



udiência Pública pa
debater a **Inclusão do
medicamento Elevidys ao
SUS**

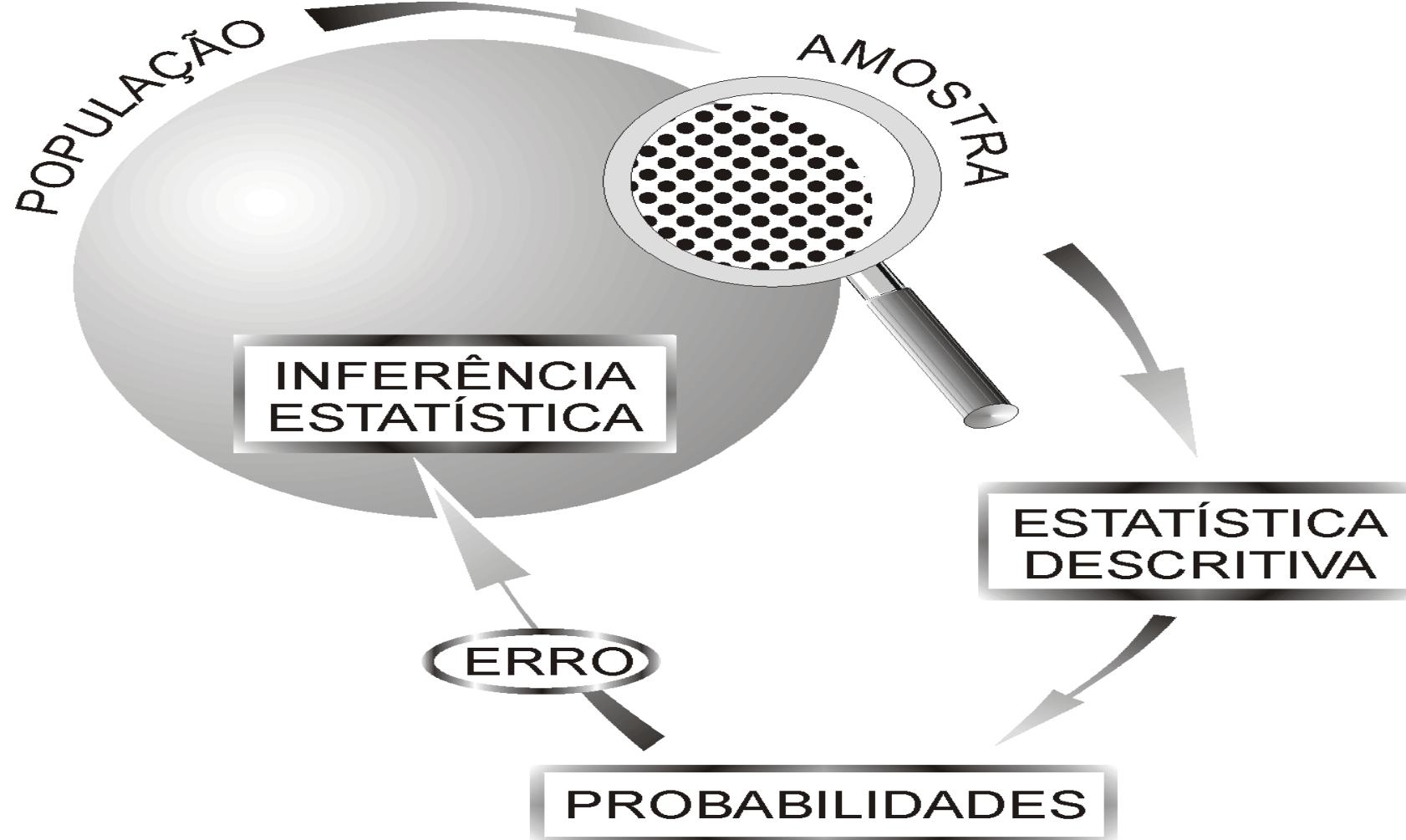
Denizar Vianna

Professor Titular

Faculdade de Ciências Médicas

Universidade do Estado do Rio de Janeiro





Inferência Estatística

**20
25**

Revisão sistemática

**DELANDISTROGENE
MOXEPARVOVEC (ELEVIDYS®) PARA
DISTROFIA MUSCULAR DE
DUCHENNE**

Elaboração:

Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde / Núcleo de Evidências - Hospital Sírio-Libanês (NATS/NEv - HSL)



HOSPITAL
SÍRIO-LIBANÉS



CNI
CONSELHO
NACIONAL
DE JUSTIÇA



PROADI-SUS
PROJETO DE REVISÃO DE EVIDÊNCIAS DO SUS



SUS



MINISTÉRIO DA
SAÚDE



GOVERNO FEDERAL
BRASIL
UNIÃO E RECONSTRUÇÃO



OPEN ACCESS

EDITED BY

Marc Bartoli,
Aix Marseille Université, France

REVIEWED BY

Florian Barthelemy,
University of California, Los Angeles,
United States
Matthew S. Alexander,
University of Alabama at Birmingham,
United States

*CORRESPONDENCE

Louise R. Rodino-Klapac,
 lrodinoklapac@sarepta.com

Expression of SRP-9001 dystrophin and stabilization of motor function up to 2 years post-treatment with deLandistrogene moxeparvovec gene therapy in individuals with Duchenne muscular dystrophy



AAV gene therapy for Duchenne muscular dystrophy: the EMBARK phase 3 randomized trial

Mendell JR, et al. AAV gene therapy for Duchenne muscular dystrophy: the EMBARK phase 3 randomized trial. Nat Med. 2025 Jan;31(1):332-341. doi: 10.1038/s41591-024-03304-z. Epub 2024 Oct 9. PMID: 39385046; PMCID: PMC11750718.

