



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1492/2025

Rio de Janeiro, 22 de outubro de 2025.

Processo nº 5025591-30.2025.4.02.5101,
ajuizado por **L. S. D. S. J.**

Trata-se de Autor, 10 anos, em acompanhamento por diagnóstico de **distrofia muscular de Duchenne** (CID-10: G71.0) com duplicação do *éxon* 2. Apresenta fraqueza muscular, quedas frequentes, dificuldade de correr, pular, subir e descer escadas e se levantar do chão, mas ainda é bastante funcional, anda sozinho e é independente para as atividades de vida diárias. Iniciou com sintomas aos 5 anos e faz uso de corticoesteróides desde então. Tem função respiratória e bulbar normais, inteligência normal, exames cardíacos normais, mas já faz uso de cardioproteção, conforme orientação dos guidelines internacionais. Para reduzir a velocidade de progressão da doença, foi prescrito ao Demandante o medicamento **Givinostat 8.86mg/mL** (Duvyzat™), na posologia de 5mL, via oral, de 12/12 horas – 300mL por mês (Evento 1_ATESTMED10_Página 1, Evento 1_ATESTMED11_Página 1 e Evento 1_ATESTMED13_Página 1).

Destaca-se que o medicamento pleiteado **Givinostat** (Duvyzat™) **não apresenta registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), conforme verificação realizada em seu banco de dados de produtos¹, configurando-se, portanto, como **produto importado**.

O **Givinostat** (Duvyzat™) **está indicado para o tratamento de distrofia muscular de Duchenne (DMD), em pacientes com 06 anos de idade ou mais**, de acordo com a bula da *ITF Therapeutics*², registrada na *Food and Drug Administration* (FDA). Assim, o medicamento pleiteado **possui indicação** para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor.

Ressalta-se que o **registro de medicamentos** é um dos meios estabelecidos pela Política Nacional de Medicamentos pelo qual a **autoridade sanitária avalia a relevância terapêutica do medicamento, analisa sua segurança e qualidade**. Medicamentos ainda sem registro **não possuem diretrizes nacionais que orientem seu uso**³.

Considerando que o pleito **Givinostat** (Duvyzat™) trata-se de medicamento importado, informa-se que a importação de bens e produtos, **incluindo os não registrados no Brasil**, foi atualizada pela **RDC nº 208, de 05 de janeiro de 2018**⁴. Contudo, a autorização e entrega ao consumo se restringe aos produtos sob vigilância sanitária, que atendam às exigências sanitárias dispostas na referida portaria e legislação sanitária pertinente. Sendo assim, cabe esclarecer que **a aquisição de bens e produtos importados sem registro na ANVISA passa por um processo complexo que exige um determinado tempo, devido aos trâmites legais e sanitários exigidos**.

¹ANVISA – Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Consulta de produtos – Medicamentos. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/>>. Acesso em: 22 out. 2025.

²Bula do medicamento givinostat (Duvyzat®) por Sarepta Therapeutics, Inc. Disponível em: <https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2024/217865Orig1s000lbl.pdf>. Acesso em: 22 out. 2025.

³BRASIL. Ministério da Saúde. Política Nacional de Medicamentos, 2001. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica_medicamentos.pdf>. Acesso em: 22 out. 2025.

⁴BRASIL. Imprensa Nacional. Diário Oficial da União. Resolução RDC Nº 208, de 05 janeiro de 2018. Disponível em: <https://www.in.gov.br/materia/-/asset_publisher/Kujrw0TZC2Mb/content/id/1652079/do1-2018-01-08-resolucao-rdc-n-208-de-5-de-janeiro-de-2018-1652075>. Acesso em: 22 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Quanto à disponibilização no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, elucida-se que o **Givinostat** (DuvyzatTM) **não integra** nenhuma lista oficial de dispensação no Município e do Estado do Rio de Janeiro. Logo, **não cabe o fornecimento em nenhuma esfera do SUS**.

O medicamento pleiteado **Givinostat** (DuvyzatTM) até o momento **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)⁵.

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**.

Elucida-se ainda, que **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 vivos⁷. 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 Raras⁸ 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 raras⁹. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta dentre as anomalias congênitas. Contudo, reitera-se que **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁵ 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. O Consenso Brasileiro sobre Distrofia Muscular de Duchenne recomenda que a terapia com corticosteroides seja iniciada, preferencialmente, na fase de platô dos déficits motores, a partir dos 2 anos de idade. Os autores sugerem que nesta fase, especialmente entre 2 e 3 anos, o uso dessa medicação deve ser discutido com a família devido a possibilidade de comprometimento funcional, com prejuízos na aquisição de habilidades motoras. Apesar de ser amplamente prescritos, alguns pacientes não respondem de forma satisfatória ao tratamento com

⁵ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 22 out. 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: 22 out. 2025.

⁷ 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: 22 out. 2025.

⁸ 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: 22 out. 2025.

⁹ 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: 22 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

corticosteróides, enquanto outros não toleram o seu uso crônico devido ao aparecimento de efeitos adversos que vão desde alterações hormonais a obesidade e redução da tolerância à glicose, e outras reações adversas já bem documentadas com o uso prolongado desses fármacos. O tratamento sintomático ainda inclui o uso de inibidores da enzima conversora da angiotensina (ECA) com ou sem betabloqueadores para cardiomiopatia; diuréticos e oxigênio para insuficiência cardíaca congestiva; transplante cardíaco para pessoas com cardiomiopatia dilatada grave; órtese e cirurgia para correção da escoliose; além de outras intervenções adequadas ao quadro clínico do paciente. Abordagens para o tratamento específico da DMD também estão sendo exploradas, tornando o panorama terapêutico para crianças mais promissor¹⁰.

Nesse sentido, no caso de fornecimento do fármaco pleiteado **Givinostat** (DuvyzatTM), **é importante** que o Autor seja reavaliado pelo médico assistente periodicamente, a fim de que possa ser aferida a efetividade do tratamento.

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)¹¹.

Neste passo, por se tratar de item não registrado na ANVISA, o **Givinostat** (DuvyzatTM), não tem definição de valor estabelecido junto à CMED¹².

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

¹⁰ 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: 22 out. 2025.

¹¹ 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: 22 out. 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/arquivos/pdf_conformidade_gov_20241205_090248320.pdf/@download/file>. Acesso em: 22 out. 2025.