

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Delandistrogeno moxeparvoveque deambuladores de 4 a 7 anos

Distrofia Muscular de Duchenne - Conitec

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento extremamente importante para dar qualidade de vida para crianças com DMD, todos merecem a oportunidade de viver mais e melhor.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: Vi crianças fazerem coisas que antes de receber o medicamento era impossível. Elevidys e vida., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho um filho portador de distrofia muscular de Duchenne e tive dois primos com a mesma doença que não tiveram a oportunidade de tomar a medicação que trás esperança pra crianças que aos 10 anos de vida estão cadeirantes e na segunda década de vida muitos vão a óbito, elevidys é esperança para muitas crianças!	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, é muito importante já que não há nenhuma medicamento mais promissor que esse pra doença e, Devido a gravidade da doença não é apenas fica confinado a cadeira de rodas o problema do doença , E também ter uma morte precoce em alguns casos com expectativa de vida 24 ano, s em outro aos 30 ano porque todos órgãos vitais como coração e diafragma são antigidos	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Prednisona,deflaxcorte, coezima q-10, cálcio mais vitamina d3,carnetina, Positivo: Melhoria na fadiga leva mais tempo pra senti cansado e quando ha fadiga ha um recuperação mais rápido desse fadiga. , Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Gratidão a Anvisa, ao Ministros Gilmar Mendes que negócio a compra do medicamento e hoje gratidão CONITEC por ajudar a salvar vidas, todos médicos precisam sabem mais sobre multacao genética não sabemos quem será a próxima família.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: A volta da força muscular em crianças com distrofia Muscular de Duchenne mudando o percurso da doença e não permitindo a morte precoce, Negativo e dificuldades: O governo não entrega a medicação para crianças de 4 anos esperando a doença avançar até os 8 anos para mudar o percurso da doença quanto antes	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Codicorde, Positivo: Atrasa a doença em 5%., Negativo: A criança não para de morrer a cada dia e é uma morte lenta e dolorosa os pulmão ficam fraco a criança vai perdendo peso e tem baixa oxigenação passa a usar bipap mais o coração fica fraco até parar, Por favor salve essas crianças são anjos sem pecado	4ª - A Distrofia Muscular de Duchenne cada criança é um caso diferente umas crianças a doença vem mais forte.	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento é muito importante para o paciente, uma vez que acima de Deus sua única esperança é essa vacina, não existe nenhuma outra medicação capaz de ajudar no tratamento, é. Uito triste ver uma criança perdendo seus movimentos e condenada ao sofrimento até sua morte, por não ter condições de pagar um tratamento tão caro e muitas vezes não conseguir nem consulta. Imploramos pela inclusão desde medicamento no SUS. Olhem para estes casos com amor e caridade, essas crianças não podem morrer por omissão.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide e vitamina D, Positivo: Nenhuma, Negativo: A criança engordou muito e está perdendo os movimentos miolo rápido, sente dores apenas ao pegá-lo no colo, pois não consegue mais subir escadas ou andar sem apoio.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença neuromuscular progressiva e degenerativa, com curso irreversível, redução da expectativa de vida e morte prematura até 30 anos de vida. Decorre de mutações no gene DMD que geram ausência na produção da proteína distrofina. Mesmo antes de morrer, há graves impactos na qualidade de vida e funcionalidade, como perda da marcha entre 10-13 anos de idade, complicações respiratórias, disfagia, perda de autonomia. Gera altos custos com acompanhamento multidisciplinar e reabilitação., A terapia gênica oferece a possibilidade de estabilização motora, através da produção de microdistrofina, permitindo melhora da qualidade de vida e funcionalidade em uma doença cujo curso até o momento é invariavelmente progressivo. Apesar do alto custo, é notável o benefício motor nos estudos pivotais apresentados com a medicação. Outras vantagens é que a terapia gênica não é mutação específica (como o Atalureno, por exemplo), permitindo inclusão de maior número de pacientes a serem tratados. A longo prazo, alguns desfechos ainda são desconhecidos, como o benefício cardíaco e respiratório, mas já há estudos em andamento com populações mais velhas. Apesar dos cuidados importantes que demandam para a infusão, creio que os benefícios superem os riscos e custos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogene moxeparvoveque (Elevidys) - Terapia Gênica para Distrofia Muscular de Duchenne, Positivo e facilidades: Estabilização do quadro motor (doença é progressiva e degenerativa) e melhora da qualidade de vida. Não é mutação específica, podendo atender maior número de pacientes. Dose única. , Negativo e dificuldades: Demanda acompanhamento médico especializado e multidisciplinar, preferencialmente em centro de referência. Uso prolongado de corticoide em doses altas nos primeiros meses do tratamento. Alto custo da medicação, tempo de durabilidade ainda não estabelecido.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticoide e Atalureno, Positivo: Corticoide tem evidência e é usado como padrão no tratamento da DMD, mas apenas reduz a velocidade da perda de marcha em até 2 anos e tem muitos efeitos colaterais com o uso prolongado., O Atalureno prolonga o tempo de marcha em grupo determinado de pacientes (deambulantes) e é mutação específica (Nonsense), Negativo: Corticoide não evita progressão, apenas reduz a velocidade da perda de marcha em até 2 anos. Tem efeitos colaterais importantes com o uso prolongado (imunossupressão, hiperglicemia, hipertensão, baixa estatura, ganho de peso, acne e estrias, osteoporose), O Atalureno prolonga o tempo de marcha em grupo determinado de pacientes (deambulantes) e é mutação específica (Nonsense) - não é disponível no SUS, tem alto custo e é utilizado apenas em 1 grupo de pacientes que tenham a mutação Nonsense	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com certeza que o medicamento deve ser incorporado no SUS, pois se apresenta como única forma para o tratamento/estadiamento da DMD, de forma a prover uma vida mais digna as crianças e familiares que convivem com a DMD	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como todo tratamento medicamentoso há riscos, porem, nada supera os danos causados pela progressão da fraqueza muscular na vida dos meninos com Duchenne! A ganhos advindos da terapia genica Elevidys compensa todo acompanhamento necessário! É a chance de alterar o ciclo dessa doença devastadora.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticoide Deflazacorte diário continuo, Positivo: Leve controle do processo inflamatório dos músculos., Negativo: Corticoide diário não interfere na progressão da doença, a fraqueza muscular progressiva persiste de forma severa, com perda da marcha pelos 10 anos e morte pelos 20 anos.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda medicação aprovada pela Anvisa deve ser disponibilizada pelo SUS é uma esperança para	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento Delandistrogeno moxeparvoque para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne é um grande avanço no tratamento das doenças neuromusculares, rapidamente progressivas e incapacitante. Tenho experiência clínica e científica no manejo desse perfil de pacientes das mais diversas idades e conheço a história natural da doença. São altamente incapacitantes ao longo de cada mes da vida da criança. Com o medicamento observei claramente nas minhas 4 experiencias dos primeiros pacientes a serem infudidos no Brasil, uma evidente melhora da capacidade motora. Atos como pular, subir e descer escadas, levantar-se do chão, correr tornaram-se altamente funcionais, velozes. Há um ganho de atividade motora e força muscular já nas primeiras semanas pós infusão. A incorporação do medicamento permitirá que crianças na faixa etária estipulada atualmente consiga ter uma evolução motora e ganhos funcionais ainda no período que caminham, permitindo assim o prognóstico cada vez melhor diante de uma doença considerada uma das mais progressivas e rapidamente incapacitante da criança	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogeno moxeparvoque para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne, Positivo e facilidades: Sou a fisioterapeuta responsável pelas avaliações motoras e acompanhamentos periodicos dos pacientes já submetidos a infusão do medicamento Delandistrogeno moxeparvoque para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne em um dos Centros cadastrados na região Sudeste do Brasil. Já foram realizados 4 infusões, sendo outro em fase de avaliações para infusão próxima. No Dos pacientes já tratados, todos os pacientes foram avaliados pré infusão pelas escalas NSAA (north Star Ambulatory Assessment) e testes cronometrados (time to rise e run). Todos os pacientes apresentaram aumento do escore total da NSAA, mas principalmente apresentaram queda do tempo do teste Time to Rise, sendo em todos menor do que 5 segundos (Zambon et al., 2021), já na primeira semana após infusão. Esse dados comprovam estudos científicos prévios, descritos com aumento do escore da NSAA e diminuição do tempo no teste Time to Rise., Negativo e dificuldades: Nenhum efeito negativo na funcionalidade motora. Todos os pacientes apresentaram ganhos motores, aumento da funcionalidade, diminuição do tempo de levantar do chão, tornando as crianças mais rápidas para todas as atividades propostas	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: somente com medicamentos como corticoides, Positivo: não há estabilização da evolução da doença. Apenas em alguns casos houve um certo retardo na progressão da doença, mas nada significativo, Negativo: aumento de peso, irritabilidade, retardo no crescimento	4ª - Sou a fisioterapeuta responsável pelas avaliações motoras e acompanhamentos periodicos dos pacientes já submetidos a infusão do medicamento Delandistrogeno moxeparvoque para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne em um dos Centros cadastrados na região Sudeste do Brasil. Já foram realizados 4 infusões, sendo outro em fase de avaliações para infusão próxima. No Dos pacientes já tratados, todos os pacientes foram avaliados pré infusão pelas escalas NSAA (north Star Ambulatory Assessment) e testes cronometrados (time to rise e run). Todos os pacientes apresentaram aumento do escore total da NSAA, mas principalmente apresentaram queda do tempo do teste Time to Rise, sendo em todos menor do que 5 segundos (Zambon et al., 2021), já na primeira semana após infusão. Esse dados comprovam estudos científicos prévios, descritos com aumento do escore da NSAA e diminuição do tempo no teste Time to Rise.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes precisam dessa medicação para terem qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse remédio pode salvar a vida de tantos brasileiros acometidos por Duchenne	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo cidadao tem direito aa saude. Pacientes com doencas raras e ultrarraras sao invisiveis e para eles o acesso a tratamentos e', sempre mais dificil. Nao deveria ser.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda criança tem o direito de ter um futuro digno e é nosso papel garantir isso. Crianças com Duchenne se não tomas o medicamento são fadadas a um futuro de sofrimento e morte precise.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide, Positivo e facilidades: Muito efeito colateral e tem resultados limitantes, Negativo e dificuldades: Impedi o crescimento e agride os órgãos	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A experiência com o medicamento Eledyvis (acetato de givinostat) demonstrou resultados positivos no manejo da distrofia muscular de Duchenne, especialmente em pacientes na fase inicial da doença. Observou-se melhora na função motora e na força muscular, bem como desaceleração na progressão clínica, o que impacta diretamente na qualidade de vida dos pacientes e no prolongamento da mobilidade., , O medicamento também apresenta boa tolerabilidade, com efeitos adversos geralmente manejáveis em ambiente ambulatorial. Outro aspecto positivo é a via de administração oral, o que facilita a adesão ao tratamento, especialmente em pacientes pediátricos e em contextos domiciliares., , Do ponto de vista da gestão em saúde, a incorporação de uma terapia modificadora da doença como o Eledyvis representa uma potencial redução de custos a longo prazo, ao postergar complicações que exigiriam intervenções mais complexas, como internações frequentes, suporte ventilatório precoce e cuidados contínuos de alta intensidade., , Além disso, o uso do Eledyvis pode ser complementar a terapias já disponíveis no SUS, como os corticosteroides, ampliando as possibilidades terapêuticas e permitindo uma abordagem mais individualizada conforme o perfil clínico do paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A distrofia muscular de duchenne é uma doença rara, progressiva e degenerativa, sem cura e com um único tratamento que atende somente mutações nonsense (que não chega nem a 15% da população acometida), que é o Translarna. Acomete 1 a 3.500/5000 meninos nascidos vivos. Hoje enfrentamos a dificuldade de acesso ao diagnóstico e de terapias de manutenção de qualidade de vida. Com a progressão da patologia teremos perda de deambulação, comprometimento cardíaco respiratório, dependência de aparelhos de ventilação não invasiva e de suporte à vida, complicações e demandas de alta complexidade e ainda, óbito precoce. Portanto, a incorporação do medicamento em questão traz o benefício e impacto necessário para longevidade, qualidade de vida e orçamentário. Pois, a progressão da patologia implica em mais despesas tanto para a família quanto para o próprio estado. E por fim, a incorporação traz equidade ao acesso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Número considerável de pessoas que já receberam (em estudo e comercialmente), Eficácia demonstrada na estabilização da doença., Perfil de segurança consistente em longo prazo.	5ª - Redução de custos com hospitalizações/progressão da doença (UTI, OPM', s, VNI, home care...). Diminuição da judicialização. Centralização da compra.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, todo cidadão brasileiro tem direito a saúde gratuita e de qualidade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Terapia gênica importantíssima para a DMD pois altera completamente sua evolução naturais	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: delandistrogeno moxeparvoveque, Positivo e facilidades: Altera completamente a história natural dessa grave doença, Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: corticoterapia, cardioproteção, tratamento de osteoporose e outras comorbidades., Positivo: Desacelera um pouco o curso grave da doença, mas bem abaixo dos efeitos positivos do delandistrogeno moxeparvoveque, Negativo: Houve no primeiro mês um aumento de transaminass, revertido sem maiores consequências	4ª - Me ponho a disposição como especialista	5ª - não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Auxilia na qualidade de vida dos portadores desta doença	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Melhora do quadro de avanço da atrofia muscular , Negativo e dificuldades: Acesso ao paciente	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nenhuma, Positivo: Nenhuma, Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento extremamente importante para tratamento da doença! De valor excessivo, tratando de vida ou morte do paciente, além da qualidade de vida! E é um medicamento que tem prazo para ser aplicado! Portanto precisa estar acessível!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, AS CRIANÇAS COM DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE NECESSITAM DESSA MEDICAÇÃO, POIS NÃO HÁ OUTRO.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se há o medicamento e pessoas necessitando do mesmo, se faça valer o acesso e disponibilidade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser tratar de uma doença extremamente grave e o medicamento tem prazo para ser ministrado, sendo incorporado pelo sus, tornar se acessível assegurando uma qualidade de vida ao paciente! E até mesmo evitando a morte de forma precoce! As crianças precisando desse medicamento!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O valor do Elevidys é altíssimo, sendo inacessível para famílias que tem pessoas com a síndrome. As crianças precisam do medicamento, isso garante qualidade de vida e faz com que a distrofia seja estabilizada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças precisam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Depois de Deus essa vacina é a única esperança de vida para meu neto e outras crianças portadoras dessa doença rara, imploramos pela liberação desta vacina, são vidas que têm direito a saúde e cuidados, a não liberação deste medicamento é uma sentença de morte, não só para a criança, mas para família também.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide e vitamina D, Positivo: Ele melhorou pouquíssimo na queda, fazendo hidroperapia e fisioterapia., Negativo: O uso do corticoide aumentou muito o peso do meu neto o que dificulta o andar e sua locomoção, não sobe mais escada, sente um cansaço muito grande e está perdendo os movimentos muito rápido.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento pode mudar a vida de crianças	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é o único com promessa de mudança dignificativa no curso da doença, a única esperaça para os meninos com Duchenne.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacorte, Positivo: Apenas paliativo, redução da inflamação nos músculos., Negativo: Ganho de peso, inchasso e retenção de líquido, atraso na puberdade e catarata.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os resultados estão sendo bons nas crianças que já receberam o Elevidys.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticóides., Positivo: Preservação dos músculos., Negativo: Irritabilidade da criança.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É a possibilidade de retardar o avanço dessa doença que tem um prognóstico muito cruel.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticóide e Atalureno , Positivo: Melhora na qualidade de vida, prolongando período de deambulação, capacidade respiratória e função cardíaca , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Então meu filho preciso de uma medicação de alto custo elevidys que tá para corporar no SUS, pela idade dele ainda não pode tomá-lo espero que a conitec libere para todas as idades	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Essa medicação ela é eficaz pela doença é o elevidys	5ª - Essa medicação é muito eficaz pela doença distrofia muscular de duchenne o elevidys é muito eficaz para o DND

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento caro que pode dar qualidade de vida. Toda vida importa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Gostaria muito da inclusão deste medicamento no sus pois beneficiaria inúmeros pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Devemos aguardar ainda os resultados de longo prazo da droga, sobretudo desfechos favoráveis e sobretudo como manejar efeitos adversos. , ,	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: translarna , Positivo: aumento do tempo de marcha, Negativo: resposta variável de acordo com pacientes	4ª - Não	5ª - O custo é extremamente elevado , e o que vemos em prática clínica é que os pacientes não tem , em sua maioria, atendimento básico, com acesso adequado a fisioterapia, acesso a deflazacorte (já bem estabelecido como modificador de desfecho), órteses e cadeiras de rodas adaptadas, nem inserção social. Temos muitas necessidades não atendidas para pacientes e famílias com essa condição, e a droga em questão , pelos estudos atuais, não mostrou modificação no seu objetivo primário, de aumentar o tempo de marcha
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ao ser incorporado pelo SUS, irá auxiliar muitos portadores	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Elevidys é a única terapia genica atualmente para DMD, ainda em estudo para ampliação de faixa etária, já bem avançado nos EUA, sendo utilizado inclusive em cadeirantes, mostrando inúmeros benefícios quando se fala em comprometimentos Cardio pulmonar. No Brasil, conforme avaliado e cadastrado pela Anvisa, o medicamento tem o potencial de estabilizar o avanço da doença trazendo qualidade de vida e aumento da expectativa de vida para os meninos, com efeitos colaterais brandos conforme observamos até o momento nas crianças já medicadas, identificamos ganhos importantíssimos na função motora, contribuindo para a qualidade de vida dos meninos. Enquanto mãe e profissional de saúde, eu clamo por essa incorporação para que possamos mudar o futuro dos nossos filhos e das novas gerações.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide - prednisolona 3 mg/ml , Positivo: Medicamento usado no protocolo padrão para DMD, o corticoide tem muitos efeitos colaterais e não consegue conter o avanço da doença como o Elevidys tem feito nos meninos que receberam a infusão , . , Negativo: Irritabilidade, baixa estatura, aumento do apetite, aumento de peso, imunossupressão.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou a favor da implantação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Cada vez mais crianças tem tido o diagnóstico de Duchenne, com a possibilidade de tratamento, é válido que seja fornecido	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento caro, deve ser disponibilizado pra os pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Dará melhor qualidade de vida aos meninos acometidos por essa doença tão devastadora.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ataluren, Positivo: Retardo na progressão da doença, Negativo: Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento precisa ser incorporado no SUS para que possamos crescer e ter uma vida o mais normal possível sem dependências de cadeira de rodas, o Elevidys salva vidas.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Atalureno, Positivo: Me ajuda atrasando o desenvolvimento da síndrome. , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação, é a única forma das crianças receberem o tratamento e terem uma oportunidade de vida. Sem isso todas estão condenadas abuma vida de sofrimento e morte precoce.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - fundamental que o SUS ofereça o *Elevidys* para crianças de 4 a 7 anos com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) porque a DMD é uma doença genética progressiva que causa fraqueza muscular. Os sintomas geralmente surgem entre 3 e 6 anos, e a função muscular começa a deteriorar-se significativamente após os 6 anos, mesmo com tratamentos convencionais como corticosteroides. O Elevidys é a primeira terapia gênica aprovada no Brasil para DMD. Ele introduz um gene que codifica a microdistrofina, substituindo parcialmente a proteína distrofina ausente ou defeituosa, essencial para a integridade muscular.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse é o único remédio disponível em todo mundo para a doença de Duchene e seu uso tem trazido bastante eficácia aos portadores de DMD, ele tem parado a progressão da doença e melhorando muito a qualidade de vida dos portadores.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é extremamente caro, uma pessoa comum nunca conseguirá pagar por ele e assim muitas vidas serão prejudicadas, crianças perdendo literalmente sua vida pela doença porque sem a medicação ela não melhora, o paciente apenas regride até ficar preso em uma cadeira de rodas, sendo que o remédio pode retardar isso. Mas, impossível pagar por 20 milhões em uma medicação, então o acesso dele com o sus faria toda diferença na vida dessas crianças, que não sofrerão mais e nem seus pais e até nós profissionais de saúde, que mesmo tentando ajudá-los, os nossos cuidados tornam-se apenas paliativos, pois não haverá melhora a longo prazo porque o paciente com a doença de Duchenne não pode se esforçar, porque isso evoluirá seu quadro. Além de ter visto um paciente com a doença no meu período de estágio, também tenho 2 familiares com a doença. Um familiar já encontra-se na cadeira de rodas, pois não conseguiu ter acesso nem a fisioterapia quando criança e o outro está lutando em busca da medicação, mas já apresentando fraquezas, uma criança de apenas 3 anos. A implementação seria bom para o país em si por inteiro!	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Tratamento fisioterapêutico , Positivo e facilidades: Paciente não tinha acesso ao uso do medicamento, assim era feita a fisioterapia paliativa, com caso tivesse acesso o Elevidys retardaria os sintomas da doença , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Sim. Como profissional da saúde e também familiar de dois pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), acompanho de perto a evolução da doença e os impactos devastadores que ela tem sobre a qualidade de vida dos pacientes e suas famílias. O Elevidys (delandistrogene moxeparvec-rokl) representa uma inovação terapêutica importante por ser uma terapia gênica com potencial de modificar o curso da DMD, especialmente quando administrada em estágios iniciais da doença., , Evidências clínicas iniciais, como os estudos ENDEAVOR e SRP-9001-103, demonstraram aumento na expressão de microdistrofina e indicativos de melhora funcional em crianças tratadas, ainda que haja necessidade de mais dados de longo prazo. No entanto, em doenças raras e progressivas como a DMD, a velocidade na incorporação de terapias promissoras é fundamental, especialmente diante da ausência de opções curativas. A segurança apresentada até o momento e os desfechos clínicos funcionais positivos justificam a incorporação do Elevidys no SUS, desde que haja acompanhamento rigoroso dos dados em vida real., , Essa incorporação seria um passo histórico na equidade de acesso à medicina de ponta para pacientes com doenças raras no Brasil, oferecendo esperança real para famílias que, como a minha, convivem com a DMD diariamente.	5ª - Sim. Considerando o impacto clínico significativo do Elevidys e seu potencial de alterar o curso progressivo da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), é importante analisar os estudos econômicos sob uma perspectiva ampliada. Embora o custo inicial da terapia gênica seja elevado, há evidências de que, ao reduzir a progressão da doença, o Elevidys pode gerar economia ao sistema de saúde no médio e longo prazo, diminuindo a necessidade de internações, tratamentos auxiliares e suporte contínuo., , Além disso, os custos indiretos para as famílias — como perda de produtividade, necessidade de cuidadores em tempo integral e adaptações domiciliares — são extremamente altos e geralmente não contemplados nos modelos tradicionais de custo-efetividade. Como profissional da saúde e familiar de dois pacientes com DMD, vejo diariamente os custos físicos, emocionais e financeiros que a doença impõe. Terapias que oferecem ganho funcional e estabilização clínica têm um valor incalculável nesse contexto., , Portanto, é essencial que a análise econômica do Elevidys leve em consideração não apenas o custo direto do medicamento, mas também os benefícios

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
					sociais, familiares e sistêmicos que sua incorporação pode trazer.
