

# Acesso ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne no Brasil

Problema, causas, ações e responsáveis — com o paciente no centro do cuidado

## Santusa Santana

Presidente do Instituto DNA Saúde

- Farmacêutica, 26 anos de experiência no SUS
- Prefeituras de Belo Horizonte e Paulistas (MG), NASF-BH, SES-MG e Ministério da Saúde
- Mestranda em Ciência Política e Relações Internacionais; autora de “SUS Revelado” (2025)

## Instituto DNA Saúde (iDNA Saúde)

Instituto de Desenvolvimento Nacional da Aliança pela Saúde

- Políticas de saúde baseadas em policy design
- Doenças raras, oncologia, crônicas, negligenciadas e infectocontagiosas
- Secretaria Executiva da Frente Parlamentar Mista iTEC Raras

# O que está errado?

**Hoje** crianças com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) não têm acesso ao Elevidys no Brasil, nem a uma linha de cuidado que garanta diagnóstico, especialista e terapias, **o que causa** perda da janela terapêutica de 4 a 7 anos.

## Situação atual

- Elevidys sem registro desde ago/2026 e venda suspensa desde jul/2025: nenhuma nova criança é tratada
- 15 crianças receberam a terapia, entre dez/2024 e jul/2025
- Famílias com decisão judicial favorável continuam sem resposta
- Sem PCDT/Linha de Cuidado para Duchenne, o restante do cuidado depende de onde a criança mora

## Quem/onde é afetado

- Meninos com DMD, sobretudo os de 4 a 7 anos que ainda andam, e suas famílias
- Cerca de 300 casos novos de DMD por ano no Brasil
- Famílias de 209 ações judiciais não cumpridas
- Os 15 já tratados, sem acompanhamento estruturado

## Impacto

**15 de 224**

ações judiciais pelo Elevidys cumpridas (jan/2024–fev/2026)

**~7 anos**

idade média ao diagnóstico no Brasil, no limite da janela de 4 a 7 anos

**0**

crianças tratadas desde a suspensão de jul/2025

# Por que as crianças não têm acesso?

1

REGISTRO E REGULAÇÃO

## Sem registro no Brasil

Registro cancelado em ago/2026 e venda suspensa desde jul/2025. O novo estudo de Fase III ainda não tem centros nem prazo no país.

2

REDE DE ATENÇÃO · PCDT

## Sem PCDT nem linha de cuidado

Não há regras do jogo: critérios de elegibilidade, fluxo, tratamento medicamentoso e não medicamentoso, equipe multiprofissional e monitoramento.

3

DIAGNÓSTICO · ATENÇÃO PRIMÁRIA

## Diagnóstico tardio

Sinais aos ~3 anos e diagnóstico aos ~7. A criança chega ao especialista quando a janela de 4 a 7 anos já está se fechando.

4

ESPECIALISTA · CENTRO DE REFERÊNCIA · REGULAÇÃO

## Acesso difícil ao especialista

Poucos neurologistas em doenças neuromusculares, serviços de referência concentrados e nenhum fluxo de regulação de vagas com prioridade para a DMD.

5

MONITORAMENTO · EVIDÊNCIA

## Sem monitoramento dos tratados

Sem dados de segurança e de vida real, não há evidência nacional para garantir o acesso dos próximos pacientes.

6

FINANCIAMENTO · JUDICIÁRIO

## Acesso só pela Justiça

Pagamento por dose, sem incorporação ao SUS (Conitec, 2025). Sem registro, a via judicial se fecha (Tema 500/STF).

O problema não é só o medicamento: é registro, rede de atenção, diagnóstico, especialista, monitoramento e financiamento.

# O que será feito?

Garantir o caminho completo do paciente, do diagnóstico ao tratamento e ao monitoramento, **para** que toda criança elegível tenha acesso dentro da janela terapêutica. Considerando os prazos de registro e Conitec **até** dezembro de 2027.

| Causa                                                                                       | Ação                                                                                                                                                                                                                                        |
|---------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>1. Sem registro no Brasil</b><br>Registro e regulação                                    | Definir a via de acesso: Anvisa prioriza o protocolo da pesquisa com centros brasileiros e um programa de uso compassivo ou acesso expandido (RDC 38/2013); resposta individual a cada família com decisão judicial.                        |
| <b>2. Sem PCDT nem linha de cuidado</b><br>Rede de atenção · PCDT                           | Publicar o PCDT e a linha de cuidado da DMD, com as regras do jogo: diagnóstico, elegibilidade, medicamentos, terapias (fisioterapia, terapia ocupacional, fonoaudiologia, psicologia, nutrição), cardiologia, pneumologia e monitoramento. |
| <b>3. Diagnóstico tardio</b><br>Diagnóstico · atenção primária                              | Protocolo de suspeita na atenção primária, capacitação das equipes e exoma no SUS com prazo máximo de resultado.                                                                                                                            |
| <b>4. Acesso difícil ao especialista</b><br>Especialista · centro de referência · regulação | Regulação de vagas com prioridade para crianças na janela terapêutica, ampliação de atendimento APS/centros de referência com equipe multiprofissional e telessaúde para quem mora longe.                                                   |
| <b>5. Sem monitoramento dos tratados</b><br>Monitoramento · evidência                       | Pesquisa nacional dos 15 tratados: monitoramento contínuo de segurança e eficácia, relatório público anual e uso dos dados de vida real para decidir os próximos acessos.                                                                   |
| <b>6. Acesso só pela Justiça</b><br>Financiamento · Judiciário                              | Modelo de acesso sustentável: agilidade na avaliação, definição de novos modelos de aquisição e comitê técnico para os casos judicializados.                                                                                                |

Paciente no centro: o sistema precisa garantir o acesso e fazer o que for preciso para isso.

# Quem faz e até quando?

O Ministério da Saúde e a Anvisa são responsáveis, com apoio de estados, municípios, Roche, sociedades médicas, famílias e iDNA Saúde; entrega final em dezembro de 2027.

| Ação                                 | Responsável                                        | Apoio                                                          | Prazo                                           |
|--------------------------------------|----------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------|
| 1. Via de acesso definida            | Anvisa e Roche                                     | Ministério da Saúde, AGU, CNJ                                  | dez/2026                                        |
| 2. PCDT e linha de cuidado da DMD    | Ministério da Saúde (SAES e Conitec)               | Sociedades médicas, associações de pacientes, CONASS, CONASEMS | consulta pública jun/2027 · publicação dez/2027 |
| 3. Diagnóstico na atenção primária   | Ministério da Saúde (SAPS) e municípios            | Estados, serviços de referência                                | jun/2027                                        |
| 4. Regulação e centros de referência | Ministério da Saúde (SAES) e secretarias estaduais | CONASS, CONASEMS, serviços de referência                       | dez/2027                                        |
| 5. Monitoramento dos 15 tratados     | Ministério da Saúde e Anvisa                       | Roche, centros que infundiram, famílias                        | dados mar/2027 · relatório jun/2027             |
| 6. Acesso sustentável                | Ministério da Saúde (SECTICS) e Roche              | AGU, CNJ/NatJus, Congresso Nacional                            | proposta dez/2026 · acordo 2027                 |

Temos método, expertise e recurso para garantir acesso.

**O caminho já existe. O que falta é decidir percorrê-lo.**

*O SUS já mostrou que sabe fazer. Agora o SUS precisa decidir fazer e garantir acesso às crianças com doenças raras.*

Obrigada!

Santusa Santana

[www.idnasaude.org.br](http://www.idnasaude.org.br)

[santusa.santana@idnasaude.org.br](mailto:santusa.santana@idnasaude.org.br)