que o medicamento pleiteado **Delandistrogênio moxeparvoveque** (Elevidys[®]) ainda **detém registro ativo** na ANVISA e **está indicado em bula**⁵ para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor – **distrofia muscular de Duchenne**, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que **Delandistrogênio moxeparvoveque** (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. Logo, **não cabe** seu fornecimento em nenhuma esfera do SUS.

Tendo em vista o caso em tela, informa-se que no momento, **não foi publicado** pelo Ministério da Saúde, Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁶ para **distrofia muscular de Duchenne** e, portanto, **não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias**.

O medicamento **Delandistrogênio moxeparvoveque** **foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, que deliberou pela sua **não incorporação**, para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne. O Comitê considerou que as evidências disponíveis indicam **incertezas** quanto à eficácia dessa terapia, além de um perfil de segurança que indica risco potencial de eventos adversos graves, como miosite e lesão hepática⁷. Concluiu-se que, no cenário atual, a incorporação representaria alto **risco clínico e orçamentário**, sem comprovação suficiente de que o tratamento trará ganhos substanciais e sustentados aos pacientes. Diante do conjunto das evidências, foi deliberada, por maioria simples, recomendação final **desfavorável** à incorporação do **Delandistrogênio moxeparvoveque**⁷.

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 DIÁRIO OFICIAL DA UNIÃO. Resolução – RE nº 4.486, de 29 de novembro de 2024. Disponível em:

<<https://www.in.gov.br/web/dou/-/resolucao-re-n-4.486-de-29-de-novembro-de-2024-598851375>>. Acesso em: 19 set. 2025.

⁴ AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA – ANVISA. Anvisa aprova registro de primeiro produto de terapia gênica para Distrofia Muscular de Duchenne (DMD). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2024/anvisa-aprova-registro-de-primeiro-produto-de-terapia-genica-para-distrofia-muscular-de-duchenne-dmd>>. Acesso em: 19 set. 2025.

⁵ Bula do medicamento Delandistrogênio Moxeparvoveque (Elevidys[®]) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000676>>. Acesso em: 19 set. 2025.

⁶ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 19 set. 2025.

⁷ BRASIL. Ministério da Saúde. Relatório de Recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC – Relatório Nº 1028. Agosto de 2025. Delandistrogênio moxeparvoveque para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2025/relatorio-de-recomendacao-no-1028-delandistrogênio-moxeparvoveque>>. Acesso em: 19 set. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

3.500 meninos nascidos vivos⁸. 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 Raras⁹ 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 raras¹⁰. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, as **distrofias musculares constam** dentre as anomalias congênitas. 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 corticosteroides¹¹. A maioria das abordagens terapêuticas atuais trata os sintomas da doença. Os tratamentos incluem medicamentos corticosteroides para retardar a 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.

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)¹².

De acordo com publicação da CMED¹⁰, 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.

⁸ MORAES, R.M. et al. Intervenções fisioterapêuticas na distrofia muscular de Duchenne: revisão de literatura. Brazilian Journal of Health Review, Curitiba, v.4, n.2, p. 5182-5194 mar./apr.2021. Disponível em:

<<https://www.brazilianjournals.com/index.php/BJHR/article/view/26169/20797>>. Acesso em: 19 set. 2025.

⁹ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 19 set. 2025.

¹⁰ CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 19 set. 2025

¹¹ CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Monitoramento do horizonte tecnológico. 03/2022.

Medicamentos para tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Brasília, abril de 2022. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/radar/2022/informemht_distrofiamuscularduchene.pdf>. Acesso em: 19 set. 2025.

¹² BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 19 set. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, o **Delandistrogeno moxeparvoveque** (Elevidys[®]), possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 12.182.027,56, alíquota ICMS 0%¹³.

É o parecer.

**À 23ª 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.

¹³ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em:
<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoieYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 19 set. 2025.