



SAÚDE

Aplicação do Elevidys opõe Anvisa e famílias

Em audiência na Câmara, representantes da agência afirmam que ainda há incertezas sobre a segurança do medicamento contra a Distrofia Muscular de Duchenne. Mas parentes de crianças que sofrem com a doença cobram celeridade na análise sobre o fármaco

» LETÍCIA PASSOS

Divulgação

A Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) atualizou, na terça-feira, as informações sobre a análise do Elevidys, terapia gênica indicada para pacientes com **Distrofia Muscular de Duchenne (DMD)** e considerada uma das medicações mais caras do mundo, com custo estimado em cerca de R\$ 17 milhões por dose. O medicamento, que recebeu registro excepcional no Brasil em 2024, permanece com a comercialização e o uso suspensos desde julho de 2025, após a divulgação de casos fatais de insuficiência hepática aguda em pacientes tratados no exterior.

As informações foram apresentadas na audiência pública na Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência da Câmara dos Deputados. Representantes da Anvisa afirmaram que ainda existem incertezas sobre a segurança do produto e sobre a manutenção dos benefícios observados nos primeiros anos após a aplicação.

Ao mesmo tempo em que a Anvisa pede cautela, famílias de crianças diagnosticadas com DMD acompanham o processo com apreensão. Para muitos pacientes, o Elevidys representa a possibilidade de retardar a progressão de uma enfermidade rara e degenerativa.

Segundo a Associação de Distrofia Muscular (MDA, na sigla em inglês), cuja sede é em Chicago, nos Estados Unidos, a prevalência de DMD é de um caso a até cerca de 5 mil nascimentos. A Casa Hunter, instituição sem fins lucrativos que defende o direito de pacientes com doenças raras, fala em cerca de 700 novos casos por ano no Brasil.

Desenvolvido para tratar pacientes com DMD, o Elevidys é uma terapia gênica administrada em dose



Ministrado em dose única, medicamento tem custo de aproximadamente R\$ 17 milhões. No Brasil, estava liberado mediante autorização excepcional

Degeneração progressiva dos músculos

A Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença genética rara que provoca a degeneração progressiva dos músculos. Ocorre devido à ausência ou à produção inadequada da distrofina, proteína fundamental para a manutenção da estrutura muscular. Os sintomas costumam surgir na infância e incluem dificuldade para correr, subir escadas e levantar do chão, além de quedas frequentes. Com o avanço da doença, a perda de força muscular compromete a mobilidade e pode atingir músculos responsáveis pela respiração e pelo funcionamento do coração. Embora existam tratamentos que retardam o avanço da doença e melhoram a qualidade de vida, a DMD não tem cura.

única. No Brasil, o medicamento recebeu autorização excepcional para crianças entre quatro e sete anos que ainda conseguem caminhar, desde que atendam a critérios clínicos e laboratoriais específicos.

A aprovação ocorreu sob regras especiais destinadas a terapias avançadas e doenças raras, em cenários em que ainda existem dúvidas científicas, mas em que a contrapartida é a elevada necessidade clínica. Por isso, a fabricante assumiu o compromisso de apresentar dados complementares sobre a eficácia e a segurança do tratamento com o tempo. Mas, em julho de 2025, a Anvisa

determinou a suspensão temporária da comercialização e do uso do Elevidys. A decisão foi tomada após a divulgação de novos dados internacionais que apontaram eventos adversos graves — incluindo mortes associadas a quadros de insuficiência hepática aguda.

Na audiência na Câmara, a Anvisa informou que a empresa responsável pelo medicamento ainda não apresentou todas as informações previstas no termo de compromisso firmado com o registro excepcional. Segundo a agência, os dados pendentes são essenciais para esclarecer dúvidas sobre os

riscos do tratamento e seus efeitos de longo prazo.