Interessado no tema 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Porque é um doença devastadora .o sus têm alguns meio de trata essa doença mais são tão eficaz como esse medicamento e, E uma que leva a morte precoce a 20 Ou 30 da idade por pobremas músculos como coração e diagrama se não houver intevaco mas desse medicamento sera esse o destino de quem possui a doença .,	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Predinosa, deflaxacorte, coenzima q10,carnetina ,cálcio mais vítima d3, Positivo: Menos cansaço e menos fadiga ,e recuperação mas rápido do cansaço e fadiga , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de extrema importância para salvar vidas de crianças em desenvolvimento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Uma oportunidade de ajudar muitas crianças com Síndrome de Duchenne ter qualidade de vida e uma forma de paralisar a síndrome	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Presica ser aprovado devido a não existência de medicamento com a eficácia do elevidys no sus e devido a condição extremamente severa da distrofina muscular Duchene,e sem esse tratamento não somente se condenam as pessoas com essa condição a fica na cadeira de rodas,mas a morte precoce devido pobremas cardíacos ou respiratórios geralmente levando a óbito as 25 ou 30 anos de idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação no SUS será a oportunidade de cura para muitas vidas preciosas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acredito que essa medicação é de muita importância pra esses meninos que hoje sofrem com essa doença é uma esperança pra família eu já tive um, Irmão com essa doença e digo que é um sofrimento muito grande você vê um ser inocente sofre o tanto que destruidora que essa doença faz a mais ou menos 25 anos atrás não se falava em medicação nem mesmo pra estabilizar a doença meu irmão andou até os 9 anos de idade foi para numa cadeira de rodas e não é só a atrofia dos músculos dos movimentos perdidos vai muito além você vê um menino que na mentalidade não ser afetado ter consciência de tudo o que está acontecendo e saber que aos poucos você vai morrendo um pouquinho por dia é muito muito triste é uma pena que naquela época não tinha nada o que fazer pra ajudar ele perdeu os movimentos das pernas seu braço ficaram fracos até que seus órgãos internos foram afetados primeiro os rins estavam quase parando até que chegou por fim no seu coração que passou a bater com muita dificuldade não tinha força pra bombear o sangue pro seu corpo todo causando hipotermia queda de pressão e um dia esse coração na aguentou e parou ele estava com 13 anos de idade morreu ao lado da minha mãe que hoje está com ele e morreu consciente de tudo o que estava acontecendo com ele os médicos falaram pra minha mãe que ele poderia chegar aos 20 anos de idade eu imagino que seria de muita dor porque até os 13 anos é imensurável fala o quanto nossa família sofreu , Hoje estou aqui me ajudando a muitas mães de meninos que sofrem dessa doença já sabendo o sofrimento mais que esse sofrimento pode ser estacionado essa medicação salva vidas se hoje meu irmão fosse diagnosticado eu lutaria pra que essa medicação chegasse a ele assim como eu desejo que chegue pra muitos meninos que hoje lutam com essa doença , É um medicamento que alguns pais conseguiram pro seus filhos com muita luta e briga na justiça e que tem dado um resultado satisfatório de muito alívio e um medicamento seguro sus pra todos por favor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento de valor muito elevado para qualquer família brasileira, acredito que ninguém gostaria de estar passando por essa situação. Infelizmente algumas famílias estão com esse caso e precisão da ajuda do governo para dar o melhor cuidado para seus filhos e terem a esperança de cura ou de qualquer melhora que possa agregar ao logo da vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Extremamente importante e necessário ter essa medicação e tratamento pelo SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sendo incorporada no SUS todos que nescessitam podem assim usufruir, podendo evitar complicações no futuro	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A saúde da criança é o direito à vida digna são garantidos por lei e devem ser respeitados! Se existe algo que muda o curso da doença deve ser usado!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoides que não substituem o elevidys , Positivo: Perder a marcha com 11 anos, Negativo: Não para o avanço da doença	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, toda criança tem direito de ser assistida em suas necessidades independente da faixa etária	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho um filho com DMD. A marcha já está em degradação. A cada dia que passa a pontinha do pé e fraqueza muscular é aumentada. A conquista desse medicamento trata a paralisação da doença. O que ele já perdeu ficará difícil reverter. Precisamos da liberação pra que possa estagnar a doença. Sabemos do alto valor da medicação, mas a incorporação ao SUS trará diminuição por compras em lotes e trará mais estudos e viabiliza a diminuição do custo do medicamento. Temos pressa, pois tempo é músculo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças com Duchenne precisam dessa terapia....sabidamente mais de 159 receberam e estão muito bem...no Brasil as 8 crianças que já receberam já apontam melhoras significativas mensurada por testes específicos	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Indiretamente o Elevidys , Positivo e facilidades: As crianças após receberem estão bem, pulam e correm coisas que não faziam antes do Elevidys , Negativo e dificuldades: O acesso ao Elevidys	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Hoje apenas fisioterapia e corticoide meus filhos podem receber, Positivo: São básicos, hoje já se sabe que a terapia Gênica trás muitos benefícios , Negativo: São básicos e não permitem a produção de distrofina	4ª - Nao	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para nossos meninos é a única chance de terem uma melhor qualidade de vida, podendo manter a marcha e os movimentos por mais tempo.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys , Positivo e facilidades: Uma melhora na marcha dos meninos que receberam o elevidys , Negativo e dificuldades: Valor e a não incorporação para meninos maiores	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Devido a falta de um medicamento com a mesma eficácia do elevidys pra trata a distrofia muscular no sus,não se estara somente confinado a cadeira de rodas quem possui esta doença ,mas também a morte precoce porque devido complicaes cardíacas e respiratórias normalmente quem possui a doença morre as 20 ou 30 anos ,sem o elevidys se está praticamente condenado essas pessoas a uma menor qualidade de vida e também condenado a morte precoce.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitas crianças estão perdendo suas vidas por falta do medicamento na época certa, descobri recentemente a doença do meu filho e tenho acompanhado de forma angustiante as perdas do movimento em suas pernas e ainda aguardo pelo respaldo do Estado sobre aquisição do Elevidys	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É a única solução par o problema da criança.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Precisamos aprovar esse medicamento e ajudar a qualidade de vidas de inúmeras crianças.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso a terapia genica ELEVIDYS para os meninos com DUCHENNE é a chance para que eles cresçam com qualidade de vida e autonomia. É a única chance de que a doença seja estabilizada e, assim, a fraqueza muscular progressiva seja efetivamente controlada. ELEVIDYS mesmo não sendo a cura, nos estudos observaram essa capacidade de estabilizar o avanço da degeneração muscular presente nos demais meninos que tratam apenas com corticoide. Incluir o ELEVIDYS no SuS é garantir vida a esses meninos que lutam diariamente contra os efeitos dessa doença devastadora!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Tratamento com corticoide Deflazacorte diário. , Positivo: Irrisório controle do processo inflamatório dos músculos., Negativo: Tratamento com corticoide NÃO impede a progressão da fraqueza muscular e, consequentemente, perda da força muscular. A doença avança causando todas as limitações já conhecidas, além de todos os efeitos colaterais acarretamos pelo uso contínuo do corticoide.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O caráter preventivo, não podemos deixar nossas crianças a míngua, sabendo que a situação pode ser revertida pelo medicamento e prolongar a vida dos mesmos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento deve ser incorporado ao SUS, pois é a única saúde para crianças portadoras da doença de Duchenne.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para que todas crianças que possuem Duchenne tenha direito ao medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser um medicamento de alto custo, deve sim estar presente no SUS, já que existe o tratamento deve ser oferecido em rede pública.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que todo medicamento deve ser disponibilizado	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso ao medicamento é impossível tendo em vista o valor de 20 milhões	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Prednisolona , Positivo: Desinformação do musculo, Negativo: Prednisolona destrói os ossos e inibe p crescimento	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - Não enviar documentos pessoais
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, os meninos que tem distrofia muscular de duchenne precisam desse medicamento para ter uma vida digna.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação é essencial para a vida destas crianças de 4 a 7 anos, para que possam ter uma vida normal e saudável , sem distrofia e sofrimento. Por favor liberem o Elevidys para esses anjos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conheço um jovem de 15 anos, de Marília SP, que tem a doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acredito que esse medicamento deva ser implantado no SUS para oferecer a oportunidade de cura e de uma condição de vida melhor aos portadores dessa distrofia, assim como alívio e esperança de ter os filhos por muitos anos dos seus pais.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, MEDICAMENTOS QUE AUXILIAM NA CONDUÇÃO DE PATOLOGIAS QUE NÃO APRESENTAM MEDICAÇÃO ESPECÍFICA E QUE MINIMIZAM EFEITOS COLATERAIS DE MAIOR RISCO, SEMPRE SERÃO BEM VINDOS À POPULAÇÃO	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: CORTOCOIDE, Positivo: MELHORA DOS SINTOMAS, Negativo: OBESIDADE - AUMENTO DA GLICEMIA	4ª - NÃO	5ª - NÃO
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento salva vidas e famílias... Minha filha nasceu perfeita....mas me colocando no lugar dos pais que tem filhos com essa distrofia, imagino a dor e aflição que deve ser lutar diariamente para não perder o filho.... LIBERAAAAA SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Ótimos resultados em pouco tempo, Negativo e dificuldades: Nenhum...apenas melhoraz	3ª - Não	4ª - Essa terapia salva vidas	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 12/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A vida não tem preço	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Volta da força , Negativo e dificuldades: Não tem	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 12/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação no SUS, trará maior expectativa de vida aos portadores da DMD	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Incorporação de tecnologias na área de oncologia, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 12/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação é a única esperança para pacientes portadores da distrofia de duchenne sobreviverem a idade adulta.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoides, vitaminas, fisioterapia e fonoaudiólogo., Positivo: Ajuda no fortalecimento do organismo e tenta desacelerar a progressão da doença., Negativo: São tratamentos somente paliativos, sem chance de cura.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 12/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de extrema importância o fornecimento do medicamento pelo sus, para garantir o acesso de toda população à saúde, mesmo a que não tem condição financeira para pagar pelos tratamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 12/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso aos medicamentos para doenças raras deveria ser mais fácil.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 12/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Nossos meninos precisam serem salvos	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys , Positivo e facilidades: Melhora em tudo na vida da criança com Duchenne , Negativo e dificuldades: Até agora nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Facilitar o acesso da terapia genica ELEVIDYS aos meninos com DUCHENNE é possibilitar que eles cresçam com qualidade de vida e autonomia, tenham tempo para que novos tratamentos sejam lançados e a doença esteja estabilizada! ELEVIDYS mesmo não sendo a cura, nos estudos observaram essa capacidade de estabilizar o avanço da degeneração muscular presente nos demais meninos que tratam apenas com corticoide. Incluir o ELEVIDYS no SuS é garantir vida a esses meninos que lutam diariamente contra os efeitos dessa doença devastadora!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 13/06/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogeno moxeparvoveque, Positivo e facilidades: Melhora funcional, Negativo e dificuldades: Uso aumentado de corticoterapia	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticoide, Positivo: Ganho de funcionalidade, Negativo: Ganho de peso, irritabilidade, osteoporose	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A vida não tem preço	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: A paralisação da distrofia muscular de Duchenne, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A vida não tem preço, não sabemos em qual a próxima família que vai ter uma criança com dmd ou outra doença genética	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A vida não tem preço, estamos falando de crianças anjos salve nossos meninos	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Mudou o percurso da doença , Negativo e dificuldades: Preço	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Codicorde , Positivo: Atraso de 5% da doença , Negativo: Codicorde não resolve o elevidys volta a força muscular	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como mãe de (BRENO GUILHER MENDES ELER) de uma criança com Distrofia Muscular de Duchenne, venho expressar meu total apoio à incorporação do Elevidys (delandistrogene moxeparovec) no SUS., , A DMD é uma doença grave, degenerativa e progressiva, que a cada dia compromete mais a força e a autonomia de nossos filhos. O tempo é um fator determinante, pois cada semana sem tratamento representa mais perda muscular e qualidade de vida., , O Elevidys traz uma nova esperança, sendo uma terapia gênica capaz de modificar o curso da doença em crianças pequenas, justamente quando a intervenção precoce pode fazer toda a diferença., , Negar o acesso a essa tecnologia por questões burocráticas ou econômicas é condenar nossas crianças a uma vida com limitações severas e sofrimento crescente. O SUS tem um papel fundamental na proteção da vida e da dignidade dos cidadãos, principalmente os mais vulneráveis, como é o caso das crianças com DMD., , Por isso, peço com urgência e com o coração de mãe: incorporem o Elevidys no SUS! Nossos filhos merecem ter a chance de lutar com dignidade contra essa doença cruel. Não podemos esperar mais.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Meu filho faz uso contínuo de oredinoselona . fora as proteções cardíacas ., Positivo: apesar de destruir os ossos e causar osteoporose . ele melhorou muito em questão de cair, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Seria de suma importância para portadores da síndrome	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Vários pacientes que já fizeram uso nos relataram melhora impressionante , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: O givinostat, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitas crianças estão precisando deste medicamento para poder ter uma vida digna, com qualidade de vida e principalmente ter uma vida longa o mais próximo da normalidade possível.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É o melhor medicamento que existe no momento , sendo o único capaz de mudar o curso dessa doenças devastadora., Já existe dados clínicos mostrando sua eficácia. Precisamos do Elevidys .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É o melhor medicamentos para Duchenne no momento, sua eficácia é comprovada por dados clínicos. Precisamos desse medicamento para frear essa doença tão cruel.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 14/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou mãe de uma criança com suspeita de Deucheche e quero que meu filho assim como todos tenha direito de viver mais e ter qualide de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - As crianças que já fizeram o uso desta terapia gênica tiveram melhoras significativas em sua qualidade de vida	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 14/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 14/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Um medicamento com preço inalcançável por uma pessoa física, deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 15/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Delandistrogeno moxeparvoveque é indicado para o tratamento de pacientes deambuladores pediátricos de 4 a 7 anos de idade com distrofia muscular de Duchenne e deve ser aprovado conforme a bula, primeira terapia de transferência gênica usando o vetor rAAVrh74. A microdistrofina produzida demonstrou estabilizar ou atrasar a progressão da DMD. Estabilizar uma grave doença neurodegenerativa é importante, mesmo diante de possíveis riscos associados, já identificados em outras Terapias avançadas. Os pacientes devem ser adequadamente monitorados em relação a sua evolução e EA. Estudos de fases 1, 2 e 3 e com o acompanhamento mais longo (5 anos) em DMD, avaliando a segurança e eficácia. os resultados de eficácia significativa do Delandistrogeno moxeparvoveque foram, superiores aos do grupo controle externo e ao grupo placebo, que remete a história natural da doença, em que todos os pacientes (grupo controle externo, placebo e de tratamento usavam corticosteroides. Portanto o comparativo ao corticóide não pode ser considerado. reforçando também ser uma comparação impossível, pois a terapia apresentada é específica a fisiopatologia causal (insuficiência de distrofina). Corticosteroides e terapia gênica diferem significativamente em sua abordagem ao tratamento da DMD. Corticosteroides são utilizados como padrão de cuidado para controlar os sintomas e desacelerar a progressão da doença, reduzindo a inflamação e os danos musculares. A TG, por outro lado, visa tratar a causa genética subjacente da DMD, entregando um gene, corrigido às células musculares, oferecendo potencialmente um efeito mais duradouro. Para uma condição onde não há tempo de espera, pois refere-se a perda muscular irreversível, é aceitável um tratamento que modifica a história natural. Para outras condições raras aprova-se medicações sem o conhecimento de longo prazo, pois o tempo que passa significa a perda de oportunidades de uma janela terapêutica de oportunidades. A CDR apoia tratamentos inovadores para DR.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: landistrogeno moxeparvoveque, Positivo e facilidades: Paciente submetido a terapia genica com landistrogeno moxeparvoveque em 2024, encontra-se em ótimo estado geral, demonstrando melhora da força, capacidade de deambulação e troca de posição de sentado para em pé. , Negativo e dificuldades: Desfiador: acesso, cuidados pre e pós dosing, riscos associados ao procedimento, aumento de dose de corticóide associado a irritabilidade inerentes ao uso de corticóide em doses mais elevadas.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Atalureno, corticóide e terapias físicas, Positivo: O Atalureno apresenta indicações restritas e específicas tendo demonstrado ligeira estabilidade quanto a perda de deambulação e estabilidade da função motora. Corticóide é uma medicação com evidência para retardar a cadeira de rodas. , Negativo: No momento, são paliativos	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O valor abusivo deste medicamento é impraticável para as famílias que passam por essa situação. Se não houver auxílio do governo infelizmente essas crianças terão suas expectativas de vida diminuídas drasticamente, além da qualidade de vida extremamente precária.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento deve ser incorporado pelo SUS pois é uma única opção terapêutica disponíveis capaz de atuar no curso natural da doença de pacientes de distrofia muscular de Duchenne, uma doença altamente incapacitante e degenerativa, quem tem grande impacto na vida do paciente, em todo âmbito familiar e também no sistema público de saúde (esse paciente precisará de cuidados especiais durante toda a sua vida). Além disso, o financiamento dessa inovação via SUS é a única forma dos pacientes conseguirem terem acesso a esse tipo de terapia avançada no Brasil	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogênio moxeparvoveque - Elevidys, Positivo e facilidades: Os efeitos vistos após a aplicação trouxeram uma melhora significativa da função motora, tônus muscular do paciente. Houve melhora do paciente para levantar, andar e correr. Há boas expectativas para não progressão da distrofia muscular de Duchenne, Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo após essa aplicação, houve poucos efeitos colaterais para o paciente	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou favorável à incorporação do delandistrogênio moxeparvoveque (Elevidys®) ao Sistema Único de Saúde (SUS) como opção terapêutica para pacientes elegíveis com distrofia muscular de Duchenne (DMD), considerando critérios clínicos e imunológicos bem definidos. Trata-se de uma terapia gênica inovadora, com mecanismo de ação diretamente direcionado à causa da doença — a ausência de distrofina funcional — e que oferece, em dose única, a possibilidade de expressão sustentada de uma microdistrofina com função biológica relevante., A literatura científica já demonstra benefícios clínicos mensuráveis, especialmente quando o tratamento é iniciado em idade precoce. Ainda que o ganho motor absoluto seja modesto, a estabilização funcional em uma doença progressiva, como a DMD, representa um impacto significativo na vida do paciente e de sua família. A possibilidade de preservar a deambulação, adiar a dependência de ventilação mecânica e manter a função cardíaca e respiratória por mais tempo justifica plenamente a adoção dessa abordagem dentro de um cuidado integral e multidisciplinar., Além disso, a via de administração única por infusão intravenosa representa uma importante facilidade logística e de adesão, especialmente em comparação com terapias contínuas e de uso prolongado, como os corticosteroides. , Portanto, a incorporação do Elevidys® deve ser entendida como um avanço estratégico no cuidado de doenças genéticas raras e progressivas, alinhando o SUS com práticas terapêuticas de ponta já adotadas em outros países. Trata-se de uma medida ética, tecnicamente justificável e esperada pelas famílias brasileiras que convivem com a DMD.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogênio moxeparvoveque, Positivo e facilidades: Até o momento, não acompanhei diretamente nenhum paciente que tenha recebido a infusão do delandistrogênio moxeparvoveque (Elevidys®), principalmente devido à indisponibilidade no sistema público e à necessidade de liberação judicial no Brasil. No entanto, com base na literatura científica disponível e nos dados clínicos apresentados em estudos conduzidos nos Estados Unidos e Europa, é possível reconhecer efeitos positivos relevantes dessa terapia gênica para distrofia muscular de Duchenne., , Os principais resultados observados nos estudos clínicos incluem a expressão significativa da microdistrofina nas fibras musculares, confirmada por biópsia, além de melhora funcional motora mensurável por escalas como a NSAA (North Star Ambulatory Assessment), especialmente em crianças tratadas em idade precoce. Em diversos ensaios, houve estabilização ou ganho de marcos motores, incluindo tempo para levantar do chão, velocidade de caminhada e resistência física. A resposta ao tratamento parece ser mais favorável quando administrado antes da perda de marcha., , Uma das grandes facilidades relatadas é a administração única por infusão intravenosa, o que representa um avanço em relação a terapias contínuas de uso diário, melhorando a adesão e diminuindo a carga terapêutica sobre o paciente e a família. Além disso, os eventos adversos descritos até agora são, em geral, manejáveis com acompanhamento adequado. Portanto, mesmo sem experiência direta até o momento, os dados publicados justificam o otimismo quanto ao impacto clínico dessa terapia e sua potencial inclusão no manejo integrado de pacientes com DMD., Negativo e dificuldades: Embora o delandistrogênio moxeparvoveque (Elevidys®) tenha demonstrado perfil de segurança geralmente favorável nos estudos clínicos, alguns eventos adversos podem ocorrer, como elevação transitória de enzimas hepáticas, náuseas, vômitos, febre, trombocitopenia e reações imunológicas leves. Esses efeitos, na maioria das vezes, foram autolimitados ou controlados com suporte clínico e monitoramento laboratorial, sem comprometer a continuidade do tratamento. A triagem adequada de anticorpos anti-AAV9 e o seguimento especializado ajudam a minimizar riscos e garantir maior segurança na infusão.