



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº DE - CDH

Senhora Presidente,

Requeiro, nos termos dos arts. 89, IX e X, e 90, XI, do Regimento Interno do Senado Federal, a criação, no âmbito da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa – CDH, de Grupo de Trabalho destinado a acompanhar e avaliar a situação regulatória, assistencial e judicial relacionada ao medicamento Elevidys (delandistrogene moxeparvovec), destinado ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne – DMD, bem como a propor medidas para o aperfeiçoamento da legislação e das políticas públicas de acesso a terapias avançadas destinadas a pessoas com doenças raras e ultrarraras no Brasil. O Grupo de Trabalho terá por finalidade promover o acompanhamento institucional e intersetorial das questões identificadas durante a 64ª Reunião Extraordinária da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa, realizada em 27 de agosto de 2026, destinada a debater a situação regulatória do medicamento Elevidys, as políticas públicas relacionadas às doenças raras, o acesso a terapias avançadas, os procedimentos regulatórios adotados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa e as ações do Ministério da Saúde e, ainda, identificar e mapear os principais entraves existentes desde o diagnóstico das doenças raras até a etapa de tratamento, com vistas a aperfeiçoar a legislação brasileira e contribuir para o aprimoramento das políticas públicas voltadas às pessoas com doenças raras e ultrarraras.

Composição



O Grupo de Trabalho será coordenado pela Presidência da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa e contará com a participação dos seguintes membros do Poder Legislativo e servidores do Senado Federal:

1. Senadora Damares Alves, Presidente da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa e Coordenadora do Grupo de Trabalho;
2. Senadora Mara Gabrilli, Vice-Presidente da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa;
3. Senador Hermes Klann, autor de requerimento que deu origem à audiência pública;
4. Deputado Federal Max Lemos;
5. Deputado Federal Vitor Lippi;
6. representante da Consultoria Legislativa do Senado Federal com atuação na área de saúde;
7. Flávia Raíssa Said Calill Pires de Roure, servidora do Senado Federal, responsável pela coordenação executiva/Secretaria-Executiva do Grupo de Trabalho e representante da Secretaria da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa, e;
8. Tatiana Barbosa de Sousa, servidora do Gabinete da Senadora Damares Alves, com atuação de apoio técnico aos trabalhos do Grupo de Trabalho.

Serão convidados a participar, em caráter institucional e permanente, mediante indicação dos respectivos órgãos ou entidades:

1. representante do Ministério da Saúde, especialmente do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS/MS;
2. representante da área responsável pela política de doenças raras do Ministério da Saúde;



3. representantes da Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa, incluindo:

a) Daniel Pereira;

b) Daniela Marreco Cerqueira;

c) João Batista da Silva Júnior;

d) representante da Gerência-Geral competente pela avaliação de produtos biológicos e terapias avançadas;

4. representante da Advocacia-Geral da União – AGU;

5. representante da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos – CMED;

6. representante do Tribunal de Contas da União – TCU;

7. representante da Secretaria de Estado de Saúde do Distrito Federal;

8. João Miguel Estephanio, representante da Fundação Oswaldo Cruz – Fiocruz;

9. Viviane Guimarães, advogada especializada em Direito da Medicina;

10. Humberto Cardoso Scherer, pai de paciente com Distrofia Muscular de Duchenne já tratado com Elevidys;

11. Deborah do Couto Nobre Rassele, mãe de paciente com Distrofia Muscular de Duchenne;

12. Lauda Santos, representante da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras – Febrararas;

13. representante da Câmara Municipal de Rio Manso/MG; e



14. representantes de pacientes, familiares e entidades da sociedade civil ligadas à Distrofia Muscular de Duchenne e às doenças raras.

16. representante do Hospital da Criança de Brasília José Alencar (HCB), da Secretaria de Saúde do Distrito Federal - SES

Poderão, ainda, integrar o Grupo de Trabalho outros participantes que a Presidência da Comissão, por meio de ato próprio, considerar necessários ao desenvolvimento dos trabalhos, na condição de participantes permanentes ou convidados.