Efeitos adversos

A Anvisa também informou que, nas análises realizadas até o momento, foram identificados efeitos hepatotóxicos relevantes em pacientes tratados, inclusive na faixa etária autorizada. Além disso, os dados de acompanhamento após três anos de uso indicam tendência de redução dos ganhos motores observados inicialmente — o que, segundo os técnicos, precisa ser investigado.

Apesar disso, a Anvisa afirma que o processo é tratado como prioridade máxima e que mantém diálogo permanente com o fabricante do Elevidys para obter os dados necessários e realizar uma avaliação mais completa sobre seus riscos e benefícios. Fontes ligadas à agência afirmaram ao **Correio** que o laboratório apresentou, em 19 de junho, documentação complementar com novos dados sobre a eficácia do medicamento, incluindo resultados de estudos de acompanhamento de pacientes por até quatro anos após a aplicação da terapia.

Segundo essas fontes, o novo material está em análise técnica e deverá subsidiar a avaliação sobre a relação entre riscos e benefícios do tratamento, etapa considerada necessária para definir se a suspensão da comercialização e do uso do produto será mantida.

O **Correio** procurou a Anvisa para esclarecer o estágio da análise, mas não recebeu resposta até o fechamento desta edição. Já o Ministério da Saúde informou apenas que recebeu, em 17 de junho, parentes de pacientes com DMD para uma reunião, mas não detalhou o conteúdo da discussão nem informou se haverá eventuais encaminhamentos sobre o Elevidys.

Diagnóstico é “luto antecipado”

Enquanto especialistas discutem os dados científicos do Elevidys, famílias de pacientes vivem a rotina da ansiedade e da urgência. Mais de 40 familiares de crianças com Distrofia Muscular de Duchenne estiveram em Brasília, em 16 de junho, para acompanhar a audiência pública na Câmara dos Deputados e pedir uma definição sobre o futuro do tratamento. Para eles, o tempo é um adversário implacável, pois a doença avança continuamente e a indicação do medicamento está restrita a uma faixa etária.

Para Emanuelle Azevedo, mãe de Paulo, de oito anos, receber o diagnóstico do filho foi um luto antecipado. “Vivemos um verdadeiro luto de alguém que está vivo. Recebemos a notícia como uma sentença de morte, que determina quanto tempo meu filho vai andar, respirar sem aparelhos, viver...”, diz, triste.

Ao **Correio**, Emanuelle admitiu que a rotina da família mudou desde então. Atividades da infância deram

lugar a consultas médicas e terapias frequentes. “Nossa rotina ficou de cabeça para baixo. Em vez de levarmos Paulo ao futsal, à natação, tudo isso foi substituído por terapias”, afirma.

Atualmente, o menino faz acompanhamento com fisioterapeuta, fonoaudiólogo, terapeuta ocupacional, psicóloga e psicopedagoga, além de consultas regulares com neurologista, pediatra, endocrinologista, cardiologista e pneumologista. Segundo Emanuelle, conviver com uma doença progressiva significa aprender que o tempo tem um peso.

“Enquanto aguardamos decisões, recursos e respostas que podem mudar o futuro do Paulo, a doença não espera. Cada mês que passa representa uma oportunidade que pode estar sendo perdida”, lamenta.

Esperança e cautela

A discussão sobre o Elevidys opõe um dilema que envolve ciência,

regulação e expectativa das famílias. De um lado, a Anvisa sustenta que faltam evidências para confirmar a segurança e a eficácia a longo prazo. De outro, parentes argumentam que a doença não espera por processos regulatórios e querem celeridade nas análises.

Emanuelle afirmou compreender a importância das avaliações técnicas, mas disse ter dificuldade em entender quais são, atualmente, os entraves para a liberação do medicamento.

“Na audiência pública da qual participamos, ouvimos representantes da Anvisa e da fabricante afirmarem que os dados de segurança do medicamento estavam estabelecidos e que os eventos adversos conhecidos eram monitoráveis dentro da prática médica. Isso gerou uma grande dificuldade para as famílias compreenderem exatamente qual é o obstáculo hoje”, afirmou.

