

Nota Técnica 554389

Data de conclusão: 11/08/2026 11:14:14

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 05/11/2019

Idade: 6 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Santo André/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001681-54.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 554389

CID: G71.0 - Distrofia muscular

Diagnóstico: distrofia muscular de Duchenne

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Laudo médico.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Produto

Registro na ANVISA? Não

Descrição: vamorolona

O produto está inserido no SUS? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: vamorolona

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Corticosteróides e terapias de reabilitação não-farmacológicas.

Custo da Tecnologia

Tecnologia: vamorolona

Custo da tecnologia: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: vamorolona

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A vamorolona (Agamree®) é um corticosteroide desenvolvido para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne, aprovado pela FDA para pacientes com 2 anos ou mais. Atua no receptor dos glicocorticoides, mantendo o efeito anti-inflamatório, mas buscando reduzir alguns dos efeitos adversos associados aos corticosteroides tradicionais. Também apresenta ação sobre o receptor mineralocorticoide (3).

Um ensaio clínico avaliou a vamorolona durante 24 semanas em meninos de 4 a menos de 7 anos com DMD (distrofia muscular de Duchenne) que ainda não haviam usado corticosteroides. Dos 121 participantes randomizados, 114 concluíram o estudo. Em comparação com placebo, a vamorolona melhorou a capacidade de levantar-se do chão: a dose de 6 mg/kg/dia aumentou a velocidade no TTSTAND (teste de levantar-se da posição deitada) em 0,05 evento por segundo, enquanto o placebo apresentou pequena piora de 0,01 evento por segundo (p=0,002); a dose de 2 mg/kg/dia também apresentou benefício (p=0,02). No 6MWT (teste de caminhada de seis minutos), os pacientes tratados com vamorolona caminharam cerca de 42 metros a mais com 6 mg/kg/dia e 37 metros a mais com 2 mg/kg/dia do que os que receberam placebo. A dose de 6 mg/kg/dia também melhorou o desempenho no teste de correr ou caminhar 10 metros. A proporção de participantes com algum evento adverso foi semelhante entre os grupos, variando de 79% a 89%. Entretanto, a prednisona reduziu o crescimento e os marcadores relacionados à formação e renovação óssea, enquanto esses efeitos não foram observados com a vamorolona; o percentil de altura diminuiu 1,88 ponto com prednisona e aumentou 3,86 pontos com vamorolona 6 mg/kg/dia (p=0,02). Por outro lado, tanto a prednisona quanto a vamorolona reduziram a produção de cortisol, indicando risco de insuficiência adrenal, avaliada pelo teste com ACTH (hormônio adrenocorticotrófico). Assim, a vamorolona apresentou benefício motor semelhante ao dos corticosteroides, com menor impacto sobre crescimento e saúde óssea, mas sem eliminar o risco de supressão adrenal (4).

Extensão do ensaio clínico anterior avaliou durante 48 semanas os grupos que, após 24

semanas, passaram de placebo ou prednisona para vamorolona; 112 participantes, correspondentes a 92,6%, completaram o estudo. A dose de 6 mg/kg/dia manteve até a semana 48 os benefícios observados nos cinco desfechos motores e, em comparação com 2 mg/kg/dia, apresentou maior melhora na velocidade para levantar-se da posição deitada, com diferença de 0,050 evento/s ($p=0,010$), na 6MWD (distância percorrida em seis minutos), com diferença de 34,8 metros ($p=0,047$), e na velocidade para subir quatro degraus, com diferença de 0,053 evento/s ($p=0,031$); não houve diferenças significativas entre as doses na velocidade para correr ou caminhar 10 metros nem na NSAA (Avaliação Ambulatorial North Star). Os participantes inicialmente tratados com placebo apresentaram melhora após a introdução da vamorolona, enquanto aqueles que passaram da prednisona para 6 mg/kg/dia mantiveram os benefícios motores e apresentaram recuperação significativa do crescimento, com melhora de 0,228 no escore padronizado de altura ($p=0,036$). Não ocorreram mortes, e os três eventos adversos graves foram considerados não relacionados ao medicamento; eventos relacionados ao tratamento foram mais frequentes com 6 do que com 2 mg/kg/dia, 39,3% versus 17,9%. O aumento inicial do IMC (índice de massa corporal) estabilizou após 24 semanas, a redução dos marcadores de renovação óssea causada pela prednisona foi rapidamente revertida após a troca para vamorolona e a supressão adrenal não piorou entre as semanas 24 e 48. Assim, a vamorolona 6 mg/kg/dia demonstrou manutenção mais consistente da eficácia motora, com menor impacto sobre crescimento e metabolismo ósseo do que a prednisona, embora os resultados de 48 semanas devam ser interpretados com cautela por envolverem amostras pequenas e análises exploratórias (5).