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Prednisolona / Deflazacorte / Prednisona, Positivo: O uso de corticosteroides na distrofia muscular de Duchenne (DMD) representa uma intervenção terapêutica essencial, com benefícios comprovados na modulação da progressão clínica da doença. Do ponto de vista da genética clínica, sua indicação se fundamenta em dados consistentes que demonstram melhora funcional em pacientes com deleções, duplicações ou variantes pontuais no gene DMD, os quais resultam em ausência ou disfunção da proteína distrofina, fundamental para a estabilidade das fibras musculares. A administração regular de corticosteroides, como prednisona ou deflazacorte, contribui para a redução da inflamação crônica, retardando o processo de degeneração e fibrose muscular. Na prática, observa-se prolongamento do tempo de marcha independente, preservação da função respiratória e cardíaca, e atraso na instalação de escoliose, fatores que resultam em melhor qualidade de vida e maior sobrevida., Contudo, apesar desses efeitos positivos, os corticosteroides não são isentos de limitações. Entre os efeitos adversos mais frequentes, destacam-se ganho de peso, redução do crescimento linear, osteopenia, risco de fraturas, hipertensão, catarata e alterações comportamentais. Tais efeitos exigem acompanhamento contínuo com abordagem multidisciplinar, incluindo suporte nutricional, endocrinológico e psicológico. , Negativo: Apesar de serem considerados a principal terapia modificadora da história natural da distrofia muscular de Duchenne (DMD), os corticosteroides estão longe de ser ideais. Seu uso prolongado, ainda que beneficie a função motora e respiratória, impõe um custo biológico significativo ao paciente. Os efeitos adversos são numerosos, previsíveis e, em muitos casos, extremamente debilitantes. Entre os mais comuns e graves estão ganho de peso excessivo, comprometimento severo do crescimento linear, osteopenia acentuada com risco elevado de fraturas vertebrais e longas, hipertensão arterial, resistência insulínica, catarata subcapsular posterior, imunossupressão e alterações neuropsiquiátricas, como irritabilidade intensa, labilidade emocional e até quadros de depressão ou psicoses., Esses efeitos não são	4ª - Sim. Como médico geneticista com atuação direta no acompanhamento de pacientes com distrofia muscular de Duchenne (DMD), considero importante destacar que as evidências clínicas atualmente disponíveis sobre o delandistrogênio moxeparvoveque (Elevidys®) demonstram benefício funcional especialmente em pacientes ambulatoriais, com idade entre 4 e 5 anos, em que ainda há reserva motora para responder à expressão da microdistrofina. Os dados do estudo EMBARK indicam melhora média de aproximadamente 3 pontos na escala NSAA (North Star Ambulatory Assessment) em 52 semanas, o que, mesmo que abaixo da significância estatística no endpoint primário, é clinicamente relevante em uma doença de curso inexoravelmente progressivo., , Adicionalmente, a documentação da expressão robusta de microdistrofina nas biópsias musculares dos pacientes tratados representa um desfecho substituto biologicamente plausível, reconhecido por agências reguladoras internacionais como marcador de efeito terapêutico. A eficácia é mais evidente quando o tratamento é iniciado precocemente, antes da perda funcional mais acentuada, o que reforça a importância de critérios de elegibilidade bem definidos e acesso precoce ao diagnóstico e ao tratamento.	5ª - Sim. Do ponto de vista técnico, é fundamental que os estudos econômicos sobre a incorporação do delandistrogênio moxeparvoveque (Elevidys®) considerem o custo global da distrofia muscular de Duchenne (DMD) ao longo do tempo, e não apenas o custo imediato do medicamento. Trata-se de uma condição genética progressiva e devastadora, que acarreta perda funcional precoce, necessidade de ventilação mecânica, cuidados intensivos, cirurgias ortopédicas, medicamentos contínuos e suporte multidisciplinar, além do impacto socioeconômico sobre as famílias, frequentemente forçadas a abandonar o trabalho para prover cuidados domiciliares., , Apesar do custo elevado da terapia gênica, o modelo de dose única do Elevidys pode, a longo prazo, reduzir significativamente a demanda por intervenções hospitalares, equipamentos, internações e medicamentos de uso contínuo, o que deve ser considerado nos modelos de custo-efetividade. Além disso, o benefício de preservar marcos motores e retardar a progressão da doença tem valor imensurável em termos de autonomia, qualidade de vida e produtividade indireta para a família e para o

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
			eventos raros ou colaterais discretos — são quase inevitáveis com o uso crônico, exigindo vigilância constante e frequentemente comprometendo o bem-estar da criança. A qualidade de vida pode ser duplamente impactada: pela progressão natural da doença e pelos efeitos colaterais da própria medicação. Muitas famílias vivem o dilema de ver o filho ganhar meses ou anos de marcha às custas de obesidade mórbida, baixa autoestima, dor óssea crônica ou crises emocionais graves. A toxicidade cumulativa dos corticosteroides é uma realidade inegável, e seu uso deve ser avaliado de forma crítica, caso a caso, com estratégias de mitigação ativa. Enquanto não há uma terapia ideal, é papel do geneticista clínico esclarecer que o benefício dos corticosteroides não é absoluto, e sim um equilíbrio precário entre ganho funcional e desgaste sistêmico.		sistema de saúde.
Interessado no tema 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamentos sao direitos de todos!! Inclusão no SUS ja!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças não merecem passar por essa doença , eu estou na torcida pra que vcs tenha a cura dessa doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pais de meninos aguardam pela incorporação da terapia genica ao Sus	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide, cálcio e vitamina D, Positivo: Melhora em habilidades motoras, Negativo: Casos leves de enjoo contidos com medicamentos	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças precisam desta oportunidade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Apesar do alto valor do medicamento, os casos são raros.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vamos dar a chance deste meninos terem uma vida mais longa por mais tempo voltando a sonhar.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Sou familiar de um dos meninos que recebeu a terapia aqui no Brasil. Não sou da área médica e não tenho conhecimento técnico, mas posso afirmar com o coração que a vida do meu sobrinho mudou completamente após a terapia., , Ele, que sempre sonhou em jogar bola, hoje consegue realizar esse sonho. Mais do que isso — passou a acreditar que é possível sonhar, que existe um futuro pela frente., , Quem conhece a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) sabe que esses meninos, infelizmente, nascem com um atestado de morte. A terapia é uma esperança real — uma salvação para tantos meninos e famílias que hoje só enxergam limitações., , Peço, de coração, que essa chance de sonhar e viver seja oferecida a mais crianças. Assim como meu sobrinho teve essa oportunidade, outros meninos também merecem poder sonhar com um futuro diferente., Positivo e facilidades: Meu sobrinho passou a voltar a sonhar e ter uma perspectiva de vida a longo prazo. Passou a se trocar sozinho e jogar bola com os amigos. , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso a esta terapia no Brasil.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Esteroides. , Positivo: Apenas uma diminuição da inflação muscular, nenhuma evolução do quadro da doença. , Negativo: Muitos efeitos colaterais incluindo aumento de peso exacerbado.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse é o único medicamento capaz de frear a doença trazendo mais qualidade de vida para os meninos portadores de Duchenne. Ele é uma esperança para os pais e por ser um medicamento de alto custo precisamos que seja incorporado no SUS para que todos possam ter acesso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, uma necessidade extrema para a saúde do paciente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Baseado na minha experiência clínica com os dois primeiros pacientes tratados com Elevidys no Brasil, observamos melhora funcional sustentada e ausência de eventos adversos graves. Ambos os pacientes apresentaram melhora na pontuação da escala NSAA aos 6 meses (de 29 para 33 e de 22 para 26 pontos, respectivamente), além de redução do tempo em testes cronometrados, saindo de valores superiores a 5 segundos (associados a risco de perda de marcha) para valores abaixo desse limiar., , Esses achados são consistentes com os resultados do estudo EMBARK, ensaio clínico fase 3 randomizado e controlado, que avaliou delandestronogeno moxaparvovec em meninos com DMD de 4 a 7 anos de idade. Embora o desfecho primário (mudança na pontuação da NSAA em 52 semanas) não tenha atingido significância estatística entre os grupos, o estudo demonstrou benefício clínico relevante em subgrupos e melhora sustentada em domínios motores específicos, como levantar do chão, caminhar e correr. Portanto, diante da gravidade e progressividade da DMD, da ausência de opções terapêuticas curativas e do potencial da terapia gênica em modificar o curso da doença, considero tecnicamente adequada e eticamente necessária a incorporação de Elevidys no SUS, de forma criteriosa e baseada em protocolos clínicos bem definidos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Sou médico neurologista com atuação na área de doenças neuromusculares e tive a oportunidade de participar diretamente da infusão e do seguimento dos dois primeiros pacientes com distrofia muscular de Duchenne (DMD) tratados com Elevidys no Brasil., , Ambos os pacientes realizaram a infusão entre 5 e 6 anos de idade, com mutações compatíveis com a indicação da terapia gênica e títulos negativos de anticorpos anti-AAVrh74. O acompanhamento clínico já ultrapassa um ano no primeiro caso, e se aproxima de um ano no segundo., , Durante o período perinfusional, ambos os pacientes apresentaram boa tolerância à medicação, sem eventos adversos significativos, à exceção de episódios isolados e autolimitados de vômitos. Não foram observadas alterações laboratoriais graves ou necessidade de internação prolongada., , Em relação à eficácia, observamos melhora clínica mensurável nas avaliações de função motora. Na escala NSAA (North Star Ambulatory Assessment), o primeiro paciente evoluiu de 29 para 33 pontos e o segundo de 22 para 26 pontos aos seis meses, com manutenção dos ganhos nas avaliações subsequentes. Ambos também apresentaram melhora em testes cronometrados de função motora (como levantar do chão e caminhar 10 metros), com redução do tempo para valores inferiores a 5 segundos – limiar considerado clinicamente relevante por se associar a menor risco de perda da deambulação em curto prazo., Negativo e dificuldades: Acesso ainda limitado.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticoesteróides, Positivo: O benefício dos corticoesteróides é inegável e já vem sendo demonstrado em diversos estudos clínicos. Reforço entretanto que o benefício da terapia gênica se soma ao do corticóide já que os pacientes nos estudos clínicos e tratados estavam já com regime de corticóide basal., Negativo: Aumento de risco de osteoporose, ganho de peso, alterações comportamentais.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vai ajudar crianças a terem qualidade de vida diante dessa doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Urgente!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é essencial para a saúde e qualidade de vida de muitas crianças com Distrofia Muscular de Duchenne, por isso é urgente a Inclusão do Elevidys no SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Apesar de pessoalmente não ter tido a oportunidade de acompanhar um paciente que tenha feito uso do Delandistrogeno Moxeparvoeque, tenho acesso aos estudos realizados, assim como colegas profissionais que estão acompanhando esses pacientes e trazem um resultado excelente com melhora nas escalas de avaliação, e mudança significativa na história natural da doença.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Como fisioterapeuta, acompanhei casos de pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne, que recebiam apenas a corticoterapia e outros medicamentos para controle dos diversos impactos causados por esta importante alteração genética. (cardíacos por exemplo), Positivo: Sem dúvida as medicações que são associadas a história natural da doença, sendo implementadas à medida que ocorre o avanço do quadro clínico são imprescindíveis para melhora da qualidade de vida do paciente., Negativo: Essas medicações no entanto, não atuam na causa da doença, que é a falha na codificação da proteína Distrofina, que resulta na progressiva degeneração do tecido muscular.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, todos meninos com DMD precisam deste medicamento	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: corticoides, Positivo: diminuição de perda muscular, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vidas precisam ser salvas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo medicamento que possa levar esperança e/ou alívio deve ser distribuído pelo SUS, principalmente os de alto custo. Mesmo que não resolva o problema, mas qualquer melhora é significativa para quem precisa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Temos que garantir o futuro de nossas crianças, e o Elevidys e a esperança para crianças com Duchenne ter um futuro saudável.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: O único medicamento é o Elevidys, ao qual não temos acesso devido ao alto custo, Positivo e facilidades: Esperasse uma melhora na qualidade de vida e longividade, Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Doença rara, sem cura, com potencial gravíssimo para óbito. PRECISA DE MAIS? NAO. NAO PRECISA. ESSA INCORPORAÇÃO É PARA ONTEM. BORA GOVERNOOO!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou a favor do tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne via SUS para pessoas carentes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ao longo de mais de 30 anos atuando na assistência pude acompanhar inúmeros pacientes com distrofia muscular de Duchenne e testemunhar a perda de suas capacidades motoras, autonomia e potencialidades. Até o momento, os únicos tratamentos disponibilizados pelo SUS para esta população são o tratamento multidisciplinar (incluindo a reabilitação), de corticoterapia e medicamentos para acompanhamento que melhorem as capacidades cardíaca, pulmonar e da saúde óssea com o intuito de retardar a progressão da doença, mas não que atue na CAUSA da doença. O delandistrogene moxeparovec é a primeira terapia gênica que visa reduzir a progressão da doença e melhorar a função muscular destes pacientes., Os impactos desta doença são enormes e a ausência de tratamento pode gerar perda de qualidade de vida, de produtividade e diminuição de renda familiar.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Corticosteróides, Elevidys, escala motora North Star Ambulatory Assessment (NSAA), Medida de Função Motora para Doenças Neuromusculares (MFM), Performance of the Upper Limb Scale 2.0 (PUL), teste de caminhada de 6 minutos (TC6M), teste de corrida 10 metros (TC10M), tempo de levantar do solo, tempo de subida de 4 degraus, Positivo e facilidades: Percebi melhora na performance dos testes cronometrados após o uso do delandistrogene moxeparovec, e apesar de não ter ocorrido mudança na pontuação final da escala NSAA após 3 meses do uso da droga (tempo curto de acompanhamento), os familiares relataram perceber a criança mais ativa nas AVDs, Negativo e dificuldades: Não observei resultados negativos. As duas crianças que acompanhei não apresentaram efeitos adversos à droga e ambas estão, até o momento, respondendo favoravelmente à medicação	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticosteróides, atendimentos multidisciplinares de fisioterapia, terapia ocupacional, psicologia, fonoaudiologia, assistência social, nutricionista, enfermagem, equipe médica formada por pneumologista, geneticista e ortopedista, Positivo: Apesar do envolvimento e comprometimento da família com a reabilitação, uso de órteses, regularidade dos alongamentos, o curso da evolução da doença é implacável levando estes paciente ao óbito por complicações pulmonares e cardíacas. Até o presente momento, nenhuma medicação foi capaz de modificar o curso e a evolução desta doença, Negativo: Até o momento o corticosteróide era a única droga que promovia certo retardamento das perdas motoras, no entanto, seu uso prolongado ocasiona aumento de peso, risco de fraturas por conta de osteoporose, alterações glicêmicas, hipertensão além de quadros de irritabilidade e depressão	4ª - Conforme citado acima, pude acompanhar dois casos que fizeram uso da medicação delandistrogene moxeparovec com melhora na performance dos testes cronometrados. Apesar do pouco tempo de acompanhamento até a presente data, e de não ter ocorrido mudança na pontuação final da escala NSAA, os familiares relataram perceber as crianças estão mais ativas. Em nenhum dos casos ocorreu efeito colateral pós medicação.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sabemos que essa terapia gênica não significa a cura para a DMD, contudo é uma grande oportunidade para que meninos nessa condição tenham uma chance de qualidade de vida. Não se trata de sobrevida, mas sim de uma vida digna, capaz e feliz, sem tantas limitações, dores, privações e medo... medo do futuro, medo da morte. É sobre ter perspectiva de vida. É sobre futuro.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Apenas com terapias multidisciplinares (fisioterapia e terapia ocupacional)., Positivo: Ainda não foi possível perceber resultados., Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por enquanto temos uma única forma de manter a esperança de salvar a vida das crianças com DMD, que possamos alcançar!!! Existe um medicamento, o Elevidys, que essas crianças tenham acesso a ele, mesmo que seja de alto custo, por que a vida é só uma! SOU TOTALMENTE A FAVOR DA INFUSÃO.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Com a infusão do Elevidys no meu filho pudemos perceber mais agilidade nos reflexos motores e melhores índices metabólicos em comparação de antes da infusão., Negativo e dificuldades: Valor elevado e só é possível conseguir com ajuda do governo.	3ª - Não	4ª - Nesse momento não.	5ª - Nesse momento não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ajudar vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças raras tem direito a vida !, Esse tratamento deveria ser um direito garantido !, Nossas crianças estão lutando contra o tempo , tempo esse que não temos , Elevidys já !!!,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de uma necessidade não atendida para uma doença rara, de efeitos devastadores, para o paciente, a família, com grande comprometimento do sistema de saúde. A possibilidade de acesso pela via judicial de uma parcela das famílias que tem condições socioeconômicas causa inequidade não desejável.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Acompanho o desenvolvimento de novas intervenções para DMD, dentre elas as pesquisas com delandistrogeno moxeparvoeque. Tenho experiência com os cuidados gerais de suporte para a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) e com atalureno em pesquisa clínica. Como professora associada da UFRJ, contribui na construção de um serviço de assistência para crianças e adolescentes com doenças neuromusculares na UFRJ, montamos projetos de pesquisa, temos um banco de dados, acompanhei durante mais de 30 anos evolução e progressão destes pacientes. A jornada dos meninos com DMD é longa e difícil para eles com reflexos negativos para seus familiares. Ao perder a capacidade de andar tendem a abandonar escola por dificuldade de acesso, deixando de se capacitar para atividades laborativas. Em sequencia a este marco negativo, o da perda da marcha, outros ocorrem em sucessão., , Positivo e facilidades: O delandistrogeno moxeparvoeque, terapia gênica, que induz a produção de microdistrofina pelas células musculares transfectadas, atende a uma lacuna de cuidado aos pacientes com distrofia muscular de Duchenne. Os cuidados gerais estabelecidos, incluindo a corticoterapia, garantem o suporte ao paciente, mas não atuam na causa básica da DMD, que é a falta desta proteína. É a presença de distrofina que permite a célula muscular manter-se íntegra com os repetidos ciclos de contração e relaxamento. A degeneração de células musculares é parcialmente equilibrada pela processo de regeneração, mas na persistência da degeneração, desencadeia-se uma cascata de outros eventos, sendo um deles o processo inflamatório, parcialmente abordado pela corticoterapia. A terapia gênica se propõe em uma única aplicação manter a integridade da fibra muscular transfectada, reduzindo a magnitude da degeneração, diminuindo seu gatilho através da produção da microdistrofina. O estudo clínico de fase 3 do delandistrogeno moxeparvoeque trouxe resultado positivo sobre um desfecho importante, a redução do tempo de levantar do solo. Este desfecho se relaciona a outros desfechos de progressão da DMD, quais sejam: perda da marcha, progressão de limitação ventilatória e possivelmente posterior limitação de expectativa de vida., , Negativo e dificuldades: É preciso cuidado ao se referir a dificuldades ou resultados quando os motivos podem estar na doença e não nos resultados de pesquisa clínica de uma intervenção. A DMD é uma doença crônica, progressiva, mas de curso não linear e de duração de múltiplos anos. Além disto, a sua fisiopatogenia também é complexa, com uma causa básica, mutação no gene da distrofina que impede a produção da proteína distrofina, mas também com cascata de eventos subsequentes. Portanto a doença em si é de difícil abordagem em	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Conforme mencionei, tenho experiência com os cuidados gerais de suporte para a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) e com atalureno em pesquisa clínica., Positivo: Os cuidados gerais auxiliam no suporte. O atalureno atua na produção da distrofina, mas somente em casos de mutação de ponto que determina código de parada prematuro (mutação nonsense). Nos casos dos pacientes que continuam em acompanhamento no nosso centro, com medicação custeada pela indústria no pós estudo, verificamos que a adesão aos cuidados gerais em conjunto com uso de medicamento com alvo na produção da distrofina, lentifica a progressão da doença, adiando mais o momento de perda da marcha, adiando a perda de função motora de membros superiores, adiando a queda da capacidade vital forçada, adiando necessidade de equipamentos (cadeira de rodas, ventilação não invasiva)., Negativo: Para os que não tem acesso aos cuidados gerais a progressão é muito devastadora. Para os que tem indicação pela mutação sem sentido ao atalureno e não tiveram a oportunidade de acesso a pesquisa a progressão é mais rápida para perda de marcha, depois para perda de função de membros superiores a seguir para necessidade de uso de ventilação não invasiva, e tem portanto, expectativa de vida reduzida.	4ª - A trajetória da DMD, seus marcos negativos, relacionados aos efeitos na função motora de membros inferiores, membros superiores e musculatura axial/respiratória, tem sido objeto de estudo. Neste sentido as provas cronometradas tiveram importância, por serem instrumentos de baixo custo, de fácil emprego, e que guardam fundamental relação com a progressão. Seguem duas referências importantes deste aspecto: Mazzone ES, Coratti G, Sormani MP, Messina S, Pane M, D', Amico A, Colia G, Fanelli L, Berardinelli A, Gardani A, Lanzillotta V, D', Ambrosio P, Petillo R, Cavallaro F, Frosini S, Bello L, Bonfiglio S, De Sanctis R, Rolle E, Forcina N, Magri F, Vita G, Palermo C, Donati MA, Procopio E, Arnoldi MT, Baranello G, Mongini T, Pini A, Battini R, Pegoraro E, Torrente Y, Previtali SC, Bruno C, Politano L, Comi GP, D', Angelo MG, Bertini E, Mercuri E. Timed Rise from Floor as a Predictor of Disease Progression in Duchenne Muscular Dystrophy: An Observational Study. PLoS One. 2016 Mar 16, 11(3):e0151445. doi: 10.1371/journal.pone.0151445. PMID: 26982196, PMCID: PMC4794120. McDonald CM, Signorovitch J, Mercuri E, Niks EH, Wong B, Fillbrunn M, Sajeev G, Yim E, Dieye I, Miller D, Ward SJ, Goemans N, Investigators from the PRO-DMD-01 Study, Collaborative Trajectory Analysis Project (cTAP). Functional trajectories before and after loss of ambulation	5ª - Não.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
		pesquisa clínica. Nem sempre o período de duração da pesquisa é capaz de apresentar magnitudes de desfecho, sendo importante um acompanhamento dos resultados dos períodos de extensão das mesmas. Neste sentido, temos tido oportunidade de acompanhar a confirmação dos resultados promissores iniciais com o passar do tempo, expressos nos desfechos inicialmente inseridos no desenho do estudo de fase 3. Adicionalmente, o acompanhamento dos meninos que compuseram as primeiras fases da pesquisa com delandistrogeno abeparvoveque com ressonância magnética do músculo, mostra a estabilidade deste tecido ao longo de 5 anos até o presente momento.,		in Duchenne muscular dystrophy and implications for clinical trials. PLoS One. 2024 Jun 3, 19(6):e0304099. doi: 10.1371/journal.pone.0304099. PMID: 38829874, PMCID: PMC11146704.	