Desfecho primário

- Função motora (pontuação total NSAA e PROMIS) após 52 semanas

Desfechos secundários

- Função motora (tempo para caminhada/corrida de 10 e 100 metros/subir 4 degraus/se levantar, TTR)
- Função motora (número de funções adquiridas ou melhoradas, NSAA)
- Expressão de microdistrofina após 12 semanas
- Eventos adversos
- Função cardíaca

Mendell JR, et al. AAV gene therapy for Duchenne muscular dystrophy: the EMBARK phase 3 randomized trial. *Nat Med.* 2025 Jan;31(1):332-341. doi: 10.1038/s41591-024-03304-z. Epub 2024 Oct 9. PMID: 39385046; PMCID: PMC11750718.

Função motora (NSAA, PROMIS)

NSAA

Os dois ECR avaliaram este desfecho mensurado pela ferramenta NSAA (pontuação total de 0-34 pontos, onde pontuações mais altas indicam melhor função motora).

Elevidys® pode reduzir/ter pouco ou nenhum efeito na melhora da função motora, **mas esta evidência é muito incerta** (Diferença de Médias [DM] -0,44; Intervalo de Confiança [IC] 95% de -3,39 a 2,50; n=165; 2 ECR; **certeza de evidência muito baixa**). **A certeza na evidência foi reduzida devido à imprecisão e inconsistência do resultado**, e à evidência indireta (os estudos incluem apenas participantes com DMD com mutações nos exons 18 a 58).

Desfecho primário

A diferença da média dos mínimos quadrados (LSM) na mudança na pontuação total da NSAA desde a linha de base até a semana 52 entre os dois braços de tratamento foi de 0,65 (IC 95%: -0,45; 1,74) e **não foi estatisticamente significativo** ($p = 0,244$)

Eventos adversos

A incidência de eventos adversos não foi insignificante. Dezenove pacientes relataram eventos adversos graves, sendo que 14 de 63 (22,2%) participantes no grupo SRP-9001 tiveram 21 eventos adversos graves, enquanto 5 de 62 (8,1%) no grupo placebo relataram 9 eventos adversos graves, incluindo vômitos, miocardite, lesão hepática aguda e miosite.

Conclusões

As avaliações feitas por revisores do FDA e estatísticos concordaram que o desfecho primário não foi alcançado, assim como a maioria dos desfechos secundários. Além disso, não ficou claro se há uma relação entre a alteração na quantidade de expressão da proteína microdistrofina na semana 12, medida por *Western blot*, e as possíveis implicações clínicas desse resultado.

Conclusões

É importante considerar que um paciente que recebe uma terapia gênica utilizando um vetor de adenovírus específico desenvolve anticorpos contra esse vetor, o que torna difícil que ela possa receber no futuro outra modalidade de terapia gênica com o mesmo vetor.



São Paulo, 15 de junho de 2025.

ELEVIDYS® (deandrostrogeno moxeparvoveque):

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

Impacto Orçamentário dos Produtos de Terapias Avançadas no Sistema Único de Saúde

Budgetary Impact of Advanced Therapy Products in the Unified Health System

Denizar Vianna Araujo¹, Camile Giaretta Sachetti², Antonio Carlos Campos de Carvalho³, Gesner Oliveira⁴, Luccas Saqueto⁵, André Pellizzaro⁶, Antonio Macedo⁷, João Pedro Mussi⁸, Maria Paula Heck⁹, Jéssica Portal Maia¹⁰.

		ANO					
Preço Elevidys®	2025	2026	2027	2028	2029	2030	2031
PF 0%	R\$ 5,39 bilhões	R\$ 5,63 bilhões	R\$ 5,87 bilhões	R\$ 6,10 bilhões	R\$ 6,30 bilhões	R\$ 6,51 bilhões	R\$ 6,72 bilhões
PMVG 0%	R\$ 4,23 bilhões	R\$ 4,42 bilhões	R\$ 4,60 bilhões	R\$ 4,78 bilhões	R\$ 4,94 bilhões	R\$ 5,11 bilhões	R\$ 5,27 bilhões
Pacientes elegíveis para Elevidys®	356	358	359	360	361	362	363

Programas do Ministério da Saúde	Ano 2023	Ano 2025 - IPCA
Programa Nacional de Sangue e Hemoderivados	R\$ 1.2 bi	R\$ 1,35 bi
Aquisição e distribuição de medicamentos para DST/AIDS	R\$ 445 mi	R\$ 488 mi
Aquisição e distribuição de medicamentos estratégicos (CESAF)	R\$ 303 mi	R\$ 332 mi



OBRIGADO

denizar@uerj.br