

Audiência pública · Senado Federal

Elevidys e Anvisa

O que aconteceu e quais perguntas precisamos fazer?

A questão não é “ser contra” ou “a favor” da Anvisa. É saber se a decisão foi transparente, proporcional e bem fundamentada.

1. O que está em jogo?

Uma doença progressiva e uma janela curta para tratar.

Distrofia Muscular de Duchenne

- Doença rara e grave
- Perda progressiva de força
- Tempo importa: a função perdida dificilmente volta

A decisão regulatória também decide tempo de vida funcional.

Elevidys

Terapia gênica de dose única para pacientes pediátricos deambuladores com DMD.

Indicação brasileira

Crianças deambuladoras de 4 a 7 anos.

2. Registro condicional não é “licença sem prova”

É uma aprovação com deveres de acompanhamento e geração de evidências.

1

Acesso antecipado

A Anvisa entende que o benefício pode superar a incerteza.

2

Dever de casa

A empresa assina um Termo de Compromisso com estudos e prazos.

3

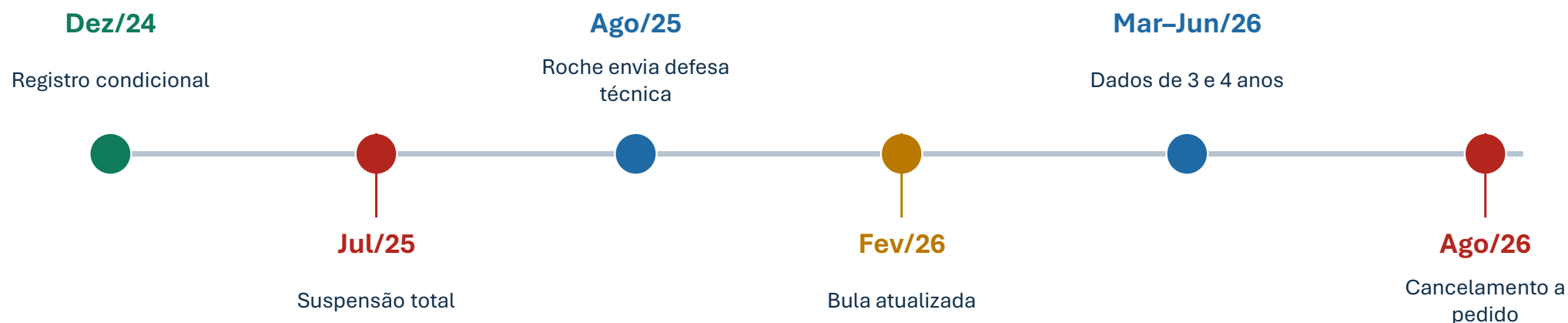
Reavaliação

A Agência monitora segurança, eficácia e cumprimento dos prazos.

A pergunta do caso Elevidys: a Anvisa cobrou o dever de casa combinado ou mudou a regra no meio do caminho?

3. A história em seis atos

Do registro ao cancelamento: menos de dois anos de alta tensão regulatória.



O ponto de virada: em julho de 2025, a suspensão começou por segurança hepática. Em 2026, a discussão passou também por eficácia de longo prazo.

4. Risco de quem?

O sinal de segurança era gravíssimo, mas vinha de outra população.

Casos que motivaram o alerta

2 óbitos por insuficiência hepática

- pacientes não deambuladores
- 15 e 16 anos

População brasileira aprovada

Crianças com DMD

- deambuladoras
- 4 a 7 anos

Um risco em um grupo pode suspender todos os outros sem explicar a diferença?

5. Cautela é necessária. A pergunta é: qual cautela?

Em direito sanitário, a medida deve proteger sem ir além do necessário.

Alerta de risco grave

Avaliar grupo realmente exposto

Testar medidas menos restritivas

Suspender apenas se indispensável

Medidas possíveis: restringir indicação, exigir exames hepáticos, centros especializados, hepatologista, monitoramento intensivo e consentimento reforçado.