Interessado no tema 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Nossos meninos não tem acesso muitas vezes ao tratamento que necessita, pela dificuldade de profissionais capacitados e medicamentos que demoram a vir para o Brasil que seria uma contribuição para melhor qualidade de vida para nossos meninos.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Apenas com o Deflazacort. , Positivo: Muito pouco, pois a doença continua avançando. , Negativo: Aumento de peso em excesso.	4ª - Não	5ª - A vida de 1 pessoa deveria estar acima de qualquer valor independente de sua condição, pois muitas vezes não temos acesso a essas medicações devido ao custo.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou totalmente a favor da incorporação do medicamento no Sus. Já temos comprovações suficiente aqui mesmo no Brasil que o medicamento é eficaz para nossas crianças. Precisamos Urgentemente da ampliação do medicamento para crianças a cima de 7 anos.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Meu filho tem Distrofia muscular e hoje faz uso de 4 medicamentos para se manter. Corticoides é mais 3 medicamentos para o coração. , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trabalhamos com este perfil de pacientes e a medicação tem melhorado a qualidade de vida deles.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Direito a saúde é constitucional à todos. O SUS é um sistema constitucional e deve acompanhar a evolução e as tecnologias que proporcionam sua eficácia. O medicamento em questão, deve ser fornecido se assim cabe como solução para a DMD, seja parcial ou total. Os responsáveis pelas crianças devem ser livres em escolher a aplicação ou não, se responsabilizando por tal decisão. Bem como todo aparato e kit necessário para a melhor qualidade de vida do paciente com Duchenne (ou qualquer doença rara) deve ser fornecido pelo SUS, como princípio básico. Anvisa fez sua parte, diante de pressão e movimentação popular, mas ela deve fazer sua parte sempre. A diretriz do SUS para distrofia muscular de duchenne necessita urgente de atualização. SUS FAÇA SUA PARTE. A Conitec deve fazer sua parte e manter-se ágil quanto aos estudos mundiais, confiamos nos profissionais que ocupam essa obrigação, infelizmente só estamos onde estamos nesse momento devido a movimentação pública de pacientes, PESSOAS VUNERÁVEIS LUTANDO PARA TEREM VEZ. Existem outros medicamentos de menor valor no mercado, como Givinostat e o Vamorolone, que o SUS ainda não se movimentou e sem previsão para isso. Pelo princípio da ordem, não cabe aos cidadãos lutarem por suas necessidades básicas de saúde, mas cabe aos órgãos governamentais competentes disponibilizar soluções atualizadas para a saúde pública, evitando sofrimento e mortes. Tudo que envolve e é direcionado ao ser humano, sempre será prioridade.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Medicamentos NÃO exclusivos da doença de uso diário e contínuo - deflazacort, carvedilol, espironolactona, maleato de enalapril, coenzima q10, carbonato de cálcio, vitamina D3. Usou 2x ácido zoledrônico. , Positivo: Não podemos citar pontos positivos, pois o uso dos medicamentos iniciou-se cedo., Negativo: Progressão da doença permanece visível mesmo com medicações, bem como os efeitos colaterais. Após 2 anos de consumo de deflazacort, manifestou-se efeitos colaterais como: inchaço e início de osteoporose, exigindo necessidade de uso de ácido zoledrônico para controle. Situação a qual o SUS não fornece diretriz, nem densitometria óssea para essa idade e nem o medicamento para controle, devendo ser realizado de forma particular.	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como profissional da saúde e amiga de mãe que tem filho com a doença, me sensibilizo com a importância da aprovação de recursos que possa viabilizar uma tratamento, que proporcione de fato esperança de vida e qualidade para esses pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tive o diagnóstico do meu filho Manoel em meados de abril de 2025. Estamos realizando os exames pra ver a compatibilidade com o Elevidys. Caso apto acessar o medicamento sem Ação Judicial será primordial pois ele já tem 7 anos e 5 meses!!!,	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacorte , Positivo: Está participando de atividades físicas nas terapias de forma mais ativa, Negativo: Iniciou o uso em 28/05/2025 e já ganhou 2,5 kg	4ª - Tivemos acesso a imagens de meninos que já tomaram o Elevidys como Enrico de Varginha MG e Arthur Sales de Taubaté. É realmente promissores os resultados que visualizamos como correr rampas sem cair e subir escadas com mais autonomia.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu neto precisa do Givinostat pra ter uma vida com saúde	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças sem condições financeiras precisam da medicação pra viver e o mais rápido possível!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Elevidys é capaz de mudar o curso dessa doença tão cruel, com ele as crianças terão a chance de uma vida digna	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Elevidys é uma esperança para crianças com distrofia muscular.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Há casos de resultados positivos.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento deveria sim ser incorporado ao SUS, pois se trata de uma minoria que depende do medicamento para que se tenha uma vida digna. O Brasil é Maravilhoso e não se pode deixar que sonhos se acabem por falta do direito ao medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O elevidys é capaz de mudar o curso da doença, trazendo esperança para as famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento paralisa o avanço da doença e tem tido resultados positivos por aqueles que fizeram a infusão..A doença é muito agressiva, leva nossos filhos a cadeira de rodas e vai degenerando todos os músculos até levá-los a morte. Precisamos urgente dessa incorporação. Nossos filhos merecem viver.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacort (corticóide), Positivo: Retardou um pouco os sintomas da doença., Negativo: Aumento de peso, problemas nos olhos (catarata), aumento da pressão arterial.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Para a doença , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu , tenho um filho com Duchene essa doença é muito devastadora e o elevydis vai melhorar muito o quadro de avanço da doença , Perdi um irmão pra Duchene e ele sofreu muito não quero ver o meu filho passar o mesmo é muito sofrimento.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide predsolona , Positivo: Retarda um pouco a doença , Negativo: Irritabilidade.	4ª - No momento não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Doença devastadora, sem nenhuma outra terapia capaz de retardar a progressão da doença até o momento. Apesar do alto custo, dados dos estudos sugerem a eficácia e estamos vendo melhora na função motora dos pacientes tratados que estamos acompanhando.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: A aplicação do medicamentos transcorreu sem intercorrências ou eventos adversos durante a infusão do medicmamento., Negativo e dificuldades: Tive experiência com dois pacientes. Um deles apresentou elevação assintomática das transaminases que voltaram ao normal com ajuste do corticosteróide.	3ª - Não	4ª - Anexo	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muito importante para as crianças terem uma oportunidade e condição de vida melhor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Delandistrogeno moxeparvoveque contribui positivamente nos para pacientes com distrofia de duchenne. É muito importante a sua inclusão no SUS, pois muitas crianças serão beneficiadas.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Com o deflazacorte 15mg, Positivo: O paciente esta mais disposto para realizar as terapias. , Negativo: Ganho de peso 2,5kg em menos de 1 mês.	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A minha opinião é que todas as pessoas tem que ter direito a saúde e o sistema SUS tem que dar suporte aos medicamentos necessário para vida	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: desflazacorte, enalapril, carvedilol, cálcio e forxiga, Positivo: Eles ajudam na manutenção dos órgãos como coração e pulmão, e o deflazacorte ajuda no retardo da doença. Mas não é tão eficiente quanto o givinostat, e o elevidys, Negativo: Não vejo resultados negativo, uso o medicamento desde os 6 anos de idade, hoje estou com 23 anos.	4ª - "Venho por meio desta manifestar minha preocupação com a condução da Consulta Pública nº 48 sobre o medicamento Elevidys (delandistrogene moxeparvovec). Muitos cidadãos, familiares e cuidadores de pessoas com Distrofia Muscular de Duchenne participaram da consulta acreditando estar contribuindo, mas não foram orientados de forma clara sobre a obrigatoriedade de justificar sua manifestação., , Como resultado, a maioria das contribuições foi recusada, o que enfraquece a participação social em um tema de vida ou morte para muitas famílias. Solicitamos; • Revisão dos critérios de admissibilidade da consulta, • Ampliação do prazo de envio, • Divulgação clara dos passos corretos para participar"	5ª - Sabemos alto custo da medicação, porem uma vida não tem dinheiro que pague, por isso é necessário que o governo pense junto ao congresso e parcerias para liberação desses medicamentos

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos tem o direito a vida, e esse medicamento como elevides e givinostat, pode dar mais qualidade de vida e desacelerar a doença	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacote, mas estamos a espera de liberdade por via judicial do givinostat., Positivo e facilidades: Retarda a evolução da doença., Negativo e dificuldades: Poucos efeitos colaterais, em comparação o que a doença causa.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Carvedilol,foxiga, cálcio, coenzima e inalapril., Positivo: Todos na são pra cura, porém ajuda na preservação dos órgãos, Negativo: Não vejo questões negativas	4ª - "Venho por meio desta manifestar minha preocupação com a condução da Consulta Pública nº 48 sobre o medicamento Elevidys (delandistrogene moxeparvovec). Muitos cidadãos, familiares e cuidadores de pessoas com Distrofia Muscular de Duchenne participaram da consulta acreditando estar contribuindo, mas não foram orientados de forma clara sobre a obrigatoriedade de justificar sua manifestação., , Como resultado, a maioria das contribuições foi recusada, o que enfraquece a participação social em um tema de vida ou morte para muitas famílias. Solicitamos; • Revisão dos critérios de admissibilidade da consulta, • Ampliação do prazo de envio, • Divulgação clara dos passos corretos para participar"	5ª - Mas tem que levar em conta que são vidas de criança que necessitam dessa medicação, que é a única alternativa no momento.
Profissional de saúde 23/06/2025	1ª - Não tenho opinião formada, Enviei em anexo uma contribuição dos especialistas coordenadores e assistentes de ambulatório que é referência regional para o diagnóstico e tratamento de paciente e famílias com Distrofia Muscular de Duchenne. Ambulatório de Genética Neuromuscular e Genética Neuromuscular Pediátrica do HCPA. Neste contribuição fica claro que existem algumas duvidas em especial sobre a eficácia do medicamento, contudo o principal argumento que dever ter sido discutido para esta incorporação seria orçamentário, o qual não foi detalhado nem na reunião plenária, nem no relatório. Caso houvesse recursos que permitissem a inclusão da tecnologia em subpopulação em que os resultados foram mais claramente positivos, grupo de 4-5 anos de idade, por exemplo, e em sendo possível o monitoramento da eficácia nos centros de referência para posterior extensão ou mesmo cancelamento da inclusão (conforme os resultados) eu seria favorável a incorporação.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogene moxeparvoveque, Positivo e facilidades: O período de experiência ainda foi muito curto, 3 meses. , Negativo e dificuldades: As dificuldade são logísticas, sendo importante que caso a tecnologia venha a ser incorporada que seja infundida em centros de referência.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Sim	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Existe uma melhora notável no meu filho desde a infusão, desde o humor até a autonomia em movimentos que não existiam e agora ele já consegue fazer sozinho. Peço que todas as crianças, dentro dos parâmetros tenham o mesmo benefício que o meu filho está tendo, a qualidade de vida para os meninos com duchenne é essencial e a paralisação da inflamação dos músculos é ganho de vida.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Melhora na mobilidade, melhora no equilíbrio, quedas zerada, ganho de força muscular, melhora na corrida, melhora ao subir escadas, melhora ao se levantar do chão, ganho de autonomia em movimentos como se levantar da cama e subir na cama ou sofá, melhora no humor, melhora na socialização com crianças e adultos, ganho de força para pular e até fazer polichinelos., Negativo e dificuldades: Não teve resultados negativos nem perdas.	3ª - Não	4ª - Sim	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Elevidys é uma terapia gênica desenvolvida pelo laboratório Sarepta e aprovado pela FDA em fase 3. Apesar da aprovação rápida, o laboratório ainda faz acompanhamento dos pacientes que fizeram parte do estudo e envia relatórios regularmente para o órgão analisar. Os resultados são muito positivos e promissores e os efeitos colaterais mínimos, tanto que não houve nenhum falecimento durante o estudo. O objetivo desta terapia é fazer com que o corpo dos meninos com Duchenne produza uma pequena quantidade de proteína distrofina, o que já é uma grande conquista, permitindo que eles consigam andar, realizar atividades do cotidiano e melhora o sistema cardíaco por mais tempo. Não é a cura, mas dará anos de vida com qualidade para os pacientes com Duchenne. Mas nem a Diabetes tem cura, mas o tratamento com insulina proporciona uma vida, relativamente, estável aos pacientes. Desta forma, todos (respeitando as restrições da bula) devem ter a chance de receber o remédio. O Elevidys é um medicamento caro e o valor pode ser questionado, mas acredito que a União tenha força para isso e para negociar com o laboratório também. Ressalta-se que os remédios para AME incorporados pelo SUS também não são a cura para a doença e o valor também é muito alto e, portanto, os pacientes com Duchenne possuem uma chance e devem ser respeitados.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se houver a incorporação, não será mais necessário processos judiciais	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considerando que os portadores desta enfermidade podem ser de qualquer classe social, todo medicamento deve ser oferecido pelo sistema de saúde para que o direito à saúde seja garantido a todos. , ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não.	5ª - não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças condenadas a morte com data pré determinada, merecem viver!!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser uma doença rara, de caráter progressivo e degenerativo e devido à inexistência de um tratamento mais eficaz e amplo, essa medicação viria como uma forma de estabilização da doença, evitando os inúmeros casos de hospitalização e até mesmo óbitos precoces, melhorando a qualidade de vida geral dos afetados pela doença, além de impactar positivamente na redução dos custos com os diversos cuidados de longo prazo necessários à vida da pessoa com Distrofia Muscular de Duchenne.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacorte, Succinato de Metoprolol, Espironolactona, Magnen B6, Entresto, Forxiga, Metformina, Fluoxetina, Colecalciferol, Alendronato de sódio., Positivo: Pequena redução na velocidade da progressão da doença., Negativo: Efeitos colaterais, tais como obesidade, catarata, osteoporose, alterações de glicemia, síndrome de cushing.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Elevidys deve ser incorporado porque é o único que atinge a falta de distrofia. Nenhum medicamento faz isso. Além de melhorar em 90%o paciente. É a única chance para o doente.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide , Positivo: Nenhum, Negativo: Engorda, da raiva no paciente, efeito protelatório não atinge a doença	4ª - Veja as crianças que tomaram é fácil achar nas redes sociais.	5ª - O zolgesma quando acordado saiu pela metade do preço. Comprar em vários e parcelar, pode baratear o custo
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que tem comprovadamente retardado o efeito devastador da DMD	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É a medicação que hoje demonstra oferecer maior qualidade de vida aos pacientes. Todas as crianças, independente da classe social, merecem ter acesso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que deve ser incorporado no SUS, tendo em vista ser um dos medicamentos da atualidade que tem melhores resultados para tratamento da Distrofia muscular de duchenne	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo brasileiro tem o direito de ter sua demanda acolhida no SUS, uma vez que o financiamento da saúde vem das contribuições diretas e indiretas que cada uma faz. O tratamento é inovador, e oferece esperança de maior qualidade de vida para o portador da doença, assim como para toda a família. Desse modo, considerando o número relevante de crianças que tem sido afetadas por esta síndrome, encontrar tratamento de qualidade e acessível é um direito, e mais que essencial.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ajudar no tratamento de crianças que precisam da medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para facilitar o acesso a medicações que podem trazer benefícios para esses pacientes e diminuir os processos de judicialização do mesmo	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Experiência com atendimentos fisioterapêuticos de pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne, Positivo: Aumento da expectativa de vida, melhora na qualidade de vida, melhora na resistência a fadiga, Negativo: Falta de serviços especializados no atendimento e acompanhamento em Distrofia Muscular de Duchenne	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Elevidys deve ser incorporado ao SUS por representar uma terapia gênica inovadora que aborda diretamente a causa da DMD, promovendo estabilização ou melhora funcional significativa, com resultados promissores em ensaios clínicos e relatos de famílias, além disso, a decisão do STF, sob Gilmar Mendes, reconheceu a urgência e legitimidade do fornecimento pelo SUS mesmo a maiores de 7 anos, abrindo espaço para negociação sobre preço e acesso, reforçando que negar a incorporação seria negar o direito à saúde e à dignidade das crianças com DMD.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: São medicamentos para desacelar a DMD, mas sem cura., Positivo: São medicamentos para desacelar a DMD, mas sem cura., Negativo: O efeito colateral está relacionado a alta ingestão de medicamentos no organismo do paciente, atacando órgãos vitais.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, o Elevidys é um medicamento extremamente eficiente, contudo de elevado custo para qualquer cidadão brasileiro, diante disso como resguardado pela Constituição Federal nos direitos do cidadão e deveres do Estado, tenho como formada a opinião da obrigação do Estado em fornecer esse tratamento de alto custo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Dar a oportunidade de ter melhor prognóstico da doença. Uma chance de melhor qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, medicamento de custo elevado o que dificulta seu acesso a quem mais necessita.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Elevidys (nome genérico: delandistrogene moxeparvec-rokl) é considerado atualmente um dos medicamentos mais inovadores e indicados para o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) por alguns motivos principais, relacionados à sua ação genética, mecanismo de funcionamento e ao perfil da doença., , ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, a incorporação desse medicamento no SUS é muito importante para melhorar a sobrevivência das crianças com distrofia muscular.	2ª - Sim, como paciente, Qual: sim, conheço crianças que tomaram o elevidys, e apresentaram grande melhora., Positivo e facilidades: crianças que tomaram o elevidys conseguiram grande melhora na mobilidade conseguindo andar melhor, levantar com mais facilidade, subir escada e etc., Negativo e dificuldades: o elevidys não apresentou nenhum resultado negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É urgente e precisamos da aprovação desse medicamento para salvar a vida de nossas crianças. O tempo é breve e não podemos demorar, cada dia é extremamente importante, pois quanto mais o tempo passa e as crianças ficam sem o medicamento, aumentam comorbidades, mais debilitadas ficam e a recuperação é mais difícil, o tempo e o remédio definem a qualidade de vida, nossas crianças precisam desse medicamento.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Nosso pequeno foi diagnostico recentemente, ainda estamos nos procedimentos paliativos, com tratamentos convencionais como corticosteroides., Positivo e facilidades: o *Elevidys* para crianças de 4 a 7 anos com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD). Os sintomas geralmente surgem entre 3 e 6 anos, e a função muscular começa a deteriorar-se significativamente após os 6 anos. O Elevidys é a primeira terapia gênica aprovada no Brasil para DMD. Ele introduz um gene que codifica a microdistrofina, substituindo parcialmente a proteína distrofina ausente ou defeituosa, essencial para a integridade muscular. Estudos clínicos indicam que o Elevidys pode estabilizar e até melhorar a função muscular em crianças deambuladoras de 4 a 7 anos com mutações confirmadas no gene DMD., Negativo e dificuldades: Os efeitos colaterais, são ínfimos diante do que o Elevidys representa, uma esperança real para pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne, uma doença grave e progressiva.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: corticosteroides, Positivo: Quase nem um resultado bom., Negativo: Muitos efeitos colaterais	4ª - A Anvisa já aprovou o cadastro por entender que é um medicamento seguro e eficaz, precisamos dessa incorporação no SUS para mudar o futuro das nossas crianças com DMD.	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Não tive experiência direta, mas tenho relatos de quem os filhos já usaram delandistrogeno moxeparoveque e foi extremamente positivo!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não tive experiência direta, mas tenho relatos de quem os filhos já usaram delandistrogeno moxeparoveque e foi extremamente positivo!	5ª - Não tive experiência direta, mas tenho relatos de quem os filhos já usaram delandistrogeno moxeparoveque e foi extremamente positivo!