Um terceiro estudo complementa os dois ensaios anteriores ao comparar indiretamente, por meio de ponderação estatística entre os estudos VISION-DMD e FOR-DMD, a vamorolona 6 mg/kg/dia com prednisona 0,75 mg/kg/dia e deflazacorte 0,9 mg/kg/dia em meninos de 4 a menos de 7 anos com distrofia muscular de Duchenne (DMD). Enquanto o primeiro estudo havia demonstrado, em comparação direta com placebo, que a vamorolona melhora a função motora em 24 semanas e causa menor prejuízo ao crescimento e aos marcadores ósseos do que a prednisona, e o segundo mostrou que esses benefícios, sobretudo com 6 mg/kg/dia, se mantêm até 48 semanas, o estudo mais recente buscou verificar se essa eficácia seria comparável à dos corticosteroides clássicos ao longo de aproximadamente um ano. Foram analisados 28 pacientes tratados com vamorolona, 50 com prednisona e 55 com deflazacorte; aos 12 meses, não houve diferenças estatisticamente significativas entre os tratamentos na velocidade para levantar-se da posição deitada nem na distância percorrida em seis minutos, mas a vamorolona apresentou menor melhora do que o deflazacorte na velocidade para correr ou caminhar 10 metros, diferença de $-0,179$ m/s, e na NSAA diferença de $-1,67$ ponto. Em contrapartida, a vamorolona preservou melhor o crescimento linear, com diferença no escore padronizado de altura aos 12 meses de 0,44 em relação à prednisona e de 0,72 em relação ao deflazacorte, ambas com $p<0,0001$, embora tenha sido associada a maior aumento de peso e do IMC (índice de massa corporal). Assim, o estudo reforça os achados anteriores de eficácia motora globalmente semelhante e menor impacto sobre o crescimento, mas não comprova equivalência ou não inferioridade, pois se trata de uma comparação indireta de Classe III, com amostras pequenas, intervalos de confiança amplos e possíveis diferenças residuais entre as populações dos dois ensaios (6).

Custo:

Não foi possível identificar orçamento fornecido pela parte autora.

Não foi possível identificar avaliações formais de custo-efetividade publicadas por órgãos como NICE, CADTH ou outras agências de avaliação de tecnologias em saúde (HTA) específicas para a vamorolona na DMD.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Melhora e manutenção da função motora por até 48 semanas de pequena magnitude, com menor comprometimento do crescimento linear e dos marcadores de saúde óssea do que os corticosteroides clássicos, ainda não tenha demonstrado equivalência definitiva à prednisona ou ao deflazacorte.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: vamorolona

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Embora os estudos disponíveis indiquem que a vamorolona possa melhorar e manter a função motora, especialmente na dose de 6 mg/kg/dia, com menor comprometimento do crescimento linear e dos marcadores de saúde óssea em comparação aos corticosteroides clássicos, as evidências ainda apresentam limitações, incluindo amostras pequenas, seguimento relativamente curto e comparação indireta com prednisona e deflazacorte, sem demonstração definitiva de equivalência, não inferioridade ou superioridade clínica, além de apresentar resultados de pequena magnitude em desfechos intermediários. Além disso, o medicamento não possui registro na ANVISA, não foi avaliado pela CONITEC e não integra o SUS, de modo que ainda não houve avaliação regulatória e de incorporação no contexto brasileiro quanto à sua eficácia, segurança e relação de custo-efetividade.

