

VOTO Nº 259/2025/SEI/DIRETOR-PRESIDENTE/ANVISA

Processo nº 25351.938160/2025-31

Expediente nº 1280717/25-4

Analisa a Solicitação de uso do produto para paciente específico conforme decisão do STF. Resolução-RE 2.813, de 24 de julho de 2025, publicada na Edição Extra do Diário Oficial do dia 24/07/2025. Suspensão do medicamento de terapia gênica Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoveque) no Brasil.

Relator: Leandro Pinheiro Safatle (Diretor-Presidente)

1. Relatório

Trata-se do Ofício Nº 1910/2025/COAJUD/CGPJUD/DJUD/SE/MS [3845818] que informa que mediante o Ofício nº 02965/2025/SGCT/AGU (0050007890), da Advocacia-Geral da União, Secretaria Geral de Contencioso, Coordenação-Geral Jurídica, recebido pelo Departamento de Gestão das Demandas em Judicialização na Saúde – DJUD/SE/MS, foi encaminhada a decisão proferida pelo Ministro André Mendonça no bojo da Reclamação Constitucional 75.360, que determinou a importação e infusão da terapia gênica Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoveque) e aponta o que se segue :

Diante do exposto, determino à União que, no prazo improrrogável de 5 (cinco) dias, adote as seguintes providências: i) Estabeleça contato com a família do reclamante, por telefone e/ou meio eletrônico eficaz, a fim de, em comum acordo, fixarem data e local para a realização do procedimento de infusão do fármaco, colhendo e juntando aos autos comprovação do contato e do consenso quanto à agenda proposta; ii) Agende a realização do procedimento de infusão do medicamento

no prazo máximo de 10 (dez) dias, contados do primeiro contato efetivo com a parte/família, informando nos autos, de imediato, a data aprazada, o horário, a unidade de saúde e o profissional responsável; iii) Adote todas as medidas necessárias para colmatar as lacunas que vêm impedindo o cumprimento da decisão de fornecer o medicamento ao reclamante, inclusive, se for o caso: (a) solicitando e viabilizando, com prioridade, a realização de exames médicos adicionais estritamente indispensáveis à segurança do ato; (b) assegurando a aquisição e disponibilidade do fármaco em tempo hábil; (c) indicando e garantindo a vaga em unidade hospitalar (rede própria, contratada ou conveniada) com aparato compatível para a infusão, equipe habilitada e suporte necessário, de modo a concretizar a tutela na data aprazada com a família e dentro do lapso temporal máximo de 10 (dez) dias, acima fixado; iv) Comprove, a cada etapa, nos autos, a prática dos atos determinados, juntando documentos idôneos (comprovantes de contato, agenda, notas de empenho/fornecimento, guias, laudos autorização de procedimento, reserva de leito/equipe), bem como informando, de imediato, qualquer intercorrência relevante que exija ajuste de providências pelo Juízo.

Assim, descreve que cuida-se da reclamação nº 75.360/MT proposta pelo menor M. V. C. M., representado por sua genitora, em face da decisão monocrática, proferida nos autos do agravo de instrumento nº 1036384- 37.2024.4.01.0000, por meio da qual o Desembargador relator no Tribunal Regional Federal da 1ª Região indeferiu o pedido de tutela recursal, formulado pelo paciente, objetivando impor à União o fornecimento do medicamento Elevidys.

Esclarece, adicionalmente, que o Departamento de Gestão das Demandas em Judicialização na Saúde do Ministério da Saúde - DJUD/SE/MS tem competência para atender às demandas judiciais, de natureza individual, que tenham por objeto impor à União a aquisição de medicamentos, insumos, material médico-hospitalar e a contratação de serviços destinados aos usuários do Sistema Único de Saúde (SUS), nos termos do Decreto nº 11.798, de 28 de novembro de 2023.

Aponta, também, que a ANVISA suspendeu temporariamente a comercialização, a distribuição, a fabricação, a importação, a propaganda e o uso do medicamento de terapia gênica Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoveque) no Brasil, conforme RE 2.813/2025, publicada na Edição Extra do Diário

Oficial do dia 24/07/2025, e que o supracitado Departamento encontra-se em situação de impossibilidade fática de cumprimento da decisão judicial em comento, proferida pelo Ministro André Mendonça, oriunda do Supremo Tribunal Federal.