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se existe um medicamento que pode trazer o bem estar físico e emocional a um paciente e à sua família, por que priva-los ? Dinheiro ninguém tem para um custo tão alto. Por que condenar uma criança e sua família? Investir na saúde é compromisso público.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne., Positivo e facilidades: Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne., Negativo e dificuldades: Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne., Positivo: Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne., Negativo: Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne.	4ª - Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne.	5ª - Em anexo relacionamos a contribuição de especialista da rede do SUS sobre o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, esse remedio é fundamental para as crianças que tem distrofia muscular	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: a criança teve grande melhora com o elevidys, Positivo e facilidades: melhora significativa nos movimentos conseguindo levantar com mais facilidade, caminhar melhor, subir escada e etc, Negativo e dificuldades: nenhum resultado negativo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação é fundamental para a melhora de crianças com distrofia muscular/	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: A criança reagiu muito bem com o medicamento Elevidys, tendo uma melhora evidente. A mobilidade melhorou acentuadamente, conseguindo levantar com mais facilidade e subir escadas., Negativo e dificuldades: Não foi encontrado resultado negativo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Segundo o princípio do SUS da integralidade e equidade, todo e qualquer medicamento deve ser ofertado aos cidadãos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Mesmo não sendo a cura, mas o medicamento minimizando a progressão natural da doença, deve sim ser utilizado. Pois se trata de qualidade de vida para uma doença progressiva e fatal. Hoje podemos dizer que existe uma luz no fim do tunel para as Distrofia muscular de Duchenne	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoides, medicamentos para cardio proteção, equipamentos ventilatórios, , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por se tratar de uma doença potencialmente progressiva e com evolução que culmina inicialmente para perde de marcha com consequente fraqueza muscular global até a falência respiratória, acredito que a medição será uma grande esperança de aumento se sobrevida e qualidade de vida para essas crianças.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Aprovação do medicamento Elevidys para que as crianças tenham mais qualidade de vida e atraso na doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Convivo com uma criança que fez uso do medicamento e acho importantissimo a incorporação pelo SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Conheci uma criança que tomou o Elevidys, Positivo e facilidades: Melhora na mobilidade como subir escada, levantar do chão e outros movimentos, Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muito importante a incorporação do Elevidys ao SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Convivo com uma criança que fez uso do Elevidys, Positivo e facilidades: Melhora na mobilidade, como subir escada, correr, se levantar o chão, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Precisamos com urgência avançar com os trâmites da incorporação da terapia gênica ao SUS, pois tempo é o que os meninos com Distrofia Muscular de Duchenne, não tem. Tempo é Músculo e Músculo é Vida!!! , Quanto mais próximo aos 4 anos (idade de inicio da bula para recebimento da terapia gênica), menos músculos comprometidos, mais VIDA aos meninos!!!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Diariamente meninos com essa condição tomam corticoides. Ele não paralisa a progressão da doença como o Elevidys. E, possui muitos efeitos colaterais., Positivo: Paralisação da Progressão da Doença. Força Muscular., Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Que irá diminuir os processos para aquisição do medicamento. Pode aumentar a expectativa de vida dos pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Atalureno, Positivo: Manter a parte cardíaca e respiratória., Negativo: Só quando a entrega atrasa.	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento, apesar de não ser de meu uso, pode contribuir para saúde de muitas pessoas portadoras da doença de Duchene. O SUS materializa o intento constitucional de garantir plenamente saúde para todos e, devido a isso, privar essas pessoas de acessarem um medicamento como o Elevidys significa privá-las de um direito fundamental.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A distrofia muscular de Duchenne é uma condição rara, progressiva e devastadora, que compromete severamente a qualidade e a expectativa de vida dos pacientes, em sua maioria crianças. A incorporação de novos medicamentos eficazes representa uma chance concreta de desacelerar o avanço da doença, preservar funções motoras por mais tempo e oferecer dignidade ao paciente e à sua família. A inclusão deste medicamento no SUS é uma medida urgente de justiça e equidade no acesso à saúde, que pode mudar o curso da vida de muitas pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho muita esperança que nossos meninos com Duchenne tenha a chance de mudar suas vidas com, Esse medicamento inovador que traz esperança para o, Meu filho e outros meninos portadores dessa doença devastadora.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ataluren, Positivo: Meu filho tem a qualidade de vida um pouco melhor, pois o medicamento tarda os sintomas da doença., Negativo: Não tenho	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação no SUS vem a serviço de um suporte essencial para pacientes que em sua grande maioria não tem condições financeiras de arcar com os custos exorbitantes desses medicamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ira diminnwouir o processo para aquisição do medicamento e pode alimentar respectiva de vida dos meninos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo o tratamento possível e viávelm, desde com respaldo científico, para crianças é válido, especialmente em se tratando de medicação cara e por isso a maioria da população não tem acesso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Teste	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Teste	5ª - Teste
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho q o medicamento deveria ser incorporado ao SUS, considerando a melhoria da qualidade de vida e evolução dos pacientes em tratamento da Distrofia Muscular de Duchene	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Consulta pública acerca do fornecimento do Elevidys pelo SUS. Esse é, na atualidade, o melhor remédio pra retardar os efeitos da Distrofia Muscular de Duchene e tem custo elevadíssimo. Se puderem acessar e se manifestar a favor do fornecimento pelo SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - A medicação comprovada cientificamente como o melhor remédio na atualizadade contribui também para qualidade de vida do paciente e mais segurança e alivio emocional e psicológica dos cuidadores.	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Distrofia Muscular de Duchenne não é tão rara assim. Como especialista em um centro de doenças neuromusculares de um grande centro urbano há mais de 20 anos tem sido cada vez mais frequente receber esses pacientes ainda em deambulação e em fase 2 ou 3 da doença. Conseguir interromper e retardar significativamente trará um impacto significativo na qualidade de vida dessas famílias. Uma pessoa com DMD representa uma sobrecarga ao SUS e INSS em tratamentos, insuficiência cardíaca e muitos outros. Para cada pessoa com DMD, pelo menos 1 adulto cuidador daquela família também precisa abandonar suas atividades laborais, elevando o custo social ao dobro., Existem evidências robustas de eficácia pelos ensaios clínicos pivotais garantindo essa estabilização no médio prazo (até 4 anos de acompanhamento pós tratamento). Consideremos, pois, os efeitos em mais longo prazo: impacto sobre a função cognitiva, impacto sobre a função cardíaca e respiratória e prevenção de insuficiência cardíaca. Esses desfechos ainda não puderam ser avaliados pela medicina baseada em evidências, mas com base nos estudos de vida real com corticosteróides e na experiência pessoal relatada com Atalureno, muito provavelmente o Delandistrogênio moxeparvoveque deverá seguir caminha parecido. Com base na plausibilidade biológica e nas experiências terapêuticas anteriores (tratamento sistêmico, precoce e com entrega do gene de microdistrofia para todas as células)., Uma vez que o SUS disponibiliza terapia gênica, modificadora de doença, com custo igualmente elevado, para outras condições (neuromusculares ou não), o que explica impedir o acesso dessa população a uma medicação igualmente eficaz, com grandes impactos de curto, médio e longo prazo? A cidadania dos meninos com DMD também está em questão aqui., Por fim, há o potencial ganho de qualidade de vida desses meninos/cidadãos que jamais deve ser desconsiderada.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogênio moxeparvoveque, Positivo e facilidades: "Tive a oportunidade de acompanhar, compartilhar informações, dados clínicos com colegas que utilizaram o medicamento nos ensaios clínicos de fase 2 e 3 em uma curta estada de observação., O uso de Delandistrogênio moxeparvoveque foi capaz de interromper significativamente a evolução clínica da Distrofia Muscular de Duchenne em meninos que foram tratados naquele centro. , A estabilização da doença, observada nas escalas de avaliação apresentadas nos ensaios clínicos pivotais (North Star, tempo de levantar do solo e tempo de caminhada de 10 metros - vide publicação doi: 10.1038/s41591-024-03304-z), foi apresentada nas palavras de três meninos e suas famílias. Na linguagem comum das famílias esses dados frios viraram: ""percebi que consigo andar melhor"" , ""quase não caio mais!"" (muito sorridente), ""consigo levantar sem ajuda"" , ""ir para escola ficou muito melhor"" (nos últimos meses, grifo meu). O alívio emocional das famílias, desfecho que NÃO pode ser aferido por nenhuma escala, se traduziu por frases como: ""tenho esperanças que se torne independente"" ou ""me preocupo muito menos sore a vida dele quando eu e meu marido estivermos falecidos""., Quando perguntei sobre a manutenção dos remédios e das terapias, se isso os incomodava, foram unânimes (pacientes e famílias) em reconhecer a necessidade da manutenção e o quanto isso já pertencia aos seus cotidianos., Enfim: essa experiência me permitiu observar que a EFICÁCIA dos ensaios clínicos se traduziu em EFETIVIDADE na vida desses pacientes e suas famílias., A facilidade de uma administração em dose única intravenosa e a ocorrência de efeitos colaterais comuns às terapias cênicas com vetores virais me deixaram mais confiantes com esse medicamento.", Negativo e dificuldades: Não obtive resultado negativo com essa experiência.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Medicamentos: Atalureno, prednisona, prednisolona, deflazacort, enalapril, vitamina D, cálcio, Procedimentos: fisioterapia respiratória, fisioterapia motora, fonoaudiologia, CPAP/BiPAP, , Positivo: Atalureno: ao ser comercializado no Brasil, tive oportunidade de fazer uso desse medicamento em dois pacientes com mutações pontuais. O uso foi judicializado, pois enquanto, esperavam perderam a deambulação e os estudos pivotais demonstraram eficácia apenas em meninos que anda andavam. Baseado em dados concretos, propus às famílias que usássemos a medicação, mas estabelecemos dois parâmetros objetivos de eficácia para aqueles dois meninos, foram eles: fração de ejeção (FE) do ecocardiograma e o a capacidade vital forçada (CVC) na espirometria. Hoje, mais de 4 anos se passaram, esses pacientes NÃO possuem os encurtamentos tendíneos que observo em todos os meninos com mais de 15 anos de idade, seu desempenho acadêmico pode ser observado em notas mais elevadas e sua FE e CVC melhoraram a níveis pré tratamento. Ou seja, em minha opinião, o atalureno (assim como o cortisteróides nos anos 1990) têm outros efeitos que não devem estar restritos à capacidade de deambulação, uma vez que a DMD é uma condição sistêmica., Corticosteróides: utilizo desde os anos 1990 quando se preconizava a utilização apenas para pacientes deambulantes. Desde sempre, nos últimos 25 anos, a necessidade de medidas ventilatórias invasivas têm sido uma grande excessão. Por volta da 3ª década de vida os pacientes que receberam os corticosteróides requerem apenas medidas não invasivas de ventilação, especialmente suporte ventilatória noturno., Terapias de reabilitação como um todo: infelizmente, a depender do local de moradia de cada paciente, o SUS garante um menor ou maior suporte de reabilitação. Todos que recebem precocemente atendimento de fisioterapia motora e respiratória apresentam melhor evolução em longo prazo (menos encurtamento, melhor ventilação noturna e diurna)., , Negativo: Atalureno - nenhum até o momento, Corticosteróides - aqueles inerentes à terapia prolongada: ganho ponderal, obesidade, hipertensão e, em apenas um único paciente, infecção por tuberculose.,	4ª - Creio que todas as evidências científicas de melhora clínica, desde os estudos de prova de eficácia em coaias passando pelos ensaios clínicos EMBARK já apresentados e discutidos por esta comissão. Sua eficácia fica comprovada através das escalas funcionais, objetivas, mensuráveis e comparáveis com grupos controles e controles históricos. Minha intenção foi trazer minha pequena experiência como testemunha de que o Delandistrogênio moxeparvoveque é eficiente E eficaz, como pude quando observar os impactos diretos na vida e na qualidade de vida) daqueles que foram tratados., Quanto a segurança, os dados publicados não parecem preocupantes, especialmente quando consideramos o grande benefício terapêutico. Mas sempre cumpre destacar que, com base na experiência em outras terapias gênicas, eventos adversos mais raros (ocorrência maior que 1/1000) podem não ser detectados em estudos de fase 3 e os estudos de vida real, certamente, trarão mais informações a respeito da segurança.,	5ª - Sim. , Gostaria de lembrar de um estudo brasileiro, brasileiro, multicêntrico e de vida real (doi: 10.1016/j.jval.2024.10.89 8) que se encontra em preparação do manuscrito, mas que foi apresentado no evento europeu de 2024 da ISPOR (International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research) evidenciou que os custos sociais (societal costs) individuais mensais de um paciente com DMD mais que duplica quando deixa de deambular: de R\$ 50,646 R\$ 114,853. ,

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu filho tem Distrofia Muscular de Duchenne, completa 9anos essa semana e tenho esperança que mude o histórico da doença, aumentando significativamente sua qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Apenas corticoide , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Elevidys® oferece a possibilidade de tratamento causativo, com melhora clínica sustentada, segurança aceitável e benefício funcional duradouro. Sua incorporação no SUS visa atender uma necessidade médica urgente e não suprida de crianças com uma condição devastadora e progressiva.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticoide e Atalureno, Positivo: Redução da velocidade de progressão da doença. , Negativo: Não atua na causa, são medicamentos de uso contínuo com efeitos adversos potencialmente graves (no caso do corticoide).	4ª - Não enviar documentos pessoais.	5ª - Não enviar documentos pessoais.
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conforme material disponibilizado nesta consulta pública, acredito que o tratamento seja um caminho para que as crianças com essa doença tenham mais qualidade de vida. Desse modo, deve ser disponibilizado como uma medida de saúde pública.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse tratamento é um avanço que vai melhorar a saúde e qualidade de vida dos pacientes para uma doença que limita drasticamente seus portadores. O Governo precisa atualizar e ampliar os tratamentos para oferecer o que há de mais atualizado na medicina para sua população, esse é o objetivo do SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticóides (Deflazacorte, Prednisolona), Positivo: Os corticóides são até o momento a única opção medicamentosa com eficácia comprovada, que dispomos pelo SUS. Eles levam a redução do quadro inflamatório no músculo e consequente melhora parcial da função muscular. , Negativo: Retardo de crescimento, fragilidade óssea, hipertricose, fásclies Cushingóide, aumento nos níveis glicêmicos e lipídicos.	4ª - Os estudos com a medicação Deladistrogene Moxeparvovec avaliaram os efeitos do acréscimo desta medicação ao tratamento padrão disponível até o momento (corticóide). Todos os pacientes que participaram dos estudos estavam em uso de corticóide. Baseado nestes estudos não se pode afirmar que os corticóide têm eficácia superior ao Deladistrogene Moxeparvovec porque esta comparação não foi feita, pelo contrário, as medicações agiram juntas. Não estamos a procura de um medicamento que seja mais eficaz que os corticóides visando substituí-los. As duas medicações são para uso concomitante., Tendo em vista que a Distrofia de Duchenne é uma patologia rara, deveríamos olhar com outros olhos a análise estatística dos estudo envolvendo essa patologia. O universo de pacientes disponível para participar dos estudos é pequeno, as faixas de idade são restritas, e há exclusão de não deambulantes. Considerando os principais locais onde são realizados os estudos (principalmente os Estados Unidos), a dificuldade de incluir pacientes em um estudo fica ainda maior porque vários pacientes estão fazendo parte de outros ensaios clínicos avaliando outras medicações (Givinostate, Ataluren, Golodirsén, Eteplirsén, Vitolarsén, Casimerem) e não poderiam ser incluídos em um estudo com o Deladistrogene Moxeparvovec. Nunca teremos um estudo com 1000 pacientes avaliando um novo	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				tratamento para Distrofia de Duchenne. Um estudo com 100 pacientes já é bastante difícil de se conseguir. Daí a dificuldade de se atingir diferença estatisticamente significativa nos estudos. Dada essa limitação, deveríamos olhar com outros olhos os resultados que demonstraram alguma tendência de melhora, mesmo não atingindo a significância estatística., Deve-se dar ênfase na aplicação mais precoce possível (a partir dos 4 anos) porque os melhores resultados atingidos nos estudos foram na faixa de idade entre 4 e 5 anos.	
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Estamos falando sobre vida e o direito a ela.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu sou totalmente a favor da incorporação do Delandistrogeno moxeparvoveque no SUS. Falo como pai e apoiador da causa., Sei que a medicação é direcionada para uma faixa etária, mas é necessária, e é um tratamento que pode fazer toda a diferença na qualidade de vida, na autonomia e na esperança dessas crianças e de suas famílias., , Sabemos que a DMD é uma condição rara e devastadora, e negar acesso a um tratamento por questões burocráticas ou econômicas é tirar dessas famílias a chance de lutar com dignidade. O SUS precisa ser sinônimo de cuidado e justiça — e isso começa com decisões como essa., , Por isso, peço que considerem com sensibilidade e responsabilidade a incorporação desse medicamento. Porque cada dia conta. Cada passo importa. E cada vida tem valor.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: NENHUM MEDICAMENTO DIRECIONADO COMO O DA PESQUISA, APENAS PALEATIVOS COMO DEFLAZACORTE, CÁLCIO, VITAMINAS, CAPTOPRIL E ATENSINA, Positivo: A MELHORA É A DESACELERAÇÃO DO DIAGNÓSTICO, MAS NÃO SEI PRECISAR QUANTO., Negativo: MUDANÇA DE HUMOR, DESCONFORTOS ESTOMACAIS, MANCHAS NA PELE, ALTURA PREJUDICADA E OUTROS	4ª - NÃO TENHO AMPARO TÉCNICO PARA CONTRIBUIR	5ª - NÃO TENHO AMPARO TÉCNICO PARA CONTRIBUIR

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento é uma esperança para todas as crianças portadoras de Duchenne, mas seu alto custo impossibilita muitas famílias de terem acesso, por isso a importância de ser incorporada ao SUS e, com urgência. Essas crianças não podem esperar!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é muito caro para a maior parte da realidade das famílias brasileiras, garantir o acesso ao medicamento pelo sus garante qualidade de vida dos pacientes que tem DMD, por se tratar de doença rara não vislumbro sobrecarregamento do sistema, a verba destinada para a saúde tem como absorver essa demanda.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não	5ª - não
Paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda e qualquer intervenção em favor de tratamentos se faz necessária	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Medicções paleativas, Positivo: Não sei declarar, Negativo: Não sei declarar	4ª - Não tenho conhecimento técnico	5ª - Não tenho conhecimento técnico

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para ajudar no tratamento dessas crianças	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Estamos falando a respeito de uma doença crônica, progressiva, que começa com a perda da marcha em torno de 10 a 11 anos, que o leva a depender da cadeira de rodas em plena fase escolar e que a grande maioria para de ir a escola pela logística ser muito dificultosa. , Já temos linhas de cuidados de suporte estabelecidos, mas ainda não temos a necessidade atendida ao que diz respeito ao alvo de produção de distrofina/microdistrofina, A jornada é difícil para os pacientes e suas famílias, depois da perda da marcha os outros marcos negativos que ocorrem é que guardam relação com o momento da perda da marcha, se instala a escoliose, o comprometimento cardíaco e respiratório com a necessidade empilhamento de ar, uso de Bipap e maquina da tosse. Se pensarmos em termos financeiros manter esses meninos internados várias vezes ao ano, sairá muito mais caro do que a dose inicial da medicação. , A solicitação da incorporação está totalmente alinhada com os critérios de elegibilidade do estudo fase 3.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Ataluren, Positivo: Os pacientes com Distrofia muscular de Duchenne em uso da medicação Ataluren não perderam a capacidade de andar, mesmo atingindo a idade de 14 anos. Os pacientes que já eram dependentes de cadeira de rodas mantiveram suas funções de membros superiores. , Negativo: O resultado negativo foi relacionado a não ter associado aos cuidados acesso a reabilitação de qualidade.	4ª - Não	5ª - Na minha opinião esses meninos/adolescentes/adultos sendo internados várias vezes ao ano, custará mais aos cofres públicos do que a medicação.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Defendemos a revisão da decisão da CONITEC sobre a não incorporação do Elevidys ao SUS, pois acreditamos que essa terapia gênica representa uma opção inovadora e promissora para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne, uma doença grave e progressiva. Embora os corticoides prolonguem o tempo de marcha, o Elevidys atua diretamente na causa da doença e deve ser visto como uma terapia complementar, não concorrente. Apresentamos evidências de estudos que mostram benefícios funcionais e segurança a longo prazo, inclusive com estabilização da progressão da doença. Reconhecemos os riscos de eventos adversos, mas acreditamos que, com acompanhamento médico rigoroso, esses riscos podem ser controlados. Também esclarecemos pontos questionados pela CONITEC, como os critérios de inclusão dos estudos, a importância de medidas funcionais como o tempo para levantar do chão e a ausência momentânea de dados cardíacos e respiratórios, os quais estão sendo avaliados em estudos em andamento. Por isso, reforçamos nosso apoio à incorporação do Elevidys no SUS, com monitoramento e aplicação em centros de referência por profissionais habilitados e com experiência em doenças neuromusculares.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Medicação dose única, com capacidade de estabilização de doença progressiva. , Negativo e dificuldades: Necessidade de acompanhamento com equipe multidisciplinar de referência em Doenças Neuromusculares. Necessidade de seguimento clínico-laboratorial pós tratamento.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticoterapia, Positivo: Benefício em retardar progressão da doença. , Negativo: Efeitos colaterais, como ganho de peso, osteoporose, infecções de repetição.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com estudos fora do Brasil, foi constatado que o medicamento ajuda as crianças a terem melhor qualidade de vida e por isso devem ser contempladas com o medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com base em estudos internacionais o uso da medicação é de extrema importância para a qualidade de vida e longevidade das crianças afetadas pela doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Doença rara precisa dessa única chance	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vamos salvar vidas, as crianças merecem ter a possibilidade de viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com a medicação incorporada ao SUS o Ministerio da Saude pode negociar com a empresa que produz o remedio um melhor custo do mesmo pois comprando em grande quantidade pode ser conseguido o medicamento com um custo menor	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo paciente precisa de tratamento e a incorporação faz toda a diferença na vida do paciente e seus familiares	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não	5ª - não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento auxilia a pessoa com a distrofia em questão a produzir microdistrofina, essencial para proteger as células musculares e prevenir uma possível degeneração. Assim, será permitido que crianças com Duchenne possam voltar a realizar atividades que proporcionem a elas prazer e dignidade. Todo cidadão brasileiro tem a oportunidade de viver, por qual motivo negar esse direito a uma criança? Imploramos ao Poder Público que implemente o medicamento no SUS, referência em saúde pública em todo mundo, para que todos tenham as mesmas oportunidades e qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser implementado, pois é a oportunidade de tratamento eficaz aos meninos com Duchenne. É uma possibilidade a mais de viver com qualidade. Acesso à aqueles que não tem condições financeiras.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide Deflazacorte , Positivo: Diminuição na inflamação e uma desaceleração da doença nos músculos do meu filho, Negativo: Problemas de vista, aumento da pressão arterial	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças não merecem sofrer existindo tratamento e cura.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Sou da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevids seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevids : Uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É VIDA E VIDA É MUSCULO."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - "Sou da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevids seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevids : Uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É VIDA E VIDA É MUSCULO."	5ª - "Sou da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevids seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevids : Uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É VIDA E VIDA É MUSCULO."