Entre o receio dos possíveis efeitos adversos e a esperança de uma

Arquivo pessoal.



possibilidade de tratamento para o filho, Emanuelle diz que a maior preocupação é outra: o tempo. “Respeito as análises técnicas e da segurança dos medicamentos. Nenhuma mãe deseja colocar seu filho em risco. Mas quem convive com a DMD aprende, rapidamente, que também existe um

risco enorme em não fazer nada, em assistir a doença avançar”, frisou.

Segundo Emanuelle, desde novembro de 2024 a família tem uma decisão judicial favorável ao fornecimento do Elevidys — mas, mesmo assim, não foi disponibilizado. “Enquanto o tempo passa, vemos uma constante

Atualmente com oito anos, Paulo passou da faixa etária para a aplicação do Elevidys

transferência de responsabilidades. Em muitos momentos, a justificativa apresentada é que a questão depende da Anvisa. Em outros, a responsabilidade é atribuída ao Ministério da Saúde ou a outros órgãos. Enquanto isso, as famílias ficam sem respostas e as crianças continuam perdendo um tempo precioso”, criticou.

No caso de Paulo, a apreensão aumentou com os anos. Quando a família impetrou a ação judicial para garantir o acesso ao Elevidys, o menino enquadrava-se na faixa etária considerada mais favorável ao tratamento. Mas hoje, aos oito anos, Emanuelle teme que a demora tenha consequências irreversíveis.

“É difícil explicar a angústia de acompanhar o crescimento do seu filho sabendo que existe uma corrida. Enquanto os processos seguem seus trâmites, a doença continua avançando. O relógio da burocracia e o relógio da Duchenne não andam na mesma velocidade”, afirmou. (LP)

Obitório

Sepultamentos em 24 de junho de 2026

» Campo da Esperança

Adalberto Pimentel Oliveira, 85 anos
Afonso Dezem Ribeiro, menos de 1 ano
Albertino Mendes Vieira, 93 anos
Ana Clara Dias e Canto, 23 anos
Geraldo Antônio Pimenta, 71 anos
Giovane Santos Oliveira, 80 anos
Iracly Bernardes de Faria Pereira, 90 anos
Ivone Aziz Frange, 86 anos

José Luciano Mendes, 65 anos
Manoel Cândido da Silva, 73 anos
Maria da Cruz Ribeiro Rosa Correa, 68 anos
Marilena Aguiar Rocha, 76 anos
Narcisca Alves Gama, 76 anos
Ronaldo Campos Vieira, 90 anos
Solange de Almeida Castro, 75 anos

» Taguatinga

Amélia de Macedo Oliveira, 81 anos
Anna Joaquina de Oliveira, 93 anos

Cláudia Ramos Lima, 62 anos
Edson Santos da Silva, 77 anos
Geraldo de Souza Guerra, 69 anos
José Justino de Franca, 73 anos
Maria Vitória dos Santos, 79 anos
Messias Barbosa da Silva, 42 anos
Nelson Novais dos Santos, 47 anos

» Gama

Daniel Eduardo dos Santos Rodrigues, 21 anos
Jesus Alves dos Santos, 52 anos

João da Silva Martins, 78 anos
Lázara Flora de Andrade, 87 anos
Maria Bessa de Melo, 89 anos
Neusira Maria de Jesus, 78 anos
Valdelice Naide Silva, 82 anos

» Planaltina

Nivaldo de Santana Peçanha, 64 anos
Robson de Souza Lobato, 37 anos

» Sobradinho

Ana Sílvia Pinho Lopes, 60 anos

Anny Carolina da Silva dos Santos, menos de 1 ano
Jaime Martins de Souza, 79 anos
Maria Rosilene Santos Cabral, 68 anos
Ruth da Silva Ramos, 98 anos

» Jardim Metropolitano

Aucemira de Jesus Leite, 61 anos
Elyzete Melo Moreira, 68 anos (cremação)
Ivone Lima dos Santos, 78 anos
Noranei Ferreira dos Santos, 70 anos