

**Anvisa suspende o uso do medicamento de terapia avançada ELEVIDYS® (delandistrogeno moxeparvoveque)**

***Como se trata de um produto inovador, complexo e de uso restrito, qualquer dúvida razoável sobre seu perfil de segurança exige ação regulatória imediata.***

A Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) informa que decidiu, por medida de precaução, suspender temporariamente a comercialização, distribuição, fabricação importação, propaganda e uso do medicamento de terapia gênica Elevidys® (delandistrogeno moxeparvoveque) no Brasil. A suspensão vale até que sejam integralmente esclarecidas as recentes incertezas de segurança relacionadas a relatos de casos fatais de insuficiência hepática aguda em pacientes tratados com o produto nos Estados Unidos. Confira a [RE 2813/2025](#), publicada na Edição Extra do Diário Oficial desta quinta-feira (24/7).

Essa decisão foi tomada à luz de novas informações regulatórias divulgadas pela Food and Drug Administration (FDA), agência reguladora dos Estados Unidos, que relata três óbitos associados ao uso de produtos de terapia gênica com a tecnologia vetorial AAVrh74, desenvolvida pela empresa Sarepta Therapeutics, sendo dois casos em pacientes pediátricos não deambuladores com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) tratados com Elevidys® e um terceiro caso em paciente adulto com Distrofia Muscular de Cinturas, que utilizaram produto de terapia gênica experimental baseado no mesmo vetor viral. Os eventos envolveram evolução para insuficiência hepática aguda com desfecho fatal. Destaca-se que a empresa Sarepta Therapeutics é a responsável pelo registro do Elevidys® nos Estados Unidos.

**Uso autorizado no Brasil**

No Brasil, o registro do Elevidys® foi concedido à empresa Roche Farma Brasil em dezembro de 2024, em caráter excepcional, exclusivamente para pacientes pediátricos deambuladores (que andam) na faixa etária de 4 a 7 anos com mutação confirmada no gene DMD, e condicionado a monitoramento intensivo de segurança e confirmação de eficácia de longo prazo, conforme a RDC nº 505/2021.

Nenhum dos casos fatais acima relatados ocorreu no Brasil. Tais óbitos se referem a cenários clínicos com indicações não autorizadas pela Anvisa, conforme divulgado pela Agência, em 17 de junho de 2025, referente aos dois casos iniciais. Matéria completa no link: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2025/atualizacoes-sobre-o-uso-do-medicamento-de-terapia-avancada-elevidys-r-delandistrogeno-moxeparvoveque>

**Interrupção nos Estados Unidos e outros países**

É relevante destacar que a empresa Sarepta atendeu a uma solicitação da FDA e interrompeu voluntariamente a distribuição do medicamento Elevidys® para todos os pacientes, incluindo aqueles deambuladores e não deambuladores, nos Estados Unidos (Link: <https://investorrelations.sarepta.com/news-releases/news-release-details/sarepta-therapeutics-announces-voluntary-pause-elevidys> ).

De forma semelhante, a Roche comunicou a suspensão voluntária e temporária do fornecimento de Elevidys® para novos pacientes deambuladores com DMD em países fora dos Estados Unidos que dependem exclusivamente da aprovação da FDA para uso local do produto, além daqueles com programas assistenciais específicos. Após articulação com a Anvisa, a empresa Roche decidiu suspender voluntariamente, também no Brasil, a disponibilização do produto Elevidys® com as devidas comunicações técnicas aos profissionais da saúde brasileiros.

Embora os casos de óbito tenham ocorrido em perfil de pacientes para os quais o Elevidys® não está indicado no Brasil e não haja, até o momento, relatos de problemas relacionados à sua aplicação no país, a Anvisa decidiu suspender temporariamente o uso do produto. A decisão foi tomada de forma cientificamente prudente e preventiva, diante do surgimento de novos dados

internacionais que apontam para hepatotoxicidade grave com desfecho fatal.

Desta forma, apesar da situação restritiva e controlada do uso no Brasil e da experiência internacional com mais de 700 pacientes tratados sem óbitos na população deambuladora, a suspensão temporária do uso do produto, como medida preventiva, em alinhamento com a empresa Roche, tem o objetivo de:

- Garantir a segurança dos pacientes brasileiros, que deve sempre prevalecer sobre qualquer outra consideração;
- Permitir a avaliação aprofundada dos sinais de risco hepático emergentes nos Estados Unidos;
- Discutir, com base nos novos achados e correlações, possíveis aprimoramentos e ajustes no plano de gerenciamento de risco e nas estratégias de manejo clínico, se necessário, antes de eventual retomada da comercialização.

Como se trata de um produto inovador, complexo e de uso restrito, qualquer dúvida razoável sobre seu perfil de segurança exige ação regulatória imediata.