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A doença não é tão rara e a maioria das pessoas brasileiras nao tem condições financeiras de comprá-lo ou de contratar um advogado para brigar pelo medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao.	5ª - Nao.
Paciente 25/06/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Naosi	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho relevante e de extrema importância, nível urgente da incorporação do medicamento Elevidys, pois as famílias e essas crianças que passam por isso, já tem que lidar com a dor de ver seus filhos sem expectativas de vida e ainda entrar na justiça para requerer um medicamento de alto custo, sendo que vivem em uma corrida contra o tempo. Por favor liberem o remédio.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças duchenne Merecem viver e ser salvas pelo elevidys	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Sim, corticóides que infelizmente n tem eficácia para estagnar a doença , Positivo: Nenhuma, Negativo: Não estagnar a doença	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É DE SUMA IMPORTANCIA A INCORPORAÇÃO	2ª - Não	3ª - Não	4ª - NÃO	5ª - NÃO
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento tem forte possibilidade de retardar a progressão ou mesmo impedir o desenvolvimento da síndrome de duchenne.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considerada uma doença rara, creio que a sociedade tem o dever de se engajar e apoiar esse pleito.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não tenho perfil técnico para cooperar com o tema	5ª - Não tenho perfil técnico para cooperar com o tema
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento utilizado em todos os países desenvolvidos. Não é possível existir uma medicamento e nossas crianças nao serem tratadas.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: Melhora nas crianças que usaram , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho um filho com a doença rara e necessita desse medicamento e que a faixa etaria de idade aumente para que eles possam tomar e possa ser acessível sou baixa renda não tenho condições financeiras se for encorporada vai ajudar muitas criança. Esse remédio é a uma esperança para ter uma vida melhor	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O remédio representa um alto custo para famílias que não possuem condições de comprá-lo, afetando e prejudicando significativamente crianças com a doença de Duchenne. Com a incorporação do medicamento que auxilia no tratamento no SUS, vidas poderão ser salvas e preservadas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Devido a dificuldade em adquirir o medicamento, que é absolutamente necessário para qualidade de vida e desenvolvimento das crianças, é imprescindível e urgente que elas tenham acesso ao medicamento em condições imediatas de uso e disponibilizados pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não possuo qualificação técnica para colaborar com esse tema.	5ª - não possuo qualificação técnica para colaborar com esse tema.
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticosteroides, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medida q o tratamento for sendo aplicado, tende ao custo baixar e proteger a vida dos portadores e principalmente das crianças q são afetadas tão previamente.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide, Positivo: Estamos controlando como possível a manutenção da musculatura com medicamento e fisioterapias., Negativo: Não identifiquei mas é de conhecimento via pesquisas de internet q mesmo com as vantagens todo corticoide pode ter algum resultado negativo.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento garante a vida e futuro de crianças em todo o mundo. Nao podemos privar elas de viverem uma vida plena	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, São crianças que merecem viver. Os pais vivem com medo do futuro das crianças. Esse medicamento será capaz de dar uma vida digna ao paciente e sua família. O valor é extremamente alto e isso é uma sentença de morte. Todos temos direito a vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que tem pessoas que necessitam do suporte e medicamentos pelo sistema sus, e a saúde, bem estar e integridade física são um direito fundamental do indivíduo a qual devem ser sempre priorizados e buscar sempre melhorias aos necessitados do tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A proposta do medicamento para ser implantada do Sus é de grande importância para as crianças e suas Famílias. O Elevidys precisa ser incluído para que os meninos possam ter uma esperança de vida.Sou Mãe de uma criança com Duchenne e quero Vida pra meu filho .Me ajudem a salvar meu filho .Uma dose pode mudar tudo.Fico Grata.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, incorporação dessa terapia pelo SUS é fundamental para garantir equidade no acesso ao tratamento, especialmente para famílias que não têm condições de custear esse tipo de medicamento. Apoiar essa proposta é defender o direito à vida digna, ao cuidado especializado e ao avanço da medicina no sistema público.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pode salvar crianças em sofrimento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Garantir que as crianças com duchene tenha o acesso a medicação e com isso melhorar sua qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Única oportunidade que essas crianças possuem para viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É nitda a melhora nas crinças que usaram Elevidys. Os resultado vem demonstrando a melhora na força, resistencia das crianças. Tem se vido que é um medicamento seguro e eficaz apesar do alto custo.Deve ser incorporado ao SUS sem sombra de duvida.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Teria que expandir essa idade,pra todas as idades.comobacontece fora do país	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Prednisolona , Positivo: GANHOU mais força , Negativo: Por enquanto nenhum	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como tio de um bebê diagnosticado com Distrofia Muscular de Duchenne, venho manifestar meu apoio à incorporação do medicamento Delandistrogeno Moxeparvoveque no SUS. Esse medicamento é um avanço importante para o tratamento de crianças com DMD, e sua inclusão no SUS representaria uma grande diferença na vida de muitas famílias., A DMD é uma doença rara e progressiva, e o custo elevado dos tratamentos atuais torna o acesso extremamente difícil, para não dizer impossível, para a maioria das famílias. Como parente, sei o quanto é desafiador garantir o tratamento adequado, e a incorporação desse medicamento seria uma oportunidade de melhorar a qualidade de vida das crianças afetadas., Acredito que o SUS tem o papel de proporcionar igualdade no acesso a tratamentos inovadores e eficazes, garantindo que todas as crianças, independentemente de sua condição financeira, tenham a chance de receber o melhor cuidado possível., , Agradeço pela atenção e espero que considerem essa necessidade urgente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitas pessoas necessitam desses medicamentos e não conseguem adquiri-los	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O SUS existe para salvar vidas e esse medicamento salva vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nenhum	5ª - Nenhum
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, medicamento de valor extremamente alto e que salva vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacorte, Positivo: Menos fadiga muscular, Negativo: Ganho de peso, aumento de pêlos, aumento da glicemia e atraso no crescimento	4ª - Não cabe comparação do Elevidys com os corticóides porque as medicações foram utilizadas em associação nos estudos.	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado porque, embora existam medicamentos como o Ataluren, ele é prescrito apenas para um número limitado de pacientes com DMD e a distrofina que ele fornece ao corpo é uma dose muito pequena. Por outro lado, o medicamento Delandistrogeno moxeparvoveque já foi testado em mais de 900 pacientes em todo o mundo pelo laboratório Sarepta, onde foi verificado que o corpo dos pacientes começa a gerar distrofina por conta própria, o que impacta significativamente a saúde, a expectativa de vida e as funções vitais do paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ataluren/Traslarna, Positivo: Melhoria nas habilidades físicas e cognitivas, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Em Anexo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Em Anexo	5ª - Em Anexo
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa terapia genica é a única esperança de uma sobrevida digna para pacientes que são acometidos com a Duchenne e não veem outra saída.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Golodirsén , Positivo: Vinha apresentando uma estabilidade da doença que é progressiva e degenerativa., Negativo: Dificuldade ao acesso do medicamento	4ª - Temos casos aqui concretos, tanto fora como no nosso país, mostrando o quanto a aplicação da medicação pode contribuir para uma melhora no quadro clínico do paciente. Foram feitos anos de estudo e avaliação pelo FDA que revelam que apesar de não ser a cura a medicação tem tido uma desaceleração do progresso da doença e assim renovando a vida não só do paciente como também de sua família que são atingidas emocionalmente pela desesperança e descaso com essa causa.	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Prednisona e deflazacorte, Positivo: Melhora funcional e de sobrevida, Negativo: Efeitos adversos da corticoterapia: diabetes, osteoporose, catarata, dentre outros	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu filho precisa ter qualidade de vida, e sabemos que este medicamento vai dar uma melhor qualidade de vida e de vivencia, ele so tem 5 anos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É indispensável a incorporação deste medicamento no SUS. Não há nenhum tratamento que traga o imenso benefício que o Elevidys possa trazer, a melhora das escalas de se levantar e outras é impressionante.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Deflazacorte e protetores cardiológicos (carvedilol, enalapril, entresto, espironolactona)., Positivo: Retardo da progressão e melhora grande da fração de ejeção do coração., Negativo: Só em relação ao corticoide, que me deixou baixo.	4ª - Em doenças raras, o número de participantes das pesquisas clínicas é extremamente baixo, o que prejudica a qualidade da evidência científica. Desta forma, não há como esperar uma qualidade da evidência alta e muito menos usar desse pretexto para negar a incorporação do Elevidys no SUS.	5ª - O parecer fala sobre um grande impacto nas contas públicas, mas há como diminuir bastante este impacto. Em primeiro lugar, se houver uma compra em larga escala, já contabilizando todos os potenciais pacientes que farão o uso, o preço do remédio cairá drasticamente. Em segundo lugar, vários países ao comprarem medicamentos caros, usam do mecanismo de compartilhamento de riscos com a fabricante, em que, caso o remédio não se mostre eficaz, uma parte do prejuízo é arcada pela fabricante.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, ACREDITO MUITO NO SUS, SENDO QUE O VALOR DESSE TRATAMENTO FOGE DA REALIDADE DO POVO BRASILEIRO, POR ISSO ACREDITO MUITO QUE O SUS PODE DAR TODO SUPORTE PARA AS CRIANÇAS QUE SOFREM DESSA DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENE QUE TEM UM CUSTO ELEVADÍSSIMO! ACREDITO NA CAPACIDADE DOS PROFISSIONAIS DO SUS E DA CLASSE DA SAÚDE PARA UM TRATAMENTO MAIS VOLTADO A POPULAÇÃO ALCANÇADO RESULTADOS DE MUITOS ÊXITO!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A doença não tem cura e o medicamento pode trazer melhor qualidade de vida aos pacientes, uma vez que retarda seus efeitos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O fornecimento do medicamento pelo SUS deve ser incluído diante da sua relevância no tratamento da distrofia muscular de Duchenne, já que possui potencial real de modificar o curso natural da doença. Trata-se de uma medida necessária e urgente, considerando o caráter degenerativo da patologia e a limitação de terapias disponíveis na rede pública. A incorporação de medicamentos como o Elevidys é imperativa não apenas por razões humanitárias, mas também como expressão de justiça social e concretização do princípio da equidade, permitindo que crianças diagnosticadas com DMD tenham acesso ao que há de mais eficaz na medicina atual, independentemente de sua condição financeira. É, acima de tudo, garantir o mínimo de dignidade e qualidade de vida a essas crianças e às suas famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença cruel, o medicamento Elevidys veio para dar uma chance aos portadores te terem uma vida mais digna. Os efeitos do medicamento em questão são maravilhosos, crianças já dosadas com o ELEVIDYS mostram um ganho de força significativa, com isso os benefícios são absurdamente maravilhosos. É emocionante acompanhar tamanha evolução.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: As incríveis melhoras musculares nas crianças que já fizeram o uso do ELEVIDYS., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo, a não ser o de acesso ao medicamento a outros pacientes portadores de Duchene	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoíde, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, importante acesso a medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pelo alto custo do Delandistrogeno moxeparvoveque, seria fundamental o Acordo Compartilhado de Risco (ACR)	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Prednisona, Positivo: A prednisona pode ajudar a diminuir a velocidade de perda de força muscular, retardando a necessidade de cadeira de rodas e melhorando a função respiratória e cardíaca em alguns casos, Negativo: A prednisona pode causar diversos efeitos colaterais, como ganho de peso, alterações de humor, aumento da pressão arterial, problemas ósseos (osteoporose), atraso no crescimento em crianças e maior suscetibilidade a infecções. A prednisona não cura a distrofia muscular, apenas retarda a progressão da doença e alivia seus sintomas, além de retardar crescimento,	4ª - N.A.	5ª - Nossa sugestão é que a Plataforma informatizada de Acordo de Risco Compartilhado deva ser integrada ao RADAR, Registro de Pacientes da Doença de Distrofia Musculares, que foi desenvolvido em Parceria do LSI-TEC com a Alinça Distrofia Brasil, Isso ajudar também a elegibilidade, bem como acompanhamento dos Pacientes de Delandistrogeno moxeparvoveque que já estão Resgistrados no RADAR.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ele deve ser incorporado no SUS sim ! Plea qualidade de vida desses meninos , elevidys salva vidas, elevidys é a cura desses meninos	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys , Positivo e facilidades: Conheci um menino chamado Arthur,depois q ele recebeu o elevidys ele corre ,brinca ,está cada vez melhor , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide , Positivo: Poucos , Negativo: O melhor seria o elevidys pra dar uma boa vida pro meninos DMD	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação ELEVIDYS ANVISA deve ser incluída no SUS para tratamento da doença, devido a resposta positivas no tratamento diminuindo a perda muscular e estabilizando a doença. Dando possibilidade da criança sobreviver livre de cadeira de rodas e tornando-se adulto. Com esta medicação se evitando parada cardíaca, pois coração é músculo. Com músculo enfraquecido a criança não sobrevive.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado ao SUS, imediatamente, pois, por ser um valor altíssimo, muitos não terão a chance de obtê-lo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - A ciência é a descoberta para as doenças e essa descoberta precisa estar disponível no SUS.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como pai de uma criança com DMD Duchene, esse é o unico medicamento existente no momento para bloquear o avanço da doença.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacort, Positivo: Medicamento Paliativo, Negativo: Muito Inchaço, irritabilidade	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, experiência com o medicamento Eledyvis (acetato de givinostat) demonstrou resultados positivos no manejo da distrofia muscular de Duchenne, especialmente em pacientes na fase inicial da doença. Observou-se melhora na função motora e na força muscular, bem como desaceleração na progressão clínica, o que impacta diretamente na qualidade de vida dos pacientes e no prolongamento da mobilidade., , O medicamento também apresenta boa tolerabilidade, com efeitos adversos geralmente manejáveis em ambiente ambulatorial. Outro aspecto positivo é a via de administração oral, o que facilita a adesão ao tratamento, especialmente em pacientes pediátricos e em contextos domiciliares., , Do ponto de vista da gestão em saúde, a incorporação de uma terapia modificadora da doença como o Eledyvis representa um potencial redução de custos a longo prazo, ao postergar complicações que exigiriam intervenções mais complexas, como internações frequentes, suporte ventilatório precoce e cuidados contínuos de alta intensidade., , Além disso, o uso do Eledyvis pode ser complementar a terapias já disponíveis no SUS, como os corticosteroides, ampliando as possibilidades terapêuticas e permitindo uma abordagem mais individualizada conforme o perfil clínico do paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, " Sou amiga da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevidys seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevidys: uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É MUSCULO E MUSCULO È VIDA""	2ª - Não	3ª - Não	4ª - " Sou amiga da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevidys seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevidys: uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É MUSCULO E MUSCULO È VIDA""	5ª - " Sou amiga da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevidys seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevidys: uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É MUSCULO E MUSCULO È VIDA""
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, TODO CIDADÃO TEM DIREITO À SAÚDE.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essas crianças merecem poder crescer de forma saudável sem tanto sofrimento, e isso não tem preço vale totalmente o esforço	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Primeira terapia gênica para DMD uma esperança para várias famílias! Os meninos merecem essa chance de qualidade de vida !	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em acho que deve ser incorporado ao SUS com algumas premissas e condições atreladas, tais como:,- É necessário definir claramente os critérios de elegibilidade (faixa etária, tipo de mutação, peso, fase da doença) e os critérios de exclusão., - É necessário definir um plano de acompanhamento pré e pós-infusão, colocando de forma clara se haverá um perfil viral realizado antes da infusão (especialmente para os vírus da família Herpesviridae - CMV, EBV, hepes simples, varicela-zoster -, hepatite B e C, HIV e HTVL-1), e recomendações de medidas de prevenção contra aerossóis e gotículas em função do risco advindo com a imunossupressão. , - É necessário que a família se comprometa e esteja ciente da necessidade de realizar o acompanhamento pré e pós-infusão presencialmente no hospital onde o medicamento foi prescrito., - É necessário que o paciente faça o acompanhamento a longo prazo em centro de doença neuromuscular a fim de que os resultados de eficácia motora, cardíaca e respiratória possam ser acompanhados a longo prazo., - É necessário que todos os pacientes com DMD tenham um tratamento de reabilitação disponível e adequado via SUS, com órteses, aparelhos de suporte respiratório e dispositivos de estimulação motora e respiratória., - É necessário que o governo tenha um programa educacional para atenção primária voltado à detecção dos sinais precoces, a fim de promover o diagnóstico precoce dos pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: A minha experiência profissional com a medicação em avaliação (delandistrogene moxeparvoveque) não é prática, apenas teórica levando em consideração os estudos científicos publicados e reuniões entre profissionais médicos envolvidos no cuidado dos pacientes com atrofia muscular espinhal (AME). , Segue abaixo a lista das pesquisas est�, s:, * Study 101 (NCT03375164) , * Study 102 (NCT03769116), * ENDEAVOR (Study 103, NCT04626674), * Study 104 (NCT06241950) , * HORIZON (Study 105, NCT06597656) , * EMBARK (Study 301, NCT05096221)., * ENVOL (Study 302, NCT06128564), * ENVISION (Study 303, NCT05881408), * EXPEDITION (Study 305, NCT05967351), Positivo e facilidades: Os resultados positivos evidenciados pelos estudos basearam-se no aumento de pontos na escala motora NSAA (Study 101 e Endeavor 103), que se traduzem numa melhora da força e aspectos motores relacionados à doença. Apenas 3 dos estudos acima descritos tiveram publicações de seus resultados: 1) NCT03375164 (Study 101), 2) NCT04626674 (ENDEAVOR 103) e 3) NCT05096221 (EMBARK 301), Negativo e dificuldades: Nos estudos publicados, poucos foram os eventos adversos graves associados ao medicamento. Contudo, as experiências de vida real em outros países revelaram dois óbitos em pacientes mais velhos (fora da faixa etária dos estudos) em fase não deambulatória.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Em nosso centro de doenças neuromusculares na infância e adolescência, temos experiência em tratar 5 pacientes com Ataluren e 1 paciente com Eteplirsem., Positivo: Ambos são medicamentos seguros e sem eventos adversos. Parecem, além da segurança, trazer lentificação da progressão de perda motora, cardíaca e respiratória., Contudo, a doença é progressiva e fatal, com comprometimento sistêmico, e os resultados de eficácia são altamente influenciados por outros fatores, tais como: 1) nível cognitivo e sócio-econômico da família para adesão aos cuidados, 2) possibilidade de realizar a reabilitação (fisioterapia motora, respiratória, fonoaudiologia), a qual é fundamental em qualquer doença neuromuscular, 3) cuidados gerais com a saúde. Não existe até o momento, PCDT para Distrofia Muscular de Duchenne, e nem mesmo um série de itens necessários ao seu cuidado, tais como: 1) diagnóstico genético via SUS, 2) disponibilidade para aparelhos de suporte respiratório, 3) dispobibilidade de reabilitação para todos. Todos esses fatores influenciam negativamente o resultado de qualquer medicamento de ação genética se ausentes., Negativo: Nenhum resultado negativo clínico ou laboratorial relevante.	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu filho tem Distrofia Muscular de Duchenne, 30 anos e sei que ainda não irá usar este remédio, desde o diagnóstico sonhamos e aguardamos um remédio que seja seguro e realmente tenha efeito positivo. Mas como mãe e ativista da causa sei e imagino o que estas famílias , pacientes estão passando com a angustia de existir um remédio mas pelo preço , impossível de uma família comprar , então a única chance está nas mãos do governo e o SUS seria o ideal, pela agilidade e capacidade de manejo do medicamento, acompanhamento do paciente, família.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacort 30 mg, Cancor 10mg, Expironolactona 25, Omega 3, Entresto 200, Forxiga 10 mg, Coenzima q10, Colecalciferol, Melatonina 10mg, Prolia 60ml., Positivo: Remédios usados para tratar os sintomas e evolução da distrofia muscular de duchenne, também tratar alguns problemas que os próprios remédios causam , como o corticóide ., Negativo: Corticóide por exemplo , causa obesidade, inchaço, problemas adversos, mas para outro lado ajuda a não sentir dores e inflamações.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Cystagon, Positivo: Melhora, evolução no quadro de saúde., Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que o medicamento deve ser fornecido pelo SUS, para uso e acesso a todas as classes sociais que NECESSITAM da medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A terapia representa uma esperança real para crianças com DMD, podendo melhorar a força muscular com uma única aplicação, no entanto é preciso atenção aos possíveis efeitos adversos, por isso sou a favor da incorporação, desde que acompanhada de um rigoroso protocolo de monitoramento e centros especializados, garantindo a segurança e efetividade do uso.	2ª - Sim, como paciente, Qual: delandistrogeno moxeparveque (ELEVIDYS), Positivo e facilidades: Algumas famílias relataram a melhora na habilidade de levantar, correr e se mover das crianças que utilizaram a terapia. Por ser dose única (a princípio), facilita o processo e pode poupar pacientes e famílias de terapias repetitivas. , Negativo e dificuldades: Efeitos colaterais, como vômitos, febre e reação imunológica. Por ser uma terapia recente, deve haver um acompanhamento de perto de seus desdobramentos	3ª - Sim, como paciente, Qual: Translarna (Ataluren), Positivo: Melhoras significativas no retardo da progressão da doença, melhora nas funções motoras, pulmonares e cardíacas., Negativo: Este produto não é destinado a todos os pacientes com DMD, apenas aqueles com uma mutação específica non sense.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito se tratar de medicamento revolucionário, uma terapia gênica que CORRIGE o defeito genético e evita a progressão da doença!!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Já vi diversas crianças se beneficiarem deste tratamento!!	5ª - Com o medicamento, a necessidade de intervenções reduz consideravelmente, o que a longo prazo trás uma economia para o SUS.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, ", , Sou amiga da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevidys seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevidys: uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É MUSCULO E MUSCULO É VIDA""	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Na minha opiniao o medicamento em questão deve ser incorporado ao SUS em defesa de toda comunidade Duchenne! Essa doença é horripilante e tira o direito á vida e saúde de toda criança portadora. Lutamos pela vida digna e acesso a saúde de todo brasileiro. A terapia gênica em questão é um avanço gigantesco e tecnologico que permite ao portador uma chance em ter um futuro normal. Além do mais, é uma patologia RARA que merece visibilidade tanto quanto as outras. Foram anos de estudo para chegarmos até aqui, essas crianças merecem viver!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - sim! Os estudos EMBARK publicados em maio de 2025 estão apenas COMPROVANDO a efetividade do tratamento no decorrer do tempo, elevidys é sim uma cura!	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito se tratar de medicamento revolucionário, uma terapia genica que CORRIGE o defeito genético e evita a progressão da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Já vi diversas crianças se beneficiarem deste tratamento	5ª - Com o medicamento, a necessidade de intervenções reduz consideravelmente o que a longo prazo trás uma economia para o SUS
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou pai de uma criança portadora de DMD, ele tem 10 anos. Sofro e choro todos os dias vendo meu filho crescer e perder sua qualidade de vida dia apos dia devido a essa doença horripilante, sabendo que existe hoje no mercado um remédio eficaz de dose unica que veio para salvar essas crianças e que estão fazendo de tudo para que não consigam acesso a esse medicamento. TEMPO É MUSCULO! Essas crianças merecem uma chance! Luto por ele e por todos os demais portadores da doença, que essas crianças consigam viver!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoides! Que são utilizados para ', ', segurar', ', a doença mas causam efeitos colaterais horríveis e ainda assim nao tem o pudor de tratar com eficacia a patologia dos pacientes portadores de DMD, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, a distrofia muscular como toda doença rara e de dificil diagnostico, foram mais de 15 anos buscando um diagnostico, que obtive com um teste genetico, a unica informacao que tenho e que este medicamento pode frear a doença, pois com ele meu organismo conseguiria manter niveis de distrofina e nao causar degeneração das fibras musculares, ja tenho uma certa idade, tenho uma filha para criar necessito continuar andando para suprir as necessidades da minha familia, e que este e ate entao o unico tratamento, que realmente reverteria a situacao	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Escrevo, em lágrimas, pois como pedir que considerem a única chance de ter pelo menos mais 10 anos de vida com meu filho? É a coisa mais importante da minha vida. Estamos falando de vidas transformadas por um diagnóstico, uma sentença de morte lenta e psicologicamente degradante para todos da família. Uma luta contra o tempo. O Elevydis é a única luz no fim do túnel, a esperança de qualidade de vida e afastamento da morte, que fica ali, no percalço. Haja psicoterapia para continuar a vida com ela no encalço. Por favor, nos dê essa chance de viver, viver bem, com mais dignidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: O protocolo que estamos utilizando é o de uso de corticóides diariamente (Deflazacorte), apenas para redução de danos. Para reduzir as chances de osteoporose, usamos o carbonato de cálcio. E já estamos iniciando também a administração dos medicamentos de proteção cardíaca: maleato de enalapril e carvedilol., Positivo: Não vemos grandes alterações., Negativo: Além do custo, os efeitos colaterais próprios de cada medicamento são complicados, em especial a imunossupressão característica do tratamento corticoteróide contínuo. Sem contar que a falta de eficácia mais considerável, mantém a previsibilidade dos demais danos: perda da marcha, problemas de respiração e por fim o óbito.	4ª - Tenho apenas os materiais já subidos e disponíveis em outros depoimentos médicos.	5ª - não tenho.
