

São Paulo, 15 de junho de 2025.

ELEVIDYS® (delandistrogênio moxeparvoveque):

Assunto: Descontinuação da dosagem em pacientes não deambulador, independentemente da idade, após um segundo caso de insuficiência hepática aguda fatal, em um paciente de 15 anos de idade não deambulador, após o tratamento com ELEVIDYS®.

Prezado profissional da saúde,

A Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A., alinhada aos requerimentos de farmacovigilância da ANVISA, gostaria de informá-lo sobre o seguinte:

Resumo

Esta carta tem como objetivo comunicar que a Roche recomenda a suspensão imediata da administração de Elevidys (delandistrogênio moxeparvovec) em pacientes não deambulantes, independentemente da idade.

Esta medida é desencadeada por uma reavaliação do risco-benefício do delandistrogênio moxeparvoveque, à luz de um segundo caso de insuficiência hepática aguda fatal relacionada ao tratamento, reportado em 11 de junho de 2025, em um paciente **não deambulador de 15 anos**, após um primeiro caso em março de 2025 (comunicados realizados para ANVISA e Ministério da Saúde, além de envio de carta aos prescritores) em um paciente **não deambulador de 16 anos**, ambos fora do Brasil.

Contexto sobre a preocupação de segurança

Prezado profissional da saúde,

Lamentamos profundamente compartilhar a notícia de que um menino não deambulante com Distrofia Muscular de Duchenne faleceu após o tratamento com Elevidys (delandistrogênio moxeparvoveque) em um ensaio clínico (ENVISION), tendo sofrido insuficiência hepática aguda e complicações fatais subsequentes.

Apresentamos nossas sinceras condolências à família do menino e àqueles que estiveram envolvidos com seus cuidados clínicos. Lesão hepática aguda,

incluindo insuficiência hepática aguda (IHA), é um efeito colateral conhecido e está descrito na bula aprovada no Brasil. O tratamento de pacientes ambulatoriais não é afetado e a indicação relacionada ao tratamento de pacientes ambulatoriais permanecerá inalterada.

Este é o segundo relato de IHA; ambos os relatos ocorreram em participantes não deambuladores, sendo um paciente no contexto de pós-comercialização e o outro no contexto de estudo clínico. Embora a questão de segurança ainda esteja sendo avaliada, este segundo caso representa uma informação clínica importante para o tratamento de pacientes não deambuladores e foi relatado às autoridades sanitárias relevantes. Continuamos a reunir informações sobre este caso. O risco/benefício do tratamento de pacientes deambuladores permanece positivo e permanece inalterado.

Gostaríamos de compartilhar alguns detalhes importantes do segundo paciente que desenvolveu IHA:

- O paciente tinha 15 anos, não deambulador.
- Recebeu uma dose única de Elevidys em março de 2025.
- Sete semanas após a infusão, foi internado por lesão hepática aguda e recebeu aumento de corticosteroides, outras terapias imunomoduladoras e transfusão de plaquetas.
- As enzimas hepáticas pareceram responder, enquanto a função sintética hepática foi prejudicada e acompanhada por baixa albumina, Razão Normalizada Internacional (INR) prolongado e trombocitopenia.
- Ele faleceu aproximadamente 11 semanas após a administração da dose.
- A insuficiência hepática foi avaliada como relacionada com o Elevidys.

Ação do prescritor

Aconselhe os pacientes e cuidadores sobre os riscos e benefícios de Elevidys®. Em caso de lesão hepática aguda grave, deve-se intensificar o monitoramento dos parâmetros hepáticos e encaminhar o paciente a um especialista, conforme recomendado na bula de Elevidys®.

Por mais que não esteja indicado no Brasil, com efeito imediato, suspender a dosagem de pacientes não deambuladores (independentemente da idade).

Indicação de Elevidys® no Brasil

Salientamos que no Brasil, Elevidys® é indicado para tratar pacientes deambuladores pediátricos de **4 a 7 anos de idade** com distrofia muscular de duchenne (DMD).

Reporte de Reações Adversas

Os profissionais de saúde devem reportar quaisquer suspeitas de eventos adversos com Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque), de acordo com o sistema eletrônico para a notificação de eventos adversos relacionados ao uso de medicamento da ANVISA

<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/fiscalizacao-e-monitoramento/notificacoes/vigimed>. Você pode ajudar a monitorar a segurança de Elevidys® reportando eventos adversos suspeitos ou relacionados a esse medicamento para a Roche (brasil.medinfo@roche.com / 0800-77-20-292).

Contato da empresa

Para informações ou quaisquer dúvidas adicionais relacionadas ao conteúdo desta comunicação ou ao uso de Elevidys®, não hesite em nos contatar por meio do Serviço de Informações Roche: brasil.medinfo@roche.com / 0800-77-20-292.

Material de distribuição exclusiva a profissionais de saúde habilitados a prescrever ou dispensar medicamentos. [Clique aqui](#) para ler a bula de Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque).

Raphael Pareschi
Responsável pela Farmacovigilância (RFV)

Michelle Fabiani
Diretora Médica

Este material não tem a finalidade de condicionar a prescrição, uso, promoção, venda, recomendação, indicação ou endosso de nenhum produto Roche ou qualquer concessão de benefício à Roche.

Direitos reservados – é proibida a reprodução total ou parcial sem prévia autorização de Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Junho/2025 - M-BR-00020279