Nesse contexto, destaca que foi encaminhado ao referido Departamento, a Nota 00725/2025/CONJUR-MS/CGU/AGU (0050652431), advinda da Consultoria Jurídica Junto ao Ministério da Saúde - CONJUR/MS, que orientou que a inexistência de registro vigente não constitui óbice suficiente ao cumprimento da decisão, tendo em vista que a última decisão proferida pelo STF (22/08/25) é posterior à decisão de suspensão do registro da medicação pela ANVISA. Desse modo, entendeu a CONJUR/MS que o STF compreendeu que a inexistência de registro vigente não constitui obstáculo ao fornecimento da medicação no caso específico do menor M. V. C. M.

Assevera, portanto, que a CONJUR/MS sugeriu, em conclusão, o contato com a empresa Roche para as tratativas voltadas à importação do medicamento, e a esta Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) para a autorização excepcional de importação do medicamento com o objetivo de dar cumprimento à decisão judicial em comento.

Desse modo, visando garantir o cumprimento da determinação judicial, o referido Departamento instou a farmacêutica Roche para solicitar informações atualizadas sobre o cenário de importação, comercialização e infusão do medicamento Elevidys no Brasil, por meio do e-mail (0050655893). Ofício 1910 (0050655262) SEI 00737.025979/2024-08 / pg. 2 8. Em resposta, aponta, que a empresa farmacêutica que informou, através do Ofício (0050655895), o que segue:

"PRODUTOS ROCHE QUÍMICOS E FARMACÊUTICOS S.A. ("Roche"), com filial Avenida Engenheiro Billings, 1638 - Cond. Jaguaré Busines Park - Jaguaré - CEP 05321-010 - São Paulo /SP ("Roche"), por seus representantes legais abaixo assinados, vem, respeitosamente à presença de Vossas Senhorias, em resposta ao e-mail de 24 de setembro de 2025, referente ao fornecimento do medicamento delandistrogene moxeparvoveque, expor o tanto quanto segue.

Conforme informado na reunião realizada na tarde de hoje, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária ("ANVISA") decidiu no dia 24.7.2025 suspender temporariamente, por medida de precaução, a comercialização, a distribuição, a fabricação, a

importação, a propaganda e o uso do medicamento Elevidys® (delandistrogênio moxeparvoveque) (“Elevidys”) no Brasil. A suspensão foi formalizada por meio da Resolução Nº 2.813/2025 e segue em vigor, tendo sido implementada para que fossem levantadas informações adicionais a respeito de recentes casos fatais de insuficiência hepática aguda em pacientes tratados com o Elevidys nos Estados Unidos (mais informações disponíveis clicando aqui). Importante lembrar também que, após a implementação da suspensão temporária, a ANVISA permitiu excepcionalmente o uso do Elevidys por 2 (dois) pacientes brasileiros, cujas unidades do medicamento já haviam sido previamente autorizadas e importadas (informação disponível clicando aqui). Sendo assim, caso a ANVISA estabeleça exceção similar permitindo a comercialização, importação e o uso do Elevidys para atendimento de novo(s) paciente(s), a Roche entende que estaria em posição de fornecer a unidade do medicamento, desde que observadas todas as etapas do fluxo de procedimentos aplicáveis para o fornecimento de cada tratamento, conforme já estabelecido no Contrato nº 159/2025 e documentos a ele atrelados e respeitando aos prazos já acordados. Na hipótese de eventual autorização em caráter excepcional, a Roche entende que possivelmente o fornecimento do medicamento poderia ocorrer sob a cobertura do Contrato nº 159/2025, sob o qual há 2 (duas) unidades do tratamento ainda pendentes de utilização pelo Ministério da Saúde. Nessa oportunidade, a Roche reitera o teor do documento intitulado “Informações Clínicas e de Segurança”, encaminhado ao Ministério da Saúde no dia 20.3.2025, no sentido de que (i) a indicação aprovada no Brasil, pela ANVISA, permite o tratamento de pacientes deambuladores pediátricos de 4 a 7 anos de idade com distrofia muscular de Duchenne (DMD); e (ii) recai sobre o médico prescritor do medicamento cuja indicação ainda não tenha sido aprovada pela ANVISA (“offlabel”) a responsabilidade pelo gerenciamento de efeitos adversos eventualmente experimentados por pacientes brasileiros. Por fim, informa-se que sobre as discussões com a ANVISA sobre a suspensão temporária aguarda-se, neste momento, a análise da agência reguladora em relação às informações complementares ao cumprimento de exigência, submetidas pela Roche em 04/09/2025. A Roche mantém um diálogo construtivo e colaborativo com a agência para reverter a suspensão e, assim, retomar a comercialização e a infusão do Elevidys no Brasil.