Conforme estabelece o art. 11 da RDC nº 505/2021, a Anvisa pode, a qualquer tempo, solicitar provas adicionais de segurança e eficácia, bem como aplicar medidas regulatórias cautelares, inclusive a suspensão temporária da importação, comercialização e distribuição do produto, até que a relação benefício-risco seja novamente considerada favorável. A RDC 948/2024 determina que em caso de novas evidências demonstrem que o medicamento regularizado deixou de ter relação benefício/risco positiva, a regularização sanitária poderá ser suspensa quando medidas preventivas e cautelares podem ser adotadas.

Informa-se que a Anvisa segue em articulação com a FDA, dos Estados Unidos e com PMDA (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency), agência reguladora do Japão, para o aprofundamento do monitoramento contínuo da segurança, qualidade e eficácia do Elevidys®. Informa-se que o Elevidys® está registrado no Brasil, Estados Unidos e Japão.

### **Entenda melhor sobre o monitoramento do Elevidys® no Brasil**

No Brasil, o registro do Elevidys® foi concedido em dezembro de 2024, em caráter excepcional, exclusivamente para pacientes pediátricos deambuladores (4 a 7 anos) com mutação confirmada no gene DMD, e condicionado a monitoramento intensivo de segurança e confirmação de eficácia de longo prazo, conforme a RDC nº 505/2021. Segundo informações da empresa Roche foram tratados com o produto cerca de 10 pacientes brasileiros.

Até 24 de julho de 2025, foram recebidas na Anvisa três notificações de eventos adversos pela empresa Roche, todos no ano de 2025.

De acordo com a análise de causalidade dos eventos adversos, dois deles foram classificados como prováveis e com evolução favorável e compatível com os efeitos já descritos em bula e observados nos estudos clínicos. Destacam-se: aumento de enzimas musculares (creatina quinase), sendo um efeito demonstrado na referida terapia gênica para DMD, possivelmente relacionado à resposta imune ao vetor AAV ou à expressão de microdistrofina em fibras musculares afetadas; e sintomas gastrointestinais, que podem estar relacionados a corticoterapia (usada para supressão imunológica).

Observou-se também aumentos das enzimas hepáticas e hepatite. A toxicidade hepática é um risco documentado com vetores AAV, devido ao seu tropismo hepático. A hepatite pode ser mediada por resposta imune ao vetor ou ao transgene.

Cabe ressaltar que o terceiro caso notificado no Brasil apresentou nexos causais improváveis com o uso do Elevidys®, sendo o quadro clinicamente compatível com uma infecção viral grave (Influenza A), exacerbada por imunossupressão, resultando em óbito. A bula do Elevidys®

recomenda adiar a administração em casos de infecção ativa e preconiza a vacinação como mecanismo preventivo.

Os eventos notificados no Brasil relacionados ao Elevidys®, até o momento, não configuram sinal de segurança novo ou inesperado à saúde na população de pacientes brasileiros deambuladores com DMD. A bula brasileira já inclui alertas específicos sobre risco de lesão hepática grave, e recomendações de precaução para pacientes com comprometimento hepático ou infecção hepática crônica, dentre outras advertências relacionadas, como infecções concomitantes e consequências de imunossupressão devido ao uso de corticoides. Em pesquisa nesta quinta-feira (24/7/2025) ao VigiMed, não foram identificados novos casos, além dos 3 já notificados.

A Anvisa reforça seu compromisso com a proteção da saúde da população, com o rigor técnico regulatório e com o acesso seguro e responsável às terapias avançadas no Brasil.

**Para mais informações sobre o processo de registro do Elevidys na Anvisa, consulte:**

[Anvisa aprova registro de primeiro produto de terapia gênica para Distrofia Muscular de Duchenne \(DMD\)](#)

**PARECER PÚBLICO DE AVALIAÇÃO DE MEDICAMENTO - PPAM** - Elevidys® (delandistrogeno moxeparoveque) <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/sangue/terapias-avancadas/ensaios-clinicos-autorizados/cartas-de-aprovacao/ppam-elevidys-diagramado.pdf>

---

**Publicação traz informações sobre os desafios e as estratégias para prevenção, diagnóstico e tratamento da doença. Confira!**

***Está disponível o Boletim SNVS n. 56, com as principais ações de vigilância sanitária realizadas neste mês de julho.***

Para marcar o Dia Mundial de Luta contra as Hepatites Virais (28/7), a publicação traz reflexões sobre os desafios e as estratégias para prevenção, diagnóstico e tratamento das hepatites. A fase II da operação Estética com Segurança, realizada pela Anvisa em parceria com as Vigilâncias Sanitárias estaduais e municipais, também é destaque do boletim.

Acesse a publicação completa [neste link](#) e fique por dentro das iniciativas do SNVS!

**Fonte:** [Anvisa](#), em 24.07.2025.