No caso concreto, também não foram apresentadas informações sobre os tratamentos farmacológicos e não farmacológicos já realizados, o tempo de utilização, a adesão, a resposta clínica ou a ocorrência de eventos adversos com os corticosteroides e as terapias de reabilitação disponíveis no SUS, o que impede verificar falha, contraindicação ou intolerância às alternativas atualmente acessíveis. Tampouco foi fornecido orçamento para o tratamento, nem foram identificadas avaliações formais de custo-efetividade aplicáveis ao medicamento, impossibilitando a avaliação de custos e o valor terapêutico adicional da tecnologia pleiteada. Assim, diante da ausência de registro sanitário nacional, de avaliação pela CONITEC, de informações suficientes sobre a resposta às opções ofertadas pelo SUS e de elementos econômicos mínimos, conclui-se de forma desfavorável ao provimento judicial do pleito neste momento.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas:

1. Ministério da Saúde. Biblioteca Virtual em Saúde. Distrofia muscular. 8 Jan 2016. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/dicas-em-saude/2194-distrofia-muscular>

2. Darras BT, Patterson MC, Firth H, Dashe JF. Duchenne and Becker muscular dystrophy: Clinical features and diagnosis [Internet]. Waltham (MA): UpToDate; 2026.
3. National Library of Medicine (US). AGAMREE: vamorolone kit [Internet]. Bethesda (MD): DailyMed; 2026.
4. Guglieri M, Clemens PR, Perlman SJ, et al. Efficacy and Safety of Vamorolone vs Placebo and Prednisone Among Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Clinical Trial. JAMA Neurol. 2022;79(10):1005–1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480
5. Dang UJ, et al. Efficacy and Safety of Vamorolone Over 48 Weeks in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy: A Randomized Controlled Trial. Neurology. 2024 Mar 12;102(5):e208112. doi: 10.1212/WNL.0000000000208112.
6. Clemens PR, Berglund A, Schiava M, James MK, McDermott MP, Bushby K, Lampa E, Rochford ETJ, Ward LM, Griggs RC, Hoffman EP, Guglieri M. Vamorolone for Duchenne Muscular Dystrophy: A Cross-Trial Efficacy Comparison With Classic Corticosteroids From the FOR-DMD Trial. Neurology. 2026 Jul 14;107(1):e214756. doi: 10.1212/WNL.0000000000214756. Epub 2026 May 27. Erratum in: Neurology. 2026 Sep 8;107(5):e218498. doi: 10.1212/WNL.0000000000218498.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: NAT-Jus Doenças Raras - HCPA/TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: De acordo com informações fornecidas pela parte autora (Num. 597533903), o paciente é portador de distrofia muscular de Duchenne (DMD). Apresenta discreta diminuição de força. Mantém a deambulação, clinicamente mantém função cardíaca e respiratória normais. Tem autismo nível 1 de suporte. Não foram informados tratamentos em curso ou já realizados.

Foi prescrito o medicamento vamorolona (Agamree®), de forma contínua (Num. 597533903). Não foi identificada manifestação da gestão do SUS sobre o pleito.

As distrofias musculares são um grupo de desordens caracterizadas por fraqueza e atrofia muscular de origem genética que ocorre pela ausência ou formação inadequada de proteínas essenciais para o funcionamento da fisiologia da célula muscular, cuja característica principal é o enfraquecimento progressivo da musculatura esquelética, prejudicando os movimentos (1). A distrofia muscular de Duchenne (DMD) caracteriza-se pela mutação do gene DMD, responsável pela codificação da proteína distrofina. Este gene, uma vez mutado, produz uma distrofina de tamanho inferior, não funcional. Desta forma, a integridade muscular é comprometida e o tecido passa a ser danificado mesmo quando executadas atividades cotidianas de baixo esforço. É uma forma grave de distrofia que apresenta, além do comprometimento motor, complicações cardíacas, respiratórias e cognitivas. É mais prevalente em homens e a perda da capacidade

motora é notável logo aos primeiros anos de vida, levando à necessidade de uso de cadeira de rodas para locomoção por volta dos 13 anos de idade, com expectativa de vida de, aproximadamente, três décadas (2).

A DMD é uma condição rara, cuja prevalência na Europa e América do Norte varia de 1,3 a 2,1/10.000 homens. O tratamento requer acompanhamento por equipe multiprofissional, com foco em terapia de reabilitação e manejo das complicações clínicas. É recomendado o uso de corticoesteróides. Nas últimas décadas, os laboratórios farmacêuticos têm investido em terapias gênicas para a DMD, a exemplo dos medicamentos golodirsena, eteplirsena e casimersena, cujo mecanismo é conhecido como salto de exon; e o atalureno, tecnologia reconhecida como read-through (1).