Eixos de atuação

Os trabalhos do Grupo de Trabalho serão organizados, sem prejuízo de outros temas que venham a ser identificados, nos seguintes eixos:

I – Regulação sanitária, evidências científicas e segurança das terapias avançadas

a) acompanhamento da situação regulatória do Elevidys no Brasil e no exterior;

b) análise do regime de registro excepcional e condicionado aplicável às terapias avançadas destinadas a doenças raras;

c) acompanhamento dos dados de eficácia, segurança, farmacovigilância e vida real dos pacientes brasileiros que receberam Elevidys;

d) análise do Termo de Compromisso firmado entre a Anvisa e a Roche, das obrigações nele previstas e das alterações ocorridas no protocolo do Estudo 305;

e) acompanhamento do novo estudo clínico global de Fase III anunciado para o medicamento e da eventual participação de pacientes brasileiros;

f) avaliação da necessidade de aperfeiçoamento dos critérios regulatórios aplicáveis às doenças raras e ultrarraras, considerada a reduzida



população dos estudos, a progressividade das doenças e a existência de janelas terapêuticas.

II – Transparência e reconstrução da trajetória administrativa do Elevidys

a) levantamento das reuniões, atas, memórias, notas técnicas, exigências, respostas e comunicações mantidas entre Anvisa, Roche, Ministério da Saúde e outros órgãos públicos relacionadas ao medicamento;

b) acompanhamento do processo administrativo que culminou no cancelamento do registro brasileiro;

c) reconstrução documental dos fatos ocorridos entre a audiência pública realizada em 16 de junho de 2026 e o pedido de cancelamento do registro apresentado em agosto de 2026;

d) avaliação dos procedimentos de transparência ativa aplicados pela Anvisa aos processos de registro, acompanhamento, suspensão e cancelamento de terapias destinadas às doenças raras;

e) acompanhamento da publicação dos pareceres técnicos e documentos públicos relacionados às decisões regulatórias.

O relatório investigativo apresentado à Comissão identifica como lacuna central justamente a reconstrução do período entre 16 de junho e 24 de agosto de 2026, propondo o levantamento de atas, memórias, comunicações, exigências, respostas, versões do termo de compromisso, notas técnicas e documentos relacionados ao pedido de cancelamento.

III – Judicialização, cumprimento de decisões e segurança jurídica

a) acompanhamento da judicialização relacionada ao Elevidys;



b) levantamento, preferencialmente em formato anonimizado, das crianças que obtiveram decisões judiciais favoráveis, das decisões efetivamente cumpridas e das razões de eventual não cumprimento;

c) análise da situação das crianças que preenchiam os critérios clínicos ou etários no momento da decisão judicial, mas que, em razão do decurso do tempo, possam ter perdido ou estar próximas de perder a janela terapêutica;

d) avaliação de instrumentos jurídicos de solução consensual, mediação e conciliação;

e) avaliação da possibilidade de conferir tratamento prioritário a processos judiciais e administrativos relativos a crianças com doenças raras, graves e progressivas, quando a demora puder acarretar dano clínico irreversível;

f) acompanhamento das tratativas realizadas no âmbito da Reclamação nº 68.709 e da Petição nº 12.928/DF.

A Petição nº 12.928/DF registra a existência, naquele momento, de 55 ações judiciais, sendo 13 com liminares de fornecimento e 11 ainda pendentes de cumprimento pelo Ministério da Saúde. O próprio STF reconheceu a particular urgência relacionada à janela terapêutica, circunstância posteriormente incorporada ao ofício encaminhado pela CDH à AGU.

IV – Acesso, financiamento e sustentabilidade

a) avaliação de mecanismos destinados a compatibilizar acesso a terapias de alto custo com a sustentabilidade do Sistema Único de Saúde;

b) estudo de modelos de compartilhamento de risco, acordos de acesso gerenciado, pagamento por desempenho, aquisição direta e outras formas de negociação;

c) análise da atuação da CMED na precificação de terapias avançadas destinadas a doenças raras;



d) exame dos impactos econômicos e orçamentários da judicialização, sem prejuízo da proteção constitucional do direito à saúde e da consideração da urgência clínica;

e) análise de alternativas de financiamento para políticas de doenças raras.

A busca por mecanismos negociais não é inédita no caso Elevidys. A própria PET nº 12.928 registra que a União apresentou proposta envolvendo programas de uso compassivo e acesso expandido e que as tratativas buscavam uma solução consensual. O ofício da CDH à AGU também requer informações sobre acesso expandido, uso compassivo, aquisição direta e compartilhamento de risco.