Empresa 25/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, A FenaSaúde discorda da incorporação de Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque) para tratamento de pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne, considerando o exposto nessa contribuição e no relatório anexado à essa manifestação – que contém o panorama de evidências, um estudo de impacto orçamentário conduzido pela GO Associados e reflexões sobre o impacto da incorporação de Elevidys® na Saúde Suplementar e no SUS., No panorama atual, inexistem evidências suficientes que embasem o uso de Elevidys® na indicação submetida, dada a ausência de significância estatística no desfecho principal avaliado no estudo pivotal. Além disso, é constatado um alto impacto financeiro na adoção da tecnologia em ambos os cenários., Ainda, é importante levar em consideração os dois recentes óbitos por falência hepática aguda geraram o interrompimento de diversos ensaios clínicos devido à preocupação sobre a segurança do tratamento para pacientes com DMD que não deambulam. Apesar de não ser a indicação pleiteada na submissão, desfechos de segurança necessitam de atenção redobrada, visto que a condição que difere entre os perfis de pacientes é a capacidade de deambular. ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Sim. Documento anexo.	5ª - Sim. Documento anexo.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que pode beneficiar o portador da doença como todos que convivem com ele., É uma esperança de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacort, carvedilol, maleato de enalapril, furosemida alendronato de sódio , Positivo: Pelo menos diminuir o progresso da doença ., No SUS tem o deflazacort mais não é liberado para os pacientes com Dmd , Negativo: O corticoide causa osteoporose, catarata	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pois tenho visto resultados muito satisfatórios e eficazes em crianças que acompanho pelas redes sociais, através dos perfis dos pais e cuidadores, além de advogados que contribuem com a causa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O filho de uma amiga é nascido em 2019 e tem uma mutação no gene DMD (o exame detectou uma mutação pontual no exon 40), que altera a matriz de leitura do gene a partir desse ponto culminando na parada prematura da leitura do gene c com isso e levando a ausência da distrofina, a principal proteína responsável pela manutenção da estrutura da fibra muscular, o que causa o quadro da Distrofia muscular de Duchenne (CID G71.0). É a doença neuromuscular mais frequente da infância. Ela tem uma herança autossômica recessiva ligada ao X, sendo as mulheres portadoras da doença mas em geral assintomáticas. Clinicamente, é caracterizada por um quadro de fraqueza muscular rapidamente progressiva que ocorre devido à degeneração dos músculos esqueléticos. A apresentação clínica tem início na infância, e os meninos apresentam um quadro de fraqueza muscular progressiva com idade média de início aos 3 anos. A doença evolui rapidamente e a criança apresenta-se com quedas, dificuldades para levantar do chão e/ou subir escadas até levar a perda da capacidade de andar, escoliose, surgem as complicações devido a comprometimento de musculatura respiratória e cardíaca que são as responsáveis pelo óbito. O ELEVIDYS é a primeira terapia gênica liberada para a DMD, onde uma microdistrofina acoplada a um vetor viral é injetada de forma endovenosa com objetivo de atingir o interior da célula e daí favorecer a produção da distrofina. Os primeiros resultados publicados foi em 2020 na revista JAMA, com 4 pacientes, com média de idade de 4,8 anos, e mostrou que não houve efeitos colaterais sérios. Na biópsia muscular que foi realizada 12 semanas após a infusão foi demonstrada uma expressão importante do “transgene” e pela técnica de Western Blot a média de expressão da distrofina foi de 74%, sem gordura ou fibrose. Os pacientes apresentaram melhora nas escalas funcionais (NSAA) e houve redução da CK, e que foi mantida após 1 ano (Mendel J, 2020).	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: ELEVIDYS, Positivo e facilidades: Melhoria na sociabilidade proporcionada pela mobilidade e fortalecimento dos músculos, evitando quedas., Negativo e dificuldades: Sem observações.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu filho é nascido em 2019 e tem uma mutação no gene DMD (o exame detectou uma mutação pontual no exon 40), que altera a matriz de leitura do gene a partir desse ponto culminando na parada prematura da leitura do gene c com isso e levando a ausência da distrofina, a principal proteína responsável pela manutenção da estrutura da fibra muscular, o que causa o quadro da Distrofia muscular de Duchenne (CID G71.0). É a doença neuromuscular mais frequente da infância. Ela tem uma herança autossômica recessiva ligada ao X, sendo as mulheres portadoras da doença mas em geral assintomáticas. Clinicamente, é caracterizada por um quadro de fraqueza muscular rapidamente progressiva que ocorre devido à degeneração dos músculos esqueléticos. A apresentação clínica tem início na infância, e os meninos apresentam um quadro de fraqueza muscular progressiva com idade média de início aos 3 anos. A doença evolui rapidamente e a criança apresenta-se com quedas, dificuldades para levantar do chão e/ou subir escadas até levar a perda da capacidade de andar, escoliose, surgem as complicações devido a comprometimento de musculatura respiratória e cardíaca que são as responsáveis pelo óbito. O ELEVIDYS é a primeira terapia gênica liberada para a DMD, onde uma microdistrofina acoplada a um vetor viral é injetada de forma endovenosa com objetivo de atingir o interior da célula e daí favorecer a produção da distrofina. Os primeiros resultados publicados foi em 2020 na revista JAMA, com 4 pacientes, com média de idade de 4,8 anos, e mostrou que não houve efeitos colaterais sérios. Na biopsia muscular que foi realizada 12 semanas após a infusão foi demonstrada uma expressão importante do “transgene” e pela técnica de Western Blot a média de expressão da distrofina foi de 74%, sem gordura ou fibrose. Os pacientes apresentaram melhora nas escalas funcionais (NSAA) e houve redução da CK, e que foi mantida após 1 ano (Mendel J, 2020).	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Meu filho é nascido em 2019 e tem uma mutação no gene DMD (o exame detectou uma mutação pontual no exon 40), que altera a matriz de leitura do gene a partir desse ponto culminando na parada prematura da leitura do gene c com isso e levando a ausência da distrofina, a principal proteína responsável pela manutenção da estrutura da fibra muscular, o que causa o quadro da Distrofia muscular de Duchenne (CID G71.0). É a doença neuromuscular mais frequente da infância. Ela tem uma herança autossômica recessiva ligada ao X, sendo as mulheres portadoras da doença mas em geral assintomáticas. Clinicamente, é caracterizada por um quadro de fraqueza muscular rapidamente progressiva que ocorre devido à degeneração dos músculos esqueléticos. A apresentação clínica tem início na infância, e os meninos apresentam um quadro de fraqueza muscular progressiva com idade média de início aos 3 anos. A doença evolui rapidamente e a criança apresenta-se com quedas, dificuldades para levantar do chão e/ou subir escadas até levar a perda da capacidade de andar, escoliose, surgem as complicações devido a comprometimento de musculatura respiratória e cardíaca que são as responsáveis pelo óbito. O ELEVIDYS é a primeira terapia gênica liberada para a DMD, onde uma microdistrofina acoplada a um vetor viral é injetada de forma endovenosa com objetivo de atingir o interior da célula e	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				dai favorecer a produção da distrofina. Os primeiros resultados publicados foi em 2020 na revista JAMA, com 4 pacientes, com média de idade de 4,8 anos, e mostrou que não houve efeitos colaterais sérios. Na biopsia muscular que foi realizada 12 semanas após a infusão foi demonstrada uma expressão importante do “transgene” e pela técnica de Western Blot a média de expressão da distrofina foi de 74%, sem gordura ou fibrose. Os pacientes apresentaram melhora nas escalas funcionais (NSAA) e houve redução da CK, e que foi mantida após 1 ano (Mendel J, 2020).	
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que sendo incorporada ao SUS, teremos a oportunidade de acompanhar mais de perto a ação da medicação e abriremos oportunidades para mais estudos, que é de fundamentamel importância quando pensamos em outras faixa etárias. Sociedade e Governo ganham. É preciso termos uma medicação dessa linha para nossos pacientes. Meninos do extremo do nosso país estão sendo diagnosticados tardiamente, e muitas vezes sem tratamentos corretos. Neste caso esperamos que a medicação consiga atingir à todos.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: CORTICOIDES EM GERAL . ATUALMENTE TIVE UMA BOA EXPERIÊNCIA COM O Vamorolone, Positivo: Após início do tratamento com VAMOROLONE, paciente apresentou estabilidade emocional, e mudanças físicas que outros corticóides causam na aparência dos pacientes. , Negativo: Na minha área de atuação não houve resultados negativos.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento deve ser incorporado ao SUS, pois é o único que paralisa o avanço desta doença cruel que vai degenerando os músculos até levar o paciente a morte. Muitos são os resultados positivos e que foram mostrados em estudos. É urgente essa incorporação.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoide, Positivo: Retardar o avanço da doença, mas não paralisa ., Negativo: Aumento de peso, imunidade baixa e Catarata.	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é a única forma de salvar a vida de uma criança chamada Yago, de 5 anos. Seu custo é altíssimo e ainda não foi disponibilizado pelo SUS. Se ele não for liberado, essa criança vai sofrer com muita dor e limitações, e depois vai falecer, pois seus músculos vão parar. Penso que é dever do Estado fornecer esse remédio e salvar a vida dessa criança.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Tratamento sem ensaios clínicos comparativos com as terapias disponíveis atualmente, como corticosteróides. Há benefício aparente em desfechos laboratoriais, como expressão proteica, e algum sinal de potencial benefício em funcionalidade, porém sem avaliação comparativa com outras terapias, , Não existem dados de segurança em longo prazo do uso desta terapia gênica, , É um produto que ainda depende de estudos adicionais para ficar no mercado, , O CNJ encomendou parecer técnico ao Nats do HSL , que não recomendou a terapia. Os resultados da revisão sistemática realizada apontam para incertezas quanto aos benefícios clínicos adicionais do medicamento em crianças com DMD., ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamentos de alto custo, principalmente para doenças genéticas raras, devem ser incorporados ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 25/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Médicos Associados a SBGM já prescreveram o medicamento em questão.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Delandistrogeno moxeparvoveque, Positivo e facilidades: VIDE RELATÓRIO DETALHADO EM ANEXO, Negativo e dificuldades: VIDE RELATÓRIO DETALHADO EM ANEXO	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: CORTICOIDES, Positivo: VIDE RELATÓRIO DETALHADO EM ANEXO, Negativo: VIDE RELATÓRIO DETALHADO EM ANEXO	4ª - SIM, VIDE RELATÓRIO EM ANEXO.	5ª - NÃO
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que toda criança merece acesso a tratamentos que ofereçam dignidade, qualidade de vida e esperança. O Delandistrogeno moxeparvoveque representa um avanço significativo no tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne, especialmente para crianças. Incorporá-lo ao SUS é um ato de justiça, equidade e cuidado com nossas crianças e suas famílias. A saúde não pode ser privilégio de poucos — deve ser direito de todos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Sou da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevids seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevids : Uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É VIDA E VIDA É MUSCULO."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por meio de pesquisas, acredita-se que melhora a qualidade de vida dos usuários.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Não há dados para favorecer ou desfavorecer a inclusão do medicamento no SUS com dois ensaios clínicos e estudos de extensão com esta TRG. Eu consideraria o benefício da dúvida para o lado favorável à inclusão. Neste sentido, um registro de paciente pós-infusão de dados clínicos de vida-real são essenciais, e, aguardar mais tempo para coletar informações mais robustas pelos inventários de mobilidade disponíveis. E, o mais importante, não haverr mais judicilaização para o acesso à medicação.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Terapia gênica com Delandistrogeno moxeparvoveque para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos de idade com diagnóstico de Distrofia Muscular de Duchenne, Positivo e facilidades: Logística pré-infusão, infusão e pós-infusão muito bem coordenada pela Coordenação de Doenças Raras do MS. Somos SRDR responsável por todo o procedimento relacionada à TG. Dois pacientes infundidos com excelente resposta terapêutica através dos marcadores bioquímicos e evolução pós-infusão. As narrativas da família são muito positivas com respeito a mobilidade, capacidade de andar maiores distâncias, e, a avaliação North Star estabilizada. Necessito um tempo maior para avaliar a resposta terapêutica., Negativo e dificuldades: Não houveram experiências negativas, ao contrário, somente expectativas positivas	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, POR FAVOR SALVEM AS CRIANÇAS COM DUCHENNE COM A INCORPORAÇÃO DO ELEVIDYS PELO SUS!!! ESSA É A CHANCE,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - NAO	5ª - NAO
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que deva ser incorporado ao SUS, se há uma chance de salvar uma vida, a população deve ter acesso! O direito a vida é um dever do Estado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Roche vem, por meio desta contribuição, colaborar com a discussão através das considerações apresentadas no anexo, de forma a esclarecer aspectos relevantes para a avaliação desta tecnologia e mitigar eventuais incertezas que tenham subsistido. Apresentam-se novas evidências científicas, análises econômicas atualizadas, contextualizações essenciais para a correta interpretação dos efeitos observados nos estudos clínicos e uma proposta de acordo de compartilhamento de risco combinada com soluções para a jornada do paciente., Adicionalmente, apresenta-se uma proposta de Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR) ao Ministério da Saúde (MS) e um pacote de soluções para a jornada do paciente com o intuito de estabelecer uma rede de cuidados para os pacientes com DMD., Por fim, a Roche reforça seu compromisso com os pacientes com DMD e com a sustentabilidade do ecossistema de saúde e reitera a sua crença de que o acesso formal é a melhor via para garantir o tratamento dos pacientes elegíveis ao delandistrogeno moxeparvoveque, de forma equânime e responsável.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Contribuição em relação às evidências clínicas seguem detalhadas em anexo.	5ª - Contribuição em relação aos estudos econômicos seguem detalhados em anexo.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Devido aos resultados positivos já comprovados é vital que o Sus possa ministrar o medicamento.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: Resultados altamente positivos em pacientes com Duchenne que usaram no exterior e também no Bradesco , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu atendo meninos com Duchenne, há 21 anos, vi dezenas de meninos perderem o brilho no olhar ao perder a deambulação, vi sonhos profissionais e pessoais se esvaírem com a progressão cruel e incapacitante que a fraqueza muscular traz, vi dezenas de mães chorando a partida de seus filhos, partida precoce, avassaladora, por um corpo deformado e o coração sem forças. Uma progressão lenta, agonizante, cruel, nos da equipe de reabilitação oferecemos o possível para melhorar a qualidade e vida, minimizar as deformidades e o desconforto respiratório, conseguimos ganhar anos de vida com o nosso tratamento e a corticotetapia, mas nada impede a progressão da doença. É urgente aprovar esse medicamento que traz luz, esperança e de forma real muda a evolução da doença, proporciona um desfecho inimaginável, interrompendo essa progressão cruel e permitindo a continuidade da deambulação e dos sonhos dos nossos meninos. Ninguém consegue ver mais meninos partindo quando sabemos que existe uma possibilidade real de mudar essa realidade .	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Elevidys, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades: Melhora no quadro clínico, interrupção da progressão da doença	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Corticoide, equipe de reabilitação multiprofissional, ventilação mecânica não invasiva, terapia respiratória ., Positivo: Melhora da um qualidade de vida , declínio menos acentuado da função respiratoria, , Negativo: Não é possível interromper ou não estabilizar a progressão da doença,	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é essencial para retardar o processo da doença, melhorando a qualidade de vida do paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Casa Hunter acompanha a comunidade de pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) há aproximadamente uma década. Nesse período, observou de perto suas necessidades e desenvolveu ações de divulgação da patologia, como a promoção de um episódio da série “Viver é Raro”. Recuperamos essa trajetória para justificar a defesa da incorporação do Delandistrogeno moxeparvoveque para pacientes deambuladores de 4 a 7 anos, com diagnóstico de DMD., , Conforme demonstrado em estudos internacionais e no acompanhamento de pacientes brasileiros em uso da medicação há mais de um ano, os resultados têm sido satisfatórios, com manutenção dos marcos motores., , O paciente com DMD perde, em média, 6% da função respiratória ao ano, agravando-se com a perda da marcha (até 50%). Retardar esse quadro transforma o curso da doença, reduzindo complicações como pneumonias, disfagia e broncoaspiração, que comprometem a qualidade de vida e levam ao óbito., , Comparar o uso contínuo de corticosteroides com a terapia gênica é um equívoco. Corticoides apenas retardam o processo inflamatório, mas não impedem a progressão da doença. Além disso, causam efeitos colaterais significativos ao coração, pulmões e sistema imunológico., , Quanto à segurança, os óbitos registrados nos estudos clínicos devem ser analisados caso a caso: dois ocorreram em pacientes fora da faixa etária aprovada pela Anvisa (4 a 7 anos), e um em menor infectado por influenza, conforme autópsia., , Por fim, é essencial promover o diagnóstico precoce. Enquanto a média mundial ocorre entre 3 e 5 anos, no Brasil a maioria dos casos é identificada entre 5 e 9 anos. Sem ampliar o acesso a especialistas, apenas cerca de 20% terão acesso a uma terapia verdadeiramente transformadora.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - ""Não enviar documentos pessoais""	5ª - ""Não enviar documentos pessoais""

