Pesquisa e Ações em Saúde Pública

Edição XXIX



CAPÍTULO 18

DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE NO ENSINO EM SAÚDE: PROTAGONISMO ESTUDANTIL E DIÁLOGO SOCIAL

ALEX SANTOS OLIVEIRA[1]
ALÉRCIO DA SILVA SOUTILHA[2]
ISABELLA GIUNCO ESTIGARRIBIA[3]
MARIA VICTÓRIA BENITES RODRIGUES[3]
IGOR VICTOR DA SILVA[3]
VITOR SIMON ARAÚJO[3]
DEBORA DA SILVA BALDIVIA[1]
HELDER FREITAS DOS SANTOS[1]
PAOLA DOS SANTOS DA ROCHA[1]
KELY DE PICOLI SOUZA[1]

[1]Docente – Universidade Federal da Grande Dourados, Faculdade de Ciências Biológicas e Ambientais.
[2]Discente – Universidade Federal da Grande Dourados, Faculdade de Ciências Biológicas e Ambientais.
[3]Discente – Universidade Federal da Grande Dourados, Faculdade de Ciências da Saúde.

Palavras-chave: *Comunicação Científica; Investigação Científica; Integração Curricular.*

DOI **10.59290/0006162992**

EDITORA PASTEUR

INTRODUÇÃO

A formação em saúde exige a articulação de conhecimentos provenientes de diferentes áreas para a compreensão dos fenômenos biológicos, das condições de saúde e das possibilidades de intervenção. Entretanto, a organização do ensino superior em componentes curriculares e disciplinas específicas pode favorecer a fragmentação desses conhecimentos e dificultar a compreensão das relações entre diferentes níveis de organização. Nesse contexto, a integração curricular constitui uma dimensão relevante da formação em saúde, envolvendo a articulação de conteúdos, competências e experiências de aprendizagem, mesmo em um modelo de ensino tradicional. Estudos sobre a educação de diferentes profissionais da saúde, em especial medicina, têm proposto instrumentos para caracterizar e avaliar essa integração, destacando a necessidade de estabelecer relações mais explícitas entre os conhecimentos mobilizados na formação (ALLOUCH *et al*., 2024). Essa perspectiva está amplamente contemplada nas Diretrizes Curriculares do Curso de Medicina, atualizadas em 2025.

A integração de conhecimentos requer estratégias que favoreçam a participação ativa do estudante em seu processo de aprendizagem. Evidências na educação em ciência, tecnologia, engenharia e matemática (STEM) indicam que a aprendizagem ativa pode favorecer o desempenho acadêmico em relação a abordagens predominantemente expositivas. Em metanálise de 225 estudos, Freeman *et al*. (2014) observaram aumento do desempenho e redução da probabilidade de reprovação entre estudantes submetidos a estratégias de aprendizagem ativa. No ensino em saúde, essa abordagem pode ser ampliada pela aprendizagem baseada em investigação, na qual o estudante busca, seleciona, analisa e interpreta informações para construir respostas a questões relevantes. Na educação universitária dos profissionais da saúde, essa abordagem tem sido associada ao desenvolvimento de competências relacionadas à investigação, ao raciocínio e à aplicação do conhecimento (VERMA *et al*., 2023). Esse processo relaciona-se ao desenvolvimento do letramento científico, que envolve a compreensão dos processos de investigação, a análise e interpretação de informações e dados, o pensamento crítico e a comunicação do conhecimento científico. Mohan *et al*. (2020), em estudo com estudantes de Medicina, destacaram essas competências como componentes relevantes da formação científica. Assim, a aproximação com a literatura científica pode favorecer não apenas a aquisição de conhecimentos, mas também a capacidade de avaliar evidências e utilizá-las na construção de argumentos.

A comunicação científica constitui uma extensão desse processo formativo. A produção de conteúdos destinados a públicos não especializados exige seleção e avaliação de informações, organização de argumentos e adequação da linguagem, mantendo a precisão conceitual. Dessa forma, a divulgação científica pode atuar simultaneamente como produto e situação de aprendizagem, mobilizando letramento científico, pensamento crítico e capacidade de síntese. Na proposta apresentada neste capítulo, essa dimensão se concretiza na elaboração de um artigo de opinião baseado em evidências científicas e destinado a leitores não especializados.

