SF/26186.05488-61 (LexEdit)

SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº DE

Requer que sejam prestadas, pelo Senhor Ministro de Estado da Saúde, Alexandre Rocha Santos Padilha, informações sobre a situação regulatória, no Brasil, do medicamento Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque).

Requeiro, nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal e do art. 216 do Regimento Interno do Senado Federal, que sejam prestadas, pelo Senhor Ministro de Estado da Saúde, Alexandre Rocha Santos Padilha, informações sobre a situação regulatória, no Brasil, do medicamento Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque).

Nesses termos, requisita-se:

1. Qual é a situação atual do processo administrativo referente ao registro excepcional do medicamento Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque), atualmente submetido à suspensão cautelar, e qual o cronograma estimado para a conclusão da reavaliação regulatória pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA)?

2. O laboratório responsável apresentou à Anvisa o relatório resumido contendo os dados de acompanhamento clínico de quatro anos, previsto para julho de 2026, bem como os demais documentos necessários à repactuação do Termo de Compromisso? Em caso afirmativo, informar a data do protocolo e a fase atual de análise; em caso negativo, esclarecer as providências adotadas pela Agência diante do eventual descumprimento.

3. Quais critérios técnicos e científicos estão sendo utilizados pela Anvisa para a reavaliação do perfil de risco-benefício do Elevidys®, especialmente quanto aos relatos de insuficiência hepática aguda, aos óbitos notificados

SF/26186.05488-61 (LexEdit)

internacionalmente e às evidências mais recentes de eficácia clínica em longo prazo?

4. Considerando que o registro do medicamento foi concedido em caráter excepcional e condicionado ao cumprimento de obrigações pós-registro, quais exigências permanecem pendentes de atendimento pelo detentor do registro e quais medidas regulatórias poderão ser adotadas caso persista o descumprimento dessas obrigações?

5. A Anvisa já definiu quais informações adicionais, estudos clínicos, dados de farmacovigilância ou evidências de mundo real são indispensáveis para subsidiar eventual decisão sobre o restabelecimento, manutenção ou cancelamento definitivo do registro excepcional do Elevidys®? Em caso afirmativo, especificar tais requisitos.

6. Considerando que há divergências entre as Autoridades Reguladoras Estrangeiras Equivalentes (AREEs) reconhecidas pela Anvisa quanto à avaliação do balanço benefício-risco do Elevidys® - sendo o medicamento autorizado nos Estados Unidos e no Japão, mas tendo sua autorização de comercialização recusada pela Agência Europeia de Medicamentos (EMA) -, quais fundamentos técnicos e científicos estão sendo considerados pela Anvisa para a condução da reavaliação do registro excepcional no Brasil e de que forma as decisões e evidências produzidas por essas diferentes autoridades regulatórias têm sido incorporadas ao processo decisório nacional?

7. Enquanto perdurar a suspensão cautelar do registro, quais medidas o Ministério da Saúde, em articulação com a Anvisa, tem adotado para orientar os serviços de saúde, os profissionais assistentes e os pacientes quanto à condução clínica dos casos elegíveis à terapia gênica, bem como para assegurar transparência e previsibilidade acerca do andamento da análise regulatória?

8. Quais foram os critérios adotados pela Anvisa para restringir a autorização de uso desse medicamento à faixa etária de quatro a sete anos? Tal restrição surgiu por iniciativa da Agência? Considerando que a distrofia muscular de Duchenne é uma doença grave, degenerativa e debilitante, por que o medicamento não teve sua utilização autorizada para a faixa etária superior aos sete anos de idade?

JUSTIFICAÇÃO

A Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) é uma doença genética rara, degenerativa e progressiva, causada por mutações no gene DMD que impedem a

SF/26186.05488-61 (LexEdit)

produção da distrofina, proteína indispensável à integridade das fibras musculares. A condição manifesta-se na primeira infância com o comprometimento acelerado da função motora e evolui para falência respiratória e cardíaca, resultando em severa limitação da expectativa e da qualidade de vida dos pacientes.

Diante do caráter irreversível da doença, o surgimento da terapia gênica representou um marco transformador frente às abordagens puramente paliativas ou sintomáticas. Nesse cenário destaca-se o delandistrogene moxeparvoveque (Elevidys®), tratamento de dose única administrado via vetor viral (AAVrh74) para restaurar a produção de uma versão funcional da distrofina no tecido muscular.

No Brasil, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) concedeu o registro excepcional ao medicamento em dezembro de 2024, direcionado a crianças deambuladoras na faixa de 4 a 7 anos. Todavia, em julho de 2025, a agência determinou a suspensão cautelar da comercialização, importação e uso do produto em território nacional (Resolução RE nº 2.813/2025), motivada por alertas internacionais e relatos de óbitos decorrentes de toxicidade e insuficiência hepática aguda associadas ao tratamento.

Atualmente, a reavaliação da medida restritiva encontra-se condicionada à análise técnica de dados complementares de farmacovigilância, à validação de um Plano de Gerenciamento de Risco Hepático e ao cumprimento das pendências do Termo de Compromisso assumido pela fabricante junto à Anvisa, nos termos da RDC nº 505/2021.

A gravidade da situação reside na extrema sensibilidade temporal da DMD: o prolongamento da suspensão cautelar faz com que dezenas de crianças brasileiras percam irreversivelmente a janela terapêutica de elegibilidade (capacidade de deambulação e limite etário).

Acompanhamos no Senado Federal em conjunto com dezenas de famílias, pacientes e organizações da sociedade civil que buscaram nosso apoio, o processo supracitado, especialmente no âmbito da Subcomissão Permanente de Direitos das Pessoas com Doenças Raras da Comissão de Assuntos Sociais, da qual tive a honra de ser Presidente no biênio 2023-2024.

Diante do exposto, impõe-se a atuação do Poder Legislativo para fiscalizar e buscar esclarecimentos oficiais sobre o estágio das análises regulatórias, as pendências documentais da empresa detentora do registro e as diretrizes

adotadas para equilibrar a rigorosa segurança sanitária com o direito de acesso dos pacientes.

Sala das Sessões, 28 de julho de 2026.

Senadora Mara Gabrilli
(PSD - SP)

SF/26186.05488-61 (LexEdit)