



Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa (CDH)

Produto de Terapia Gênica **Elevidys®**

Daniela Marreco Cerqueira
Diretora
Segunda Diretoria/ANVISA

27 de agosto de 2026 – Senado Federal, Brasília/DF



DECLARAÇÃO DE CONFLITO DE INTERESSE

Declaro que **não possuo conflito de interesses**, sendo todos os dados e as informações descritas nesta apresentação de interesse e domínio público.

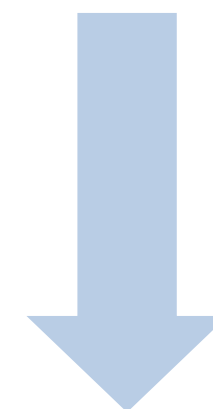
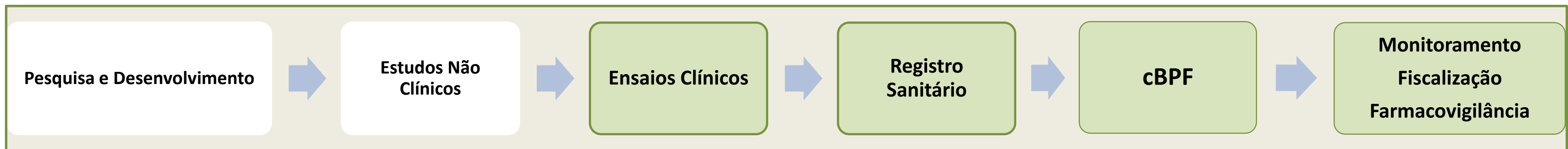
Lei nº 12.813, de 16 de maio de 2013

CICLO DE VIDA DO PRODUTO DE TERAPIA AVANÇADA

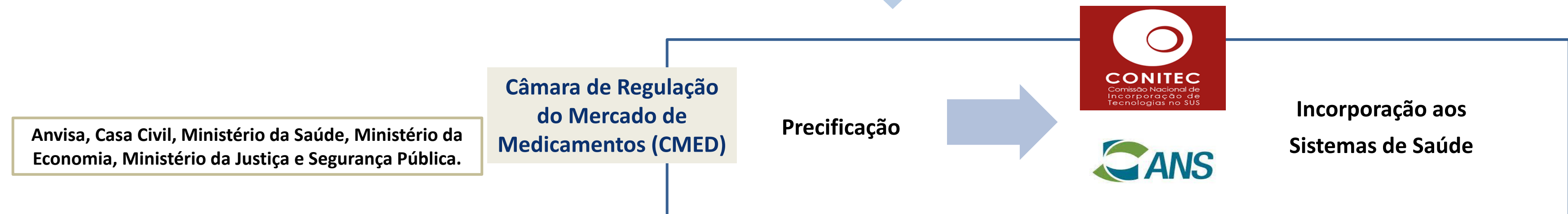


Registro Excepcional (condições)

BENEFÍCIOS E RISCOS



BENEFÍCIOS E CUSTOS



PRODUTOS DE TERAPIAS AVANÇADAS



RDC 505/2021

Art. 30. A título **excepcional**, a Anvisa pode conceder registro de produto de terapia avançada que **necessite de dados e provas adicionais comprobatórias de eficácia clínica** desde que o produto do requerente cumpra todos os requisitos a seguir:

I - ser utilizado em condição grave debilitante, ou em **doenças raras** debilitantes, ou em situações de risco de vida ou em emergências de saúde pública;

II - ser utilizado em situações de **inexistência de terapia**, produto ou medicamento alternativo comparável para aquele estágio da doença ou que ofereça maior vantagem terapêutica quando comparado ao existente no mercado; e

III- que o **balanço benefício-risco** da disponibilidade imediata do produto supere o fato de ainda serem necessários dados adicionais comprobatórios de sua eficácia clínica.

