



SENADO FEDERAL
Gabinete do Senador Hermes Klann

REQUERIMENTO Nº DE - CDH

Senhora Presidente,

Requeiro, nos termos do art. 58, § 2º, II, da Constituição Federal e do art. 93, II, do Regimento Interno do Senado Federal, a realização de audiência pública, com o objetivo de debater a situação regulatória do medicamento Elevidys (delandistrogene moxeparvovec), destinado ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), bem como as políticas públicas voltadas às doenças raras, especialmente no que se refere ao acesso a terapias avançadas, aos procedimentos regulatórios adotados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa e às ações do Ministério da Saúde.

Proponho para a audiência a presença dos seguintes convidados:

- o Senhor Napoleão Bernardes, Deputado Estadual de Santa Catarina;
- o Senhor Max Lemos, Deputado Federal;
- a Senhora Deborah Rassele, Mãe do paciente Raul Rassele;
- representante Anvisa;
- representante Roche Farmacêutica;
- o Senhor Humberto Scherer, Pai do segundo paciente medicado com

Elevidys.

JUSTIFICAÇÃO

A presente sugestão de Audiência pública objetiva evidenciar a necessidade de transparência regulatória e da proteção dos direitos dos pacientes acometidos pela Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), doença genética rara,



progressiva e incapacitante que leva à degeneração muscular irreversível, perda gradual da capacidade motora, comprometimento cardiorrespiratório e redução significativa da expectativa de vida. Nos últimos anos, a terapia gênica delandistrogene moxeparvovec, comercializada sob o nome Elevidys, passou a representar uma das mais relevantes inovações terapêuticas para pacientes elegíveis, ao buscar introduzir uma versão funcional do gene responsável pela produção da distrofina, oferecendo a perspectiva de retardar a evolução da doença e preservar a funcionalidade dos pacientes.

Entretanto, a suspensão temporária da comercialização e da administração do Elevidys pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), adotada em consonância com medidas regulatórias internacionais diante da investigação de eventos adversos graves registrados em pacientes submetidos à terapia, gerou profunda preocupação entre famílias, profissionais de saúde e entidades representativas dos portadores de DMD. Embora decisões dessa natureza decorram do princípio da precaução e da necessidade de contínua avaliação da relação benefício-risco dos medicamentos inovadores, a interrupção do acesso também produz impactos relevantes sobre pacientes cuja condição clínica evolui rapidamente, tornando o fator tempo determinante para a eficácia de qualquer intervenção terapêutica.

O cenário regulatório internacional demonstra que a discussão permanece em constante evolução. Enquanto autoridades sanitárias mantêm rigoroso monitoramento dos dados de farmacovigilância, fabricantes, centros de pesquisa e órgãos reguladores continuam produzindo evidências destinadas a esclarecer as circunstâncias dos eventos adversos, aperfeiçoar critérios de indicação, reforçar protocolos de segurança e identificar os grupos de pacientes que podem se beneficiar da terapia com maior segurança. Tais eventos relatam a complexidade inerente às terapias gênicas de última geração, exigindo decisões fundamentadas em evidências científicas continuamente atualizadas, sem perder de vista a urgência imposta pelas doenças raras de rápida progressão.



Nesse contexto, torna-se imprescindível que o Poder Público promova mecanismos institucionais capazes de assegurar maior previsibilidade, transparência e agilidade na comunicação das decisões regulatórias, bem como o acompanhamento permanente da evolução científica relacionada às terapias avançadas destinadas às doenças raras. A formulação de políticas públicas específicas pode fortalecer a cooperação entre Anvisa, Ministério da Saúde, sociedades médicas, pesquisadores, fabricantes e associações de pacientes, permitindo que decisões regulatórias sejam acompanhadas de protocolos claros para os pacientes em tratamento, critérios objetivos para eventual retomada da utilização do medicamento e estratégias de monitoramento clínico rigoroso.

Dessa forma, manifesto o compromisso de sugerir o aprofundamento do debate que valoriza a proteção da vida, da dignidade da pessoa humana e do direito constitucional à saúde, promovendo um ambiente regulatório que concilie segurança sanitária com acesso tempestivo à inovação terapêutica. O avanço das terapias gênicas representa uma oportunidade inédita para transformar a história natural da Distrofia Muscular de Duchenne, razão pela qual se faz necessário assegurar que decisões regulatórias sejam permanentemente respaldadas pela melhor evidência científica disponível, preservando tanto a segurança dos pacientes quanto a esperança legítima das famílias que convivem diariamente com uma doença grave, rara e sem cura definitiva.

Sala da Comissão, 14 de julho de 2026.

Senador Hermes Klann
(PL - SC)