6. A régua mudou no meio do caminho?

O Termo de Compromisso previa evidências sendo produzidas até 2029.

Em 2024

Registro condicional

Acesso permitido + estudos futuros
+ monitoramento anual.

Prazos do Termo: entregas até 2027,
2028 e 2029.

Em 2026

Dados considerados insuficientes

A Roche disse ter apresentado dados
de 3 e 4 anos e plano estatístico
específico.

**Pergunta: a Anvisa cobrou o que já
vencia ou antecipou provas futuras?**

6. A régua mudou no meio do caminho?

O Termo de Compromisso previa evidências sendo produzidas até 2029.

TERMO DE COMPROMISSO PARA COMPLEMENTAÇÃO DE DADOS E PROVAS ADICIONAIS COMPROBATÓRIAS DE EFICÁCIA CLÍNICA PARA REGISTRO DE PRODUTO DE TERAPIA AVANÇADA CLASSE II

CRONOGRAMA DE APRESENTAÇÃO DE DOCUMENTOS E COMPLEMENTAÇÃO DE DADOS E PROVAS ADICIONAIS COMPROBATÓRIAS DE SEGURANÇA E EFICÁCIA CLÍNICA PARA REGISTRO DE PRODUTO DE TERAPIA AVANÇADA CLASSE II.

Ordem Realização	Item	Descrição do Item conforme Ofício enviado pela ANVISA	Data do Cumprimento para ANVISA	Prazo de análise pela Anvisa
1	Estudo Observacional Local	Estudo observacional local, descritivo, com coleta retrospectiva e prospectiva de dados do mundo real para descrever a segurança e a efetividade do delandistrogênio moxeparvoque de pacientes que tiveram a administração da terapia no Brasil, após a concessão do registro de Elevidys® na Anvisa.	Submissão do protocolo do estudo para avaliação da Anvisa: Dentro de 90 dias após a concessão do registro de Elevidys® na Anvisa.	60 dias úteis após a submissão do protocolo
2	Estudo pós-aprovação BN44090	Estudo pós-aprovação, multinacional, não intervencional e longitudinal, que fornecerá dados sobre a segurança e a efetividade de Elevidys® durante um período de acompanhamento de pelo menos 15 anos. O estudo iniciará após aprovação pela EMA (European Medicines Agency) e PRAC (Pharmacovigilance Risk Assessment Committee) (se necessário). A análise de subgrupos de pacientes brasileiros será fornecida de acordo com os marcos especificados no protocolo.	Submissão do protocolo do estudo para avaliação da Anvisa: Dentro de 90 dias após a concessão do registro de Elevidys® na Anvisa.	90 dias úteis após a submissão do protocolo

3	Estudo SRP-9001-301 - EMBARK	Estudo de Fase 3; duplo-cego, randomizado (1:1), controlado por placebo, estudo em 2 partes.	Relatório Clínico Final (CSR): 31 de julho de 2025	90 dias úteis após a submissão do relatório final
4	Acompanhamento a longo prazo de pacientes tratados com delandistrogênio moxeparvoque no estudo SRP-9001-301 (EMBARK) em comparação com um comparador externo.	a) Análise de pacientes que foram acompanhados por 2 anos após o tratamento na parte 1 do Estudo EMBARK de fase 3 (9001-301). b) Análise de pacientes que foram acompanhados por 2 anos após o tratamento no Estudo EMBARK (9001-301) (Parte 1 e Parte 2). c) Análise de pacientes que foram acompanhados por 3 anos após o tratamento no Estudo EMBARK de fase 3. (Parte 1 e Parte 2).	a) 31 de dezembro de 2025 b) 31 de dezembro de 2026 c) 31 de dezembro de 2027	90 dias úteis após a submissão do relatório
5	Estudo SRP-9001-305	Estudo multinacional de acompanhamento a longo prazo para avaliar a segurança e a eficácia em indivíduos que já receberam delandistrogênio moxeparvoque nos estudos clínicos.	Resultados preliminares (interínos) estão planejados para serem fornecidos anualmente. a) 31 de janeiro de 2026 b) 31 de janeiro de 2027 c) 31 de janeiro de 2028 d) 31 de janeiro de 2029	90 dias úteis após a submissão do relatório
6	Relatório Periódico de Monitoramento de Registro de Produtos de Terapias Avançadas	Relatório anual sistematizado de avaliação crítica para confirmação periódica dos benefícios e riscos do Elevidys®, registrado sob condições de monitoramento de longo prazo.	a) 28 de fevereiro de 2026 b) 28 de fevereiro de 2027 c) 28 de fevereiro de 2028 d) 28 de fevereiro de 2029	30 dias após a submissão do relatório