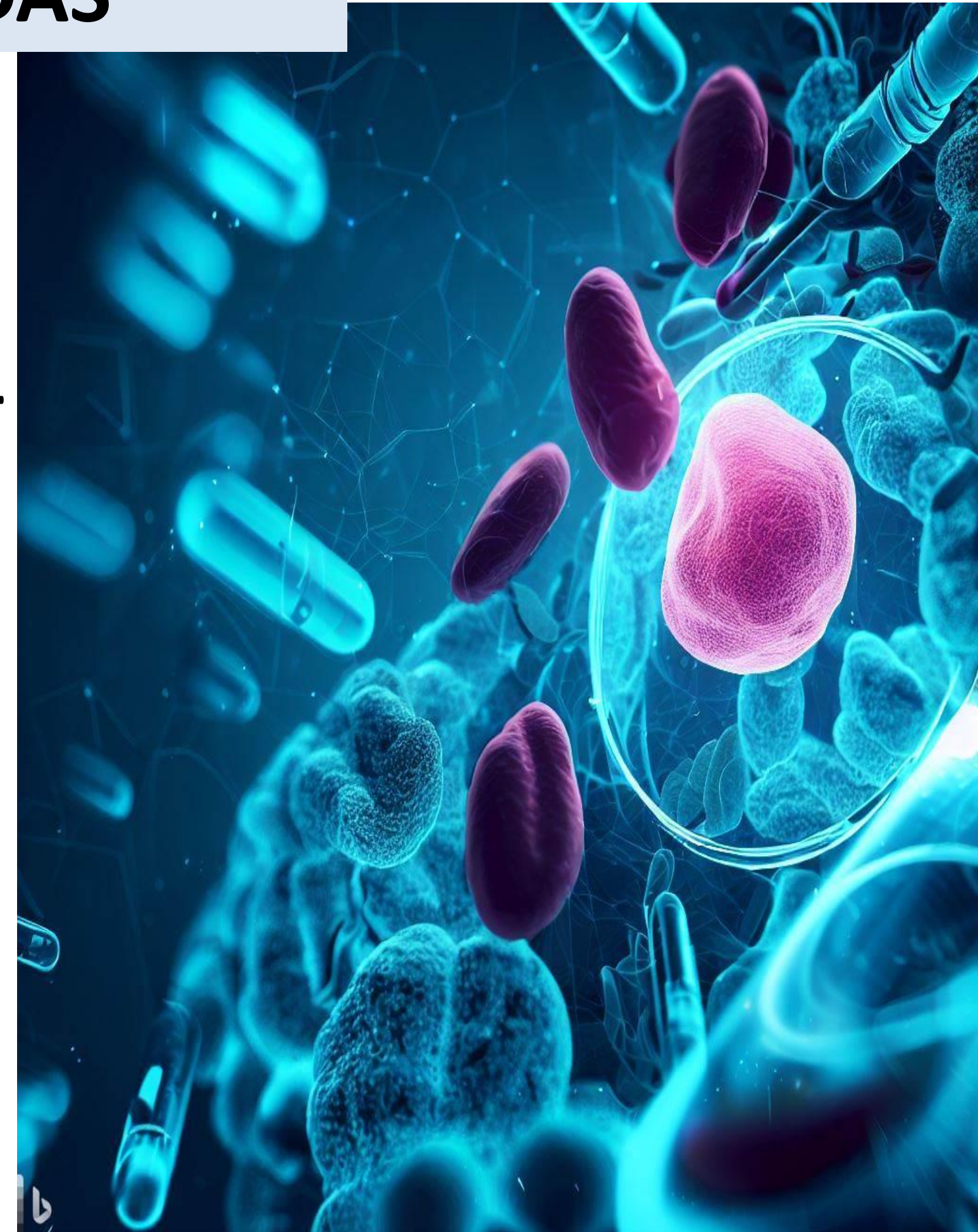
PRODUTOS DE TERAPIAS AVANÇADAS

“tipo especial de medicamento complexo”

Lei 14874/24

- ✓ Produto de Terapia celular avançada
- ✓ Engenharia tecidual
- ✓ Terapia gênica
- ✓ “*Produtos combinados*”

RDC 505/2021
RDC 506/2021
IN 270/2023





Elevidys[®] : *delandistrogeno moxeparvoveque*

Registro no Brasil: Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A
Desenvolvimento do produto

Desenvolvimento/Registro US: Sarepta Therapeutics, Inc (EUA)

Terapia gênica – vetor viral **AAVrh74** – Dose única IV

PRODUTO DE TERAPIA GÊNICA - Elevidys®

Registro Sanitário Brasil

✓ Registro sanitário do Elevidys® aprovado na Anvisa em 02/12/2024 (RE nº 4.486/2024), em **caráter excepcional** registro sob condições específicas firmada em **Termo de Compromisso (TC)**. Mecanismo regulatório específico: RDC 505/2021, art. 30.

Indicação restritiva: pacientes com capacidade de deambulação, 4–7 anos, com DMD, sem deleção dos éxons 8 e/ou 9.

*A autorização excepcional (registro condicional) representa uma decisão baseada no balanço entre uma **necessidade clínica não atendida**, **sinais iniciais de benefício** e a obrigação de produzir **evidências adicionais**. O acesso antecipado está diretamente vinculado ao **monitoramento pós-registro**.*

PRODUTO DE TERAPIA GÊNICA - Elevidys®

Registro Sanitário Brasil

- ✓ Havia sinais de benefício em determinados desfechos, mas persistiam incertezas relevantes quanto à magnitude, à durabilidade e à tradução desses achados em benefício clínico sustentado.

