



DECLARAÇÃO INSTITUCIONAL SOBRE O MEDICAMENTO DAYBUE® (TROFINETIDE)

A Associação Brasileira de Síndrome de Rett – ABRE-TE, entidade de caráter técnico-científico e social, vem a público reconhecer a relevância do medicamento Daybue® (trofinetide) no tratamento da Síndrome de Rett à luz das evidências clínicas internacionais e do atual cenário regulatório.

Evidência científica

O Daybue foi o primeiro tratamento específico para Síndrome de Rett aprovado pelo FDA (EUA), em 2023, com base nos resultados positivos do estudo clínico pivotal LAVENDER (NCT04181723), que incluiu mais de 180 meninas e jovens adultas entre 5 e 20 anos.

Após o LAVENDER, os pacientes foram acompanhados em estudos de extensão:

- LILAC-1 (NCT04279314): 154 pacientes tratados por 40 semanas, com melhorias contínuas em parâmetros de comunicação, engajamento social e saúde geral.
- LILAC-2 (NCT04776746): 77 pacientes tratados por até 32 meses adicionais, confirmando benefícios sustentados a longo prazo, incluindo melhor comunicação, rastreamento ocular, uso funcional das mãos e maior interação social, além de impacto positivo relatado por cuidadores em suas próprias vidas.

Segurança

O perfil de segurança mostrou que os efeitos adversos mais comuns foram diarreia e vômitos, geralmente manejáveis. Importante ressaltar que não foram identificados novos problemas de segurança nos estudos prolongados, e as mortes registradas foram consideradas não relacionadas ao medicamento.

Importância para a comunidade

As melhorias relatadas nos estudos reforçam o potencial do Daybue em alterar a história natural da doença, trazendo ganhos significativos em qualidade de vida, comunicação e bem-estar de pacientes e familiares.

Situação regulatória no Brasil

Até o presente momento, o Daybue não possui registro na Anvisa. Contudo, por meio de acordo exclusivo entre a Acadia Pharmaceuticals e a FarmaMondo, há possibilidade de acesso regulado em diversos países, inclusive o Brasil, através de programas de acesso gerenciado para uso compassivo, dentro do arcabouço jurídico-legal vigente.

A ABRE-TE reforça sua posição favorável à incorporação do Daybue no Brasil, seja via registro sanitário junto à Anvisa, seja por meio de programas de acesso ampliado, sempre em conformidade com as exigências e legislação nacionais. Reconhecemos que se trata de uma terapia transformadora, com potencial de oferecer avanços inéditos para pacientes e famílias que convivem com a Síndrome de Rett.

São Paulo, 09/09/2025

Atenciosamente,

Associação Brasileira de Síndrome de Rett – ABRE-TE



Denise Marinho
Presidente

Paula Gödke
Vice-Presidente