Dessa forma, tendo em vista o esgotamento do prazo

fixado pela decisão judicial e a possibilidade de responsabilização pessoal dos gestores do Ministério da Saúde, solicitou a análise emergencial para autorização excepcional da importação e infusão da terapia gênica para o caso específico do autor da Reclamação nº 75.360/MT, nos moldes da Nota Técnica nº 27/2025/SEI/GSTCO/GGBIO/DIRE2/ANVISA, inclusive com a necessidade de assinatura do termo de responsabilidade pelos representantes legais, com a urgência que o caso requer.

é o breve relatório.

2. **Análise**

O pleito em questão foi analisado pela Gerência de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas GSTCO/GGBIO e pela Gerência Geral de Portos Aeropostos e Fronteiras (GGPAF) que se manifestaram, respectivamente, mediante a Nota Técnica nº 40/2025/SEI/GSTCO/GGBIO/DIRE2/ANVISA [3846509] e Nota Técnica nº 126/2025/SEI/PAFME/GCPAF/GGPAF/DIRE5/ANVISA [3847416].

A GSTCO apontou em Nota o que se segue :

" O registro de Elevidys® no Brasil foi concedido pela Anvisa em 2 de dezembro de 2024, por meio da Resolução-RE nº 4.486/2024, em caráter excepcional e sob condições específicas, restrito a pacientes deambuladores, entre 4 e 7 anos, com diagnóstico confirmado de Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), ausência de deleção nos éxons 8 e/ou 9 e cumprimento de protocolos de monitoramento e manejo de risco.

Posteriormente, novas informações de eventos adversos graves publicadas pela *Food and Drug Administration (FDA)* relataram três óbitos relacionados a terapias gênicas baseadas no vetor AAVrh74, tecnologia utilizada no Elevidys® e desenvolvida pela empresa Sarepta Therapeutics. Dois desses casos envolveram pacientes pediátricos não deambuladores com DMD tratados com Elevidys®; o terceiro referiu-se a um paciente adulto com distrofia muscular de cinturas, submetido a produto experimental com o mesmo vetor viral. Em todos os casos, houve evolução para insuficiência hepática aguda com desfecho fatal. Embora tais eventos não tenham sido notificados no Brasil, o caráter inovador e de alto risco do produto, aliado às incertezas sobre seu perfil de segurança, justificou a adoção imediata de ação regulatória preventiva e cautelar, nos termos do art. 11

da RDC nº 505/2021, do art. 7º da Lei nº 6.360/1977 e do art. 45 da Lei nº 9.784/1999. Assim, a Anvisa publicou a Resolução-RE nº 2.813/2025, suspendendo temporariamente o uso do medicamento até a reavaliação de seu balanço benefício-risco.

Desde então, foram instaurados procedimentos de investigação sanitária e diálogo técnico com a empresa detentora do registro no Brasil, Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.. Em 5 de setembro de 2025, a empresa apresentou relatórios adicionais de investigação, atualização do perfil de segurança e propostas de estratégias complementares de mitigação de risco, atualmente em análise pela Agência, com o apoio de especialistas *ad hoc* em DMD.

Diante desse cenário, em casos de autorização excepcional determinada judicialmente, recomenda-se que a utilização clínica do Elevidys® seja precedida de:

avaliação individualizada pela equipe médica assistente, com experiência comprovada em DMD;

supervisão por hepatologista, com especial atenção às advertências sobre toxicidade hepática descritas na bula do medicamento;

exames complementares de imagem e função hepática, quando viáveis, para aferição da aptidão clínica do paciente;

obtenção de concordância dos médicos responsáveis e de consentimento formal dos representantes legais, devidamente assinado, mediante ciência expressa sobre os riscos envolvidos no uso de produto de terapia gênica suspenso para investigação de segurança frente a eventos adversos graves;

monitoramento clínico rigoroso, conforme determina a bula do medicamento, sobretudo em relação a eventos adversos hepáticos, em consonância com os fundamentos da medida cautelar vigente."

Por sua, vez a GGPAF, informou o seguinte:

"No Brasil, as importações de bens e produtos sujeitos ao controle sanitário são reguladas pela RDC nº 81, de 2008, a qual determina no Capítulo II - Disposições Gerais de Importação, que somente será autorizada a importação de bens e produtos sob vigilância sanitária que atendam às exigências sanitárias de que trata a norma e outros regulamentos técnicos, no tocante à obrigatoriedade, no que couber, de registro, notificação, cadastro, autorização de modelo, isenção de registro, ou qualquer outra forma de controle regulamentada pela

Anvisa.