Registro de caráter excepcional, sob condições de monitoramento de longo prazo definido em TERMO DE COMPROMISSO

- ✓ Estudo brasileiro de evidência de vida real;
- ✓ Estudo internacional de evidência de vida real – em conjunto com EMA (Europa);
- ✓ Seguimento de longo prazo dos pacientes dos estudos clínicos.

Entrega periódica de dados de eficácia e segurança

Registro Elevidys® por Autoridades de Referência

Agência	Classificação	Posição
US FDA (2023)	Benefício clínico razoavelmente provável	Aprovação excepcional (4–5 anos)
US FDA (2024)	Benefício clínico provável	Aprovação tradicional (deambuladores ≥4 anos) Aprovação excepcional para não deambuladores. Pareceres técnicos não recomendando a aprovação do Elevidys nestes termos.
ANVISA (2024)	Indícios de benefícios clínicos com incertezas residuais	Registro excepcional com Termo de Compromisso
PMDA Japão (2025)	Incertezas sobre benefício clínico, certo nível de eficácia esperado	Aprovação condicional (idade 3 até 7 anos) e por tempo limitado de vigência de 3 anos. Monitoramento dos dados dos estudos clínicos e de todos os pacientes tratados no comercial
EMA (2025)	Dados insuficientes para relação benefício–risco favorável. Dados de longo prazo insuficientes e de qualidade metodológica limitada	Registro recusado

NOVOS ACHADOS DE SEGURANÇA- Elevidys®

Em 2025, eventos adversos fatais (insuficiência hepática aguda), nos EUA, pacientes 15 e 16 anos.

Os eventos constituíram sinal de segurança grave relacionado ao vetor AAVrh74 (ativo do Elevidys).

Investigação sanitária, definição de medidas cautelares:

- Exame das funções hepática basal ampla;
- exames de imagem;
- monitoramento laboratorial mais frequente;
- Introdução de critérios para corticosteroides intravenosos;
- avaliação médica por hepatologista;
- Vigilância intensa de infecções;
- estudos com imunossupressor alternativo (sirolimos).

MONITORAMENTO PÓS-REGISTRO Elevidys®

Termo de Compromisso

- 1) Alteração unilateral do TC do Protocolo V2.0 do Estudo SRP-9001-305, sem comunicação prévia à Anvisa, suprimindo a obrigação de análises interinas anuais de eficácia com os pacientes do Estudo 305.
- 2) A empresa apresentou dados de eficácia disponíveis de outros estudos, consolidados em dois relatórios independentes e preliminares, que demonstraram que os **dados até o momento não reduziram de forma suficiente as incertezas** que fundamentaram o caráter excepcional do registro.

CANCELAMENTO DO REGISTRO A PEDIDO DA ROCHE

- ✓ Em agosto de 2026, a Roche solicitou o cancelamento voluntário do registro do Elevidys® no Brasil.
- ✓ O cancelamento do registro decorre da conclusão de que, até este momento, a totalidade dos dados disponíveis para o Elevidys® não foi suficiente para atender aos requisitos regulatórios vigentes necessários à manutenção do registro condicional.

CANCELAMENTO DO REGISTRO A PEDIDO DA ROCHE

- ✓ Os pacientes já tratados com Elevidys® devem permanecer sob acompanhamento médico estruturado.
- ✓ A Roche e os serviços de saúde devem manter programas estruturados de acompanhamento. A Anvisa permanece discutindo com a empresa as estratégias específicas para o seguimento dos pacientes tratados no Brasil (definição das estratégias, tempo de monitoramento do paciente, etc).

PERSPECTIVAS

- ✓ A Roche segue empenhada com o programa clínico do Elevidys® e com a apresentação das evidências necessárias.
- ✓ A Anvisa reafirma sua disposição em avaliar prioritariamente futuras submissões que tragam evidências adicionais, observados os requisitos regulatórios vigentes.
- ✓ Intenção da empresa de conduzir estudo clínico confirmatório (Fase 3) com Elevidys®, incluindo a população brasileira.
- ✓ Anvisa continua a estimular a pesquisa clínica, bem como acelerar e priorizar o registro sanitário para produtos destinados ao tratamento de doenças raras e sem alternativas, principalmente DMD.

Obrigada



ANVISA

Agência Nacional de Vigilância Sanitária

diretoria2@anvisa.gov.br

Contato

Agência Nacional de Vigilância Sanitária - Anvisa

SIA Trecho 5 - Área especial 57 - Lote 200

CEP: 71205-050

Brasília - DF

www.anvisa.gov.br

www.twitter.com/anvisa_oficial