6. A régua mudou no meio do caminho?

O Termo de Compromisso previa evidências sendo produzidas até 2029.

**TERMO DE COMPROMISSO PARA COMPLEMENTAÇÃO DE DADOS E
PROVAS ADICIONAIS COMPROBATÓRIAS DE EFICÁCIA CLÍNICA PARA
REGISTRO DE PRODUTO DE TERAPIA AVANÇADA CLASSE II**

PARÁGRAFO SEGUNDO - Na ausência de consenso quanto à caracterização de descumprimento ou de causa de força maior ou caso fortuito, que justifique o descumprimento, a ANVISA e a Roche desde logo convencionam que a questão será dirimida em primeiro lugar pela Câmara de Conciliação e Arbitragem da Administração Federal, da Advocacia-Geral da União.

7. O que foi apresentado na Reclamação 98709-1?

24.7.2025 — ANVISA determina a suspensão temporária do Elevidys no Brasil.

22.8.2025 — Roche apresenta Relatório Técnico-Científico à ANVISA sobre a relação benefício-risco do medicamento.

4.9.2025 | 10.11.2025 | 19.1.2026 — Roche protocola as complementações solicitadas pela ANVISA para alteração da bula.

12.2.2026 — As alterações são incorporadas à bula e publicadas no bulário da ANVISA.

11.3.2026 — Roche apresenta dados de eficácia de 3 anos dos Estudos 101, 102 e 103.

19.6.2026 — Roche apresenta novos dados de acompanhamento de longo prazo, referentes a 4 anos.

21.8.2026 — Após a ANVISA considerar os dados insuficientes para manutenção do registro condicional, a Roche apresenta pedido de cancelamento do registro.

24.8.2026 — A ANVISA homologa o cancelamento por meio da Resolução nº 3.332/2026.

Conclusão: a cronologia demonstra que a Roche respondeu às sucessivas solicitações da ANVISA, apresentou as informações e complementações requeridas e adotou as providências regulatórias correspondentes em cada etapa do procedimento.

8. As Famílias Duchenne não questionam a autoridade da ciência, mas reivindicam transparência e uma justificativa técnica clara, objetiva e fundamentada sobre as razões que efetivamente motivaram o cancelamento do Elevidys.

- 1 **Que risco?** Qual evidência específica para crianças deambuladoras de 4 a 7 anos?
- 2 **Que regra?** Qual fundamento jurídico vigente sustentou a suspensão?
- 3 **Que prazo?** O dado cobrado já era exigível ou venceria no futuro?
- 4 **Que alternativa?** Por que medidas menos restritivas não bastavam?
- 5 **Que documento?** Onde está o parecer técnico final?

Três pedidos concretos

Abrir os pareceres

Versões públicas dos pareceres técnicos e jurídicos que embasaram suspensão e manutenção.

Explicar a proporcionalidade

Mostrar por que alternativas menos restritivas não bastavam para a população brasileira.

Aperfeiçoar o rito

Criar regra clara para suspensão e revisão de registros condicionais em doenças raras.

Segurança e acesso não são inimigos. A boa regulação precisa proteger os dois.