CAPÍTULO II - DISPOSIÇÕES GERAIS DE IMPORTAÇÃO

A importação de bens ou produtos sob vigilância sanitária deverá ser precedida de expressa manifestação favorável da autoridade sanitária, na forma deste Regulamento.

1. Somente será autorizada à importação, entrega ao consumo, exposição à venda ou à saúde humana a qualquer título, de bens e produtos sob vigilância sanitária, que atendam as exigências sanitárias de que trata este Regulamento e legislação sanitária pertinente.

1.1. Os bens e produtos sob vigilância sanitária, destinados ao comércio, à indústria ou consumo direto, deverão ter a importação autorizada desde que estejam regularizados formalmente perante o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária no tocante à obrigatoriedade, no que couber, de registro, notificação, cadastro, autorização de modelo, isenção de registro, ou qualquer outra forma de controle regulamentada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária.

Conforme publicado no Diário Oficial da União, a Comercialização, Distribuição, Fabricação, Importação, Propaganda e Uso do medicamento ELEVIDYS, regularizado na Anvisa sob número 1.0100.0676.001-8 está suspensa desde 24/07/2025, por meio da Resolução-RE nº 2.813, de 24 de Julho de 2025, e encontra-se vigente. Portanto, a importação do medicamento não seria regular.

Esclarecemos que, caso seja concedida a autorização para importação excepcional pela Diretoria Colegiada da Anvisa, caberá ao importador submeter o processo de importação para análise por meio de peticionamento nesta Agência, conforme "Manual: Peticionamento de LI/LPCO com pagamento integrado PCCE", disponível em <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/centraisdeconteudo/publicacoes/portos-aeroportos-e-fronteiras>, e incluir na aba "Documentos Anexados" da LPCO a cópia do Ofício de autorização para importação em caráter excepcional, ou outro documento autorizador, e informar no formulário que se trata de importação autorizada por excepcionalidade.

Importante mencionar que a autorização de importação em caráter excepcional de produto sujeito à fiscalização sanitária sem regularização na Anvisa não implica dizer que o importador está isento de cumprir os demais requisitos estabelecidos pela Resolução RDC nº 81, de 2008, bem como demais normativas pertinentes, para fins de liberação sanitária da importação."

Dessa forma, conclui a GSTCO, que considerando o exposto, orienta-se que, no caso excepcional de autorização judicial para importação e infusão do Elevidys®, a decisão clínica seja devidamente fundamentada em avaliação médica individualizada, com adoção das medidas de precaução e monitoramento acima elencadas, em estrita observância às condições de segurança que justificaram a suspensão regulatória do produto. Ressalta, ainda, que toda suspeita de evento adverso deve ser comunicada à Anvisa por meio do Sistema Notivisa, e reforça que todas as notificações são fundamentais para o monitoramento em farmacovigilância, possibilitando a atualização do perfil de segurança dos produtos e a detecção de novos riscos associados ao seu uso.

Conforme informações prestadas GGPAF o importador deverá submeter o processo de importação para análise por meio de peticionamento nesta Agência, conforme "Manual: Peticionamento de LI/LPCO com pagamento integrado P C C E " , disponível em <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/centraisdeconteudo/publicacoes/portos-aeroportos-e-fronteiras>, e incluir na aba "Documentos Anexados" da LPCO a cópia do Ofício de autorização para importação em caráter excepcional, ou outro documento autorizador, e informar no formulário que se trata de importação autorizada por excepcionalidade.

A área destaca, ainda, que a autorização de importação em caráter excepcional de produto sujeito à vigilância sanitária sem registro na Anvisa não implica dizer que o importador está isento de cumprir os demais requisitos estabelecidos pela RDC nº 81, de 2008, que dispõe sobre o Regulamento Técnico de Bens e Produtos Importados para fins de Vigilância Sanitária, bem como demais normativas pertinentes, para fins de liberação sanitária da importação.

3. **Voto**

Face o exposto, considerando que se trata de dar cumprimento a decisão judicial, e que não cabe avaliação de mérito pela Anvisa, **manifesto-me, em caráter *ad referendum*, FAVORÁVEL** ao pleito e **voto pelo DEFERIMENTO da solicitação.**

Leandro Pinheiro Safatle

Diretor-Presidente

Anvisa



Documento assinado eletronicamente por **Leandro Pinheiro Safatle, Diretor-Presidente**, em 26/09/2025, às 16:25, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **3849992** e o código CRC **7B041639**.

Referência: Processo nº
25351.938160/2025-31

SEI nº 3849992