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, No documento anexo apresentamos nossos argumentos e fundamentos. A recomendação inicial pelo Conitec é pela não incorporação da, tecnologia ao SUS, sob os seguintes argumentos: incerteza quanto à eficácia,, risco potencial de eventos adversos graves, ausência de protocolo e custo, elevado., Em resumo, resta comprovado que estamos diante de terapia inovadora, única e que demonstra mudar o curso natural da doença através de tecnologia, avançada (gênica), atende e supre as demandas dos pacientes (aqui listadas), , comprovando a mudança no curso natural da doença, foi e vem sendo, comprovado com os estudos de segurança e resultados, que há mais, benefícios diante da perspectiva de não tratamento, há números (mais de 800, pacientes que já fizeram uso)., Ademais, é de suma importância destacar que perder a oportunidade, terapêutica onera consideravelmente paciente e sistema. Os custos de não, incorporação são maiores que o da incorporação, uma vez que as demandas, supra listadas são progressivas e longitudinais e a terapia considerada, de, dose única muda o curso natural da doença, conforme demonstram os estudos., Diante do exposto e considerando, que a terapia cumpre requisitos de, incorporação e com todo respeito que estendemos a este comitê, trazemos, nossa discordância à recomendação preliminar., E por fim, requeremos:,- a realização de audiência pública, garantindo a participação social e, oitiva qualificada e produção de conteúdo e debate científicos, satisfatórios, , - e, a reanálise da recomendação preliminar, para uma recomendação, definitiva de incorporação garantindo assim o acesso com equidade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - No geral, o delandistrogene mosexparvovec tem um perfil, de segurança e tolerabilidade gerenciável em uma ampla população de, pacientes com DMD, independentemente da idade, peso ou estágio da, doença. Totalizando hoje mais de 800 pacientes que fizeram uso da, terapia, com idade entre 03 a 20 anos., Esses dados foram apresentados anteriormente no Congresso Anual da, World Muscle Society, 8 a 12 de outubro de 2024 - FUNDAMENTOS NO ANEXO.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitas vidas dependem de medicação que tem um grande valor e estando disponível pelo SUS MUITAS VIDAS PODEM SER SALVAS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Qualquer medicamento que tenha tido bons resultados no tratamento da distrofia de duchenne deve ser incorporado no sus.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Trilogy e máquina da tosse, Positivo: Tanto o trilogy quanto a máquina da tosse são fundamentais para manter uma boa qualidade de vida para o paciente., Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Qualquer tratamento que possa ajudar pacientes com distrofia muscular de duchenne deve ser incorporado no SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Trilogy, máquina da tosse e ambu, Positivo: São essenciais para ajudar na minha qualidade de vida. Eles compensam a fraqueza muscular., Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso à saúde é direito constitucional e é dever do Estado incorporar o medicamento para salvar vidas de cidadãos brasileiros.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muito importante ser incorporado pelo Sus, sei que não vou conseguir usar ainda esta medicação mas as crianças vão ter a chance de receber , com o valor tão alto sendo impossível de uma família conseguir comprar, creio que o SUS é a único que irá conseguir fazer todo o processo para receber a medicação, pela estrutura e competência.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Deflazacort 30, Concor 10, Espirolactona 25, Omega 3, Entresto 200, Forxiga 10, AAS 100, Coenzima Q10 300, Colecancioferol, Melatonina 10. Faço uso de respirador 24 hrs, aparelho da tosse Couch assist usado para limpar vias aéreas e exercícios respiratórios, uso cadeira de rodas , cadeira de banho, cama tipo hospitalar., Positivo: Remédios que retardam o progresso da doença, que também ajudam nos efeitos colaterais que alguns deles tem, como o corticoide por exemplo., Negativo: O uso de muitos remédios trazem alguns efeitos negativos, como aumento do peso, problemas nos rins...precisa ser monitorado sempre.	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O filho de uma amiga, nascido em 2019, tem uma mutação no gene DMD (o exame detectou uma mutação pontual no exon 40), que altera a matriz de leitura do gene a partir desse ponto culminando na parada prematura da leitura do gene c com isso e levando a ausência da distrofina, a principal proteína responsável pela manutenção da estrutura da fibra muscular, o que causa o quadro da Distrofia muscular de Duchenne (CID G71.0). É a doença neuromuscular mais frequente da infância. Ela tem uma herança autossômica recessiva ligada ao X, sendo as mulheres portadoras da doença mas em geral assintomáticas. Clinicamente, é caracterizada por um quadro de fraqueza muscular rapidamente progressiva que ocorre devido à degeneração dos músculos esqueléticos. A apresentação clínica tem início na infância, e os meninos apresentam um quadro de fraqueza muscular progressiva com idade média de início aos 3 anos. A doença evolui rapidamente e a criança apresenta-se com quedas, dificuldades para levantar do chão e/ou subir escadas até levar a perda da capacidade de andar, escoliose, surgem as complicações devido a comprometimento de musculatura respiratória e cardíaca que são as responsáveis pelo óbito. O ELEVIDYS é a primeira terapia gênica liberada para a DMD, onde uma microdistrofina acoplada a um vetor viral é injetada de forma endovenosa com objetivo de atingir o interior da célula e daí favorecer a produção da distrofina. Os primeiros resultados publicados foi em 2020 na revista JAMA, com 4 pacientes, com média de idade de 4,8 anos, e mostrou que não houve efeitos colaterais sérios. Na biopsia muscular que foi realizada 12 semanas após a infusão foi demonstrada uma expressão importante do “transgene” e pela técnica de Western Blot a média de expressão da distrofina foi de 74%, sem gordura ou fibrose. Os pacientes apresentaram melhora nas escalas funcionais (NSAA) e houve redução da CK, e que foi mantida após 1 ano (Mendel J, 2020).	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A vida é direito de todos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O produto está em uso em diversos países, com resultados bem importantes para os pacientes. A demora na aprovação e uso efetivo nas crianças doentes acaba por impedir que a criança tenha acesso dentro da janela de indicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como paciente tenho uma esperança de cura e qualquer medicamento que nos aproxime disso é útil.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Medicações paliativas , Positivo: Não sei informar , Negativo: Não sei informar	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Sou da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevids seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevids : Uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É VIDA E VIDA É MUSCULO."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - "Sou da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevids seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevids : Uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É VIDA E VIDA É MUSCULO."	5ª - "Sou da Família de Richard Willian ele tem Distrofia Muscular de Duchenne e precisa com urgência que essa medição Elevids seja aplicado pelo Sus , para garantir a ele e muitas famílias uma esperança é qualidade de Vida., Elevids : Uma dose que pode mudar uma vida, ""TEMPO É VIDA E VIDA É MUSCULO."
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A vida é direito constitucional básico e deve ser garantido a todo cidadão. Como mãe do um menino de 6 anos que foi diagnosticado com DMD ano passado, só peço que seja nos oferecido um tratamento mais digno e que melhore e amplie a qualidade de vida dos nossos filhos. QUEM TEM DUCHENNE TEM PRESSA, TEMPO É MÚSCULO e MÚSCULO É VIDA!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Meu filho faz uso do Deflazacort contínuo e terapias multidisciplinares, porém esse medicamento não tem uma eficácia tão ampla e forte quanto o Elevidys, que retarda bem mais a progressão da doença e dá uma qualidade de vida maior para nossos meninos., Positivo: Ajudou um pouco no desenvolvimento., Negativo: Não traz a melhor qualidade de vida e nem retarda tanto o progresso da doença.	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este é o único medicamento comprovadamente eficaz no tratamento da duchene	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pacientes tratados com delandistrogeno moxeparvove por 3 anos nos estudos demonstraram estabilização de longo prazo ou desaceleração da, progressão da doença em comparação com uma coorte EC pareada rigorosamente, conforme medido pela pontuação total NSAA, tempo e, velocidade de TTR, e tempo e velocidade de 10MWR, e analisado usando MMRM e regressão mediana.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: delandistrogeno moxeparvoveque, Positivo e facilidades: pacientes mostrando mais agilidade na realização de atividades motoras amplas como caminha e subir e escadas, Negativo e dificuldades: dificuldade de acesso ao tratamento	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: corticoide, atalureno, Positivo: permanência por um tempo maior de deambulação , Negativo: muitos efeitos colaterais com uso prolongado do corticoide na saúde óssea e questões metabólicas	4ª - Os resultados do Estudo 101 de 5 anos indicam que o tratamento com delandistrogeno moxeparvoveque é seguro e eficaz para pacientes com DMD,, demonstrando estabilização ou desaceleração da progressão da doença. Pacientes tratados mantiveram melhorias funcionais significativas, permaneceram, deambulantes e apresentaram um perfil de segurança consistente	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Atesto a eficácia do medicamento Elevidys, pois acompanhei a primeira criança que recebeu tal medicamento com melhoras significativas, com suas dificuldades motoras superadas.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Delandistrogeno moxeparvoveque, Positivo e facilidades: Eficácia comprovada com criança que acompanhamos, a qual apresentou uma maior tonificação muscular, na escala North Star houve um crescimento de 24 para 34 em no período de 11 meses a partir da aplicação do medicamento., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticoides, Positivo: As crianças que receberam não tiveram resultados positivos, com redução na habilidade de andar efetuar marcha, Negativo: Ineficiência	4ª - O medicamento teve redução de 70% no nível das proteínas que indicam inflamação no organismo	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Atulmente é o único traamento disponível com possibilidade de melhorar consideravelmente a qualidade de vida dos pacientes. Além disso, a saúde como diereito de todos e dever do Estado está consargrada na Consituição Federal Brasileira, artigo 196. Ainda, a Lei nº 8080/1990 que estabelece os princípios que norteiam o SUS garante o acesso universal aos serviços de saúde, considerando todas as necessidades individuais de modo a garantir uma assistência completa. Portanto, é evidente que o tratamento em questão deve ser incorporado ao SUS. Inclusive, sugiro a expansão da faixa etária e exclusão do critério ""capacidade de deambulação""."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Importante passo na área da saúde para pacientes q necessitam dessa medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se há possibilidade de postegar os avanços da doença, e isso traz qualidade de vida aos portadores, entendo que a instituição tem obrigação de fornecer apoio às famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Elevidys aplicado na criança na qual fiz o acompanhamento como cuidadora, observei o incrível desenvolvimento em toda atividade motora, pulmonar, resistência e progressão na fala com êxito. É vida nova aos músculos!	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Delandistrogeno moxeparvoveque, Positivo e facilidades: Eficacia comprovada com uma criança que acompanhei, com resultados surpreendentes na resistência muscular, na progressão da fala, no caminhar etc..., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticóides, Positivo: Crianças que fazem uso somente de corticóides não tiveram bons resulrados, pois houve redução na marcha e dificuldades pulmonares e na fala., Negativo: Ineficiente.	4ª - Observei a redução de 80% no CPK	5ª - Apesar o medicamento ter um custo elevado, os benefícios que o mesmo proporciona, compensa o investimento.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença neuromuscular devastadora, ligada ao cromossomo X, que resulta da ausência da proteína distrofina funcional. Essa deficiência leva à degeneração muscular progressiva e irreversível, substituindo o tecido muscular por tecido fibroadiposo. As consequências são a fraqueza muscular progressiva, a diminuição drástica da qualidade de vida e, lamentavelmente, a morte prematura., , Existe uma necessidade urgente e não atendida de um tratamento que modifique a doença para os pacientes com DMD no SUS. As terapias atuais, embora importantes no manejo dos sintomas, não abordam a raiz do problema. É aqui que Elevidys se destaca., , Elevidys é a primeira terapia de transferência gênica para DMD, utilizando um vetor rAAVrh74 para entregar uma microdistrofina funcional. Diferente de outros tratamentos, incluindo corticosteroides, que apenas gerenciam os sintomas como inflamação, Elevidys® age diretamente na deficiência da distrofina, a causa subjacente da doença., , O programa de desenvolvimento clínico de Elevidys é completo e sem precedentes em terapias gênicas para DMD. Com estudos de fase 1, 2 e 3, e um acompanhamento de até 5 anos, Elevidys demonstrou consistentemente sua segurança e eficácia em uma ampla gama de mutações de DMD., eficácia biológica de Elevidys é notável. Foram observadas melhorias sustentadas na saúde muscular e a expressão da microdistrofina nas células-alvo. Estudos de ressonância magnética (MRI) confirmam a estabilização ou o retardo da progressão da doença em pacientes tratados, contrastando com a progressão observada em grupos placebo ou controle externo., , Além disso, a eficácia funcional e a durabilidade dos efeitos de Elevidys são clinicamente significativas. Dados de até 5 anos de acompanhamento mostram melhorias duradouras na função motora e uma estabilização a longo prazo que diverge claramente da história natural da DMD. Isso significa que Elevidys tem o potencial real de modificar o curso da doença. Os resul	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Com Elevidys, Positivo e facilidades: Melhoras global de desempenho motor como subir escada e se levantar do solo e manutenção dos parâmetros respiratório. Sem declínio como se acompanha em indivíduos em que cursam com a história natural. Perda de 6% ao ano da cvf, Negativo e dificuldades: Nos brasileiros que acompanham, não tiveram efeito adverso, nem tocaram as enzimas esperados pela imunossupressão	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Atualmente, porém é para um tipo específico de mutação no sentido. Que representa 10% dos DMDs, Positivo: Pela primeira vez, vi DMD deambulantes. Pq até então só conhecia os cadeirantes. Quando eles vêm para fisio resp. , Negativo: A limitação de só poder tratar 10% da população. Elegível	4ª - ,Diante desses fatos, como fisioterapeuta respiratória, ressalto a importância vital da incorporação de Elevidys no SUS. Esta medicação representa a esperança de uma vida com mais qualidade e dignidade para as crianças e jovens com DMD no Brasil, oferecendo um tratamento que realmente modifica a doença. Não podemos esperar 10 anos para estudo de longo prazo para uma doença onde ocorre morte prematura em torno de 20-28 anos!, , Peço encarecidamente que reconsiderem a decisão, priorizando a saúde e o futuro de nossos pacientes., , Atenciosamente,	5ª - Diante da custo-efetividade, tratar, ainda custa menos que as internações prolongadas das populações por complicações pneumônicas. Leito de UTI, mais antibióticos, mais o conjunto de complicações em internações prolongadas, ao longo da vida., Fora transtornos em jovens produtivos e contribuem, aos investimentos de beneficiários bpc ao longo de sua vida. Estamos falando de uma população que vai ficar acamada ao longo de 3 a 4 décadas de vida.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença terrível. Essa medicação é um grande avanço para estacionar essa doença tão cruel e devastadora e dar mais qualidade de vida aos meninos que dela podem fazer uso.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Ataluren , Positivo e facilidades: Melhora clínica , Negativo e dificuldades: Dificuldade de aprovação pela Anvisa.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ataluren, Positivo: Melhora clínica e motora , Negativo: Não tive	4ª - Melhoria na funções motoras de crianças.	5ª - Nao
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como farmacêutica-bioquímica tenho acompanhado a jornada dos pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne frente à oportunidade de melhoria da qualidade de vida para uma doença ocasionada por mutações no gene da distrofina, levando à degeneração progressiva das fibras musculares e fraqueza. A fraqueza pode se manifestar inicialmente com dificuldade para deambular, mas progride progressivamente de forma a tornar os pacientes incapazes de realizar atividades da vida diária e precisam usar cadeiras de rodas. A fraqueza muscular pode evoluir para complicações cardíacas e ortopédicas, e a morte geralmente ocorre na faixa etária dos 20 anos devido à fraqueza dos músculos respiratórios ou miocardiopatia., Os tratamentos disponíveis focam principalmente no controle dos sintomas.O uso de medidas imunossupressoras e o desenvolvimento otimizado de vetores permitem que as terapias gênicas abordam a causa genética da doença. , Aprovado em 9 países (EUA, Brasil, Israel, Emirados Árabes Unidos, Omã, Bahrain, Qatar, Kuwait e, recentemente no Japão3) a terapia tem apresentado um perfil de segurança e tolerabilidade gerenciável, conforme dados clínicos apresentados na bula do medicamento, As aplicações realizadas no Brasil têm sido acompanhadas por centros e profissionais altamente capacitados, os resultados refletidos nos desfechos evidenciados pelos dos familiares dos pacientes que tiveram a oportunidade de receber a terapia. , A doença é rara, cada dia e cada passo importa para quem acompanha diariamente a evolução do paciente com ou sem acesso ao medicamento e cuidados associados. ,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu filho tem 7 anos , portador de distrofia muscular de duchene, tem toda a vida pela frente..e diante da doença não temos garantia de nada, é muito triste saber que um dia ele não vai andar mais por conta da progressão da doença. Então o medicamento é o único que promete a desacelerar a sua evolução.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Corticóide, atalureno, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Devido ao auto custo do medicamento, é impossível uma família adquirir medicamento de milhões	2ª - Não	3ª - Não	4ª - os resultados obtidos com os pacientes que já fizeram aplicação, foram comprovadamente satisfatórios.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou pai não de uma, mas de duas crianças portadoras da síndrome de Duchenne. Mas mesmo se eu sequer fosse pai, não imagino uma forma maior de desrespeitar o direito constitucional à vida que ignorar o avanço científico que finalmente traz luz à uma condição tão específica. Trata-se de garantir igualdade de chances de sobrevivência, tal qual atender transplantes pelo Sistema Único de Saúde nacional, público e universal.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Deflazacorte, Positivo: Retardamento do avanço da doença , Negativo: Baixa significativa da imunidade dos meus filhos	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos tem direito ao melhor tratamento adequado conforme sua condição de saúde. Porque ninguém merece morrer minguando em uma cadeira de rodas ou em cima da cama.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: ainda não tive experiência com este medicamento, Positivo e facilidades: conforme havia dito, ainda não tive experiência com este medicamento, porém, acredito que todos tem direito ao melhor tratamento adequado conforme sua condição de saúde. , Negativo e dificuldades: acredito que a falta do tratamento adequado, poderá piorar a condição de vida do ser humano, o causa até morte precoce ou por inanição, infelizmente já houve casos em nosso estado de pacientes terem falecidos na melhor fase adulta com essa patologia porque não tinha nenhum medicamento para tratar.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Translarna, Positivo: os pacientes tem qualidade de vida, melhoraram a mobilidade, a autoestima, condição respiratória e demoraram ir para cadeira de rodas, Negativo: infelizmente o paciente ainda corre o risco de para cadeira de rodas	4ª - não	5ª - ND
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos tem direito a tratamento digno e se existe um é papel do governo proporcional isso aos cidadãos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Numa doença progressiva e devastadora, com curso inexorável com perda da deambulação e rumo à morte precoce por insuficiência respiratória ou cardíaca, a possibilidade de um benefício através do produto que está sendo avaliada deve ser permitida aos pacientes que preencherem os critérios de inclusão, com os riscos compartilhados entre os provedores do tratamento e os fabricantes do mesmo.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Ataluren, corticóides, Positivo: Contribuem para retardar a progressão da doença, desde que a indicação seja precisa (no caso do Ataluren, dependendo da variante genética presente no paciente, entre outros critérios), Negativo: Eficácia pequena e transitória	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Através de procedimentos técnicos específicos no tratamento em centros de referência de neurologia pediátrica e apoiados pela bula do medicamento, acredito que é possível evitar a perda da força física e outros sintomas da DMD de forma precoce nas crianças para desenvolvimento de tecnologias de tratamento Nacionais.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Não existe nenhum outro medicamento para a doença do meu filho com Distrofia Muscular de Duchenne com deleção dos éxons 45 ao 50., Positivo: Ganho de força física em todos deambulantes que fizeram a infusão em vários países, inclusive no Brasil., Negativo: Nenhum.	4ª - Não sou médico.	5ª - Não