V – Assistência integral às pessoas com Distrofia Muscular de Duchenne e outras doenças raras

a) avaliação dos fluxos assistenciais existentes no SUS para diagnóstico, acompanhamento e tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne;

b) promoção do diagnóstico precoce e análise de estratégias de triagem, encaminhamento especializado e diagnóstico genético;

c) acompanhamento das novas tecnologias e alternativas terapêuticas destinadas à DMD;

d) avaliação da capacidade dos centros especializados para administrar e acompanhar terapias avançadas;

e) fortalecimento da participação das famílias e pacientes na elaboração e avaliação das políticas públicas.

VI – Aperfeiçoamento legislativo, regulatório e de políticas públicas para doenças raras e ultrarraras.



- a) avaliação da necessidade de legislação específica ou de microssistema regulatório para medicamentos e terapias avançadas destinados às doenças raras e ultrarraras;
- b) aperfeiçoamento dos mecanismos de transparência nos processos regulatórios;
- c) avaliação de normas que permitam conciliar segurança sanitária, produção progressiva de evidências, urgência clínica e proteção das janelas terapêuticas;
- d) elaboração de propostas legislativas relacionadas ao acesso, financiamento, pesquisa clínica, monitoramento pós-tratamento e participação social;
- e) articulação com proposições legislativas decorrentes dos debates realizados no Congresso Nacional sobre o tema.

Durante a audiência de 27 de agosto, foi anunciada, inclusive, a apresentação de iniciativa legislativa destinada a ampliar a transparência da Anvisa nos processos de registro de medicamentos para doenças raras, apontada pela Presidência como primeiro resultado concreto da reunião.

Funcionamento

O Grupo de Trabalho poderá requisitar, solicitar e receber, observado o âmbito das competências constitucionais e regimentais da Comissão, dados, documentos, estudos, pareceres e informações de órgãos e entidades públicas, bem como convidar especialistas, pesquisadores, profissionais de saúde, representantes de agências reguladoras, instituições acadêmicas, empresas, entidades de pacientes e demais organizações da sociedade civil para contribuir com temas específicos.

Todas as reuniões do Grupo de Trabalho serão gravadas e documentadas, com registro das instituições, entidades e participantes presentes,



das contribuições apresentadas e dos encaminhamentos adotados, de modo a assegurar transparência, rastreabilidade dos trabalhos.

Os trabalhos observarão a distinção entre as atribuições de regulação sanitária, incorporação de tecnologias, prestação de assistência, representação judicial da União e exercício da jurisdição, não competindo ao Grupo substituir ou antecipar decisões atribuídas legalmente aos respectivos órgãos.

A Secretaria-Executiva do Grupo de Trabalho organizará calendário de reuniões, documentos recebidos, diligências, respostas institucionais e contribuições apresentadas, mantendo registro consolidado das atividades.

O Grupo poderá organizar reuniões por eixos temáticos e formar núcleos técnicos específicos, sempre que necessário.

Produto final e prazo

Ao final dos trabalhos, será elaborado Relatório Final do Grupo de Trabalho, contendo:

1. descrição das atividades desenvolvidas e das contribuições recebidas;
2. reconstrução da cronologia administrativa, regulatória e judicial examinada pelo Grupo;
3. consolidação dos dados científicos, assistenciais, regulatórios e econômicos obtidos;
4. identificação de eventuais lacunas de políticas públicas;
5. conclusões e recomendações dirigidas aos órgãos competentes;
6. propostas de aperfeiçoamento administrativo ou regulatório;
7. sugestões de providências de fiscalização e acompanhamento pelo Congresso Nacional; e



8. eventuais propostas legislativas.

O Relatório Final será submetido à apreciação da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa.

O Grupo de Trabalho funcionará pelo prazo de 90 dias, contado da aprovação deste Requerimento, prorrogável por até 30 dias, mediante decisão da Presidência da Comissão.

JUSTIFICAÇÃO

A Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa realizou, em 27 de agosto de 2026, sua 64ª Reunião Extraordinária, destinada a debater a situação regulatória do medicamento Elevidys, destinado ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne, bem como as políticas públicas relacionadas às doenças raras, especialmente o acesso a terapias avançadas, os procedimentos regulatórios adotados pela Anvisa e as ações do Ministério da Saúde.

A audiência foi realizada em momento particularmente relevante, poucos dias após o cancelamento do registro brasileiro do medicamento, solicitado pela Produtos Roche e comunicado pela Anvisa.

A Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença genética rara, grave e progressiva. Como ressaltado ao longo da audiência, a perda funcional é progressiva e pode ser irreversível, razão pela qual o decurso do tempo assume especial relevância para crianças que se encontram em determinada janela clínica e etária de tratamento.

O debate revelou a existência de questões que ultrapassam a avaliação isolada de um medicamento. Foram discutidos o regime regulatório das terapias avançadas; o acompanhamento de segurança e eficácia; a produção de evidências em populações reduzidas; os dados de vida real; a transparência dos processos regulatórios; o cumprimento de decisões judiciais; os efeitos da perda da janela terapêutica; os custos das tecnologias inovadoras; os mecanismos de



compartilhamento de risco; e a necessidade de uma política pública adequada às especificidades das doenças raras e ultrarraras.

A própria experiência do Elevidys evidencia a necessidade de articulação institucional. A Anvisa concedeu registro excepcional ao medicamento em dezembro de 2024, condicionado ao cumprimento de obrigações de geração e apresentação de dados. Posteriormente, alterações no protocolo do estudo de acompanhamento e divergências quanto à suficiência das evidências resultaram em impasse técnico e, finalmente, em pedido de cancelamento do registro pela empresa. Apesar disso, a Roche manifestou durante a audiência que mantém seu programa clínico e pretende continuar a geração de evidências com vistas a eventual nova submissão.

No campo judicial, a documentação apresentada demonstra a dimensão igualmente complexa do problema. A União requereu, na PET nº 12.928/DF, a suspensão de decisões liminares durante tratativas conciliatórias e apresentou, entre seus fundamentos, o impacto financeiro decorrente do cumprimento das decisões. Ao mesmo tempo, o Supremo Tribunal Federal reconheceu a necessidade de atenção às crianças que poderiam perder sua janela terapêutica pelo transcurso do tempo.

Em decorrência da audiência de 27 de agosto, a Presidência da CDH encaminhou o Ofício nº 329/2026-CDH à Advocacia-Geral da União, requerendo esclarecimentos sobre o cumprimento das decisões judiciais, a situação das crianças atingidas, as tratativas realizadas no âmbito da Reclamação nº 68.709 e a existência de mecanismos de solução consensual. O documento propôs expressamente a avaliação de uma mesa interinstitucional de diálogo entre AGU, Ministério da Saúde, Anvisa, Congresso Nacional e famílias.

Os documentos já reunidos pela Comissão também demonstram a conveniência de reconstrução transparente da trajetória administrativa e regulatória do medicamento. O relatório investigativo complementar identifica a necessidade de obter documentos relativos às reuniões entre Anvisa e



Roche, exigências regulatórias, respostas, versões do termo de compromisso, comunicações entre órgãos e o pedido integral de cancelamento apresentado pela empresa. Importa registrar que o próprio documento evita conclusões antecipadas e reconhece que os elementos disponíveis ainda não autorizam imputar atuação deliberada dos órgãos ou da empresa para retirada do medicamento por razões financeiras, indicando, precisamente por isso, a necessidade de aprofundamento documental e institucional da análise.

A audiência demonstrou amplo interesse na continuidade do diálogo. Representantes da Anvisa e do Ministério da Saúde colocaram-se à disposição para integrar os trabalhos; a Fiocruz igualmente ofereceu sua participação; representantes das famílias, entidades e especialistas manifestaram interesse; e a Presidência determinou que as reuniões envolvendo a indústria sejam documentadas e gravadas, em observância aos princípios da transparência e da prevenção de conflitos de interesse.

A criação do Grupo de Trabalho permitirá, portanto, transformar as manifestações e documentos reunidos em acompanhamento institucional estruturado, preservando a competência técnica dos órgãos envolvidos e, simultaneamente, permitindo ao Senado Federal exercer suas atribuições de fiscalização, formulação legislativa e proteção dos direitos fundamentais.

Mais que examinar retrospectivamente a situação do Elevidys, o GT poderá contribuir para que o Brasil disponha de mecanismos permanentes de resposta diante da chegada de novas terapias avançadas para doenças raras e ultrarraras, conciliando ciência, segurança sanitária, transparência, sustentabilidade, segurança jurídica e a urgência inerente às doenças progressivas.



Diante da relevância da matéria, solicitamos o apoio dos nobres Pares para a aprovação deste Requerimento.

Sala da Comissão, 1º de setembro de 2026.

Senadora Damares Alves