Para operacionalizar essa integração, anteriormente descrita, a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) foi selecionada como eixo temático por possibilitar a articulação de conhecimentos de fisiologia muscular, biologia celular e molecular, genética, fisiopatologia, farmacologia, biotecnologia, terapias gênicas, investigação clínica, economia da saúde e acesso às tecnologias. A complexidade da doença

permite relacionar, de forma progressiva, a organização e a função do músculo esquelético à estrutura e à função da distrofina, às alterações no gene DMD, às manifestações clínicas e às estratégias terapêuticas. A investigação de novas terapias amplia essa abordagem para a metodologia científica e a biotecnologia, enquanto a discussão sobre custos e acesso incorpora dimensões da economia da saúde e das políticas de acesso.

A partir desse eixo integrador, o capítulo apresenta uma proposta de metodologia ativa integradora organizada em uma trajetória que parte da construção e do aprofundamento dos conhecimentos sobre a DMD, avança para a análise de estratégias terapêuticas e dos desafios de acesso, incorpora a investigação orientada de estudos científicos recentes e culmina na produção de comunicação científica para público não especializado. A inteligência artificial (IA) é utilizada transversalmente como ferramenta auxiliar de revisão, cabendo ao estudante verificar criticamente suas sugestões nas fontes científicas originais e manter a responsabilidade pela produção final.

O objetivo deste estudo foi apresentar uma proposta de metodologia ativa integradora com base no eixo articulador DMD.

MÉTODO

Trata-se de um estudo descritivo, de caráter didático-pedagógico, que apresenta uma metodologia ativa integradora para estudantes de graduação da área da saúde, utilizando a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) como eixo temático.

A proposta foi organizada em uma trilha formativa, fundamentada na integração curricular e na aprendizagem ativa, investigação científica e comunicação com a sociedade. As atividades contemplaram: (1) visualização de mapa mental e organização dos conhecimentos; (2) estudo das bases fisiológicas, celulares, moleculares e genéticas da DMD; (3) correlação entre mecanismos moleculares, manifestações clínicas e estratégias terapêuticas; (4) investigação orientada de estudos científicos recentes e discussão dos custos e desafios de acesso às tecnologias; e (5) elaboração de um artigo de opinião baseado em evidências científicas.

RESULTADOS E DISCUSSÃO

A distrofia muscular de Duchenne (DMD) é uma doença progressiva associada à redução da expectativa de vida. Com os avanços no tratamento cardíaco, suporte ventilatório e cuidados multidisciplinares, a sobrevida de pessoas com DMD tem aumentado, embora a doença ainda esteja associada a importante redução da expectativa de vida. As principais causas de morte são complicações cardíacas e respiratórias. No estudo denominado MD STARnet/CDC (THOMAS *et al*., 2022), com meninos nascidos entre 2000 e 2015, a idade média da confirmação diagnóstica foi de 4,9 anos. Os primeiros sinais apareceram, em média, aos 2,7 anos. Assim, a DMD permanece uma doença progressiva, associada à necessidade prolongada de cuidados e à redução da expectativa de vida. Entretanto, avanços recentes, incluindo terapias moleculares e gênicas, ampliaram as possibilidades de tratamento e modificaram as perspectivas para as pessoas afetadas. Dentre as terapias moleculares, os custos estão estimados em dezenas de milhões de reais. No contexto do Brasil, a pergunta é: Como o avanço da soberania nacional em engenharia genética terapêutica poderia mudar esse cenário?

A DMD como abordagem formativa nas áreas de Biotecnologia, Ciências Biológicas, Medicina, Fisioterapia e outras na Saúde, permite a construção de uma visão articulada entre conteúdos de diversas áreas e níveis de conheci-

mento (fisiologia muscular; biologia molecular; genética; fisiopatologia; farmacologia; biotecnologia; terapias gênicas; ensaios clínicos; economia da saúde; acesso a tecnologias; popularização da ciência). Fortemente integra conhecimentos moleculares e funcionais do sistema musculoesquelético com conhecimentos farmacológicos e biotecnológicos em uma perspectiva de engenharia genética aplicada à terapêutica. Adicionam-se, a todo este conjunto acadêmico-técnico-científico, as pessoas com DMD e sua necessidade urgente do avanço da ciência e da possibilidade de acesso a tratamentos efetivos.

Neste roteiro de estudo, foram organizados de forma sistemática materiais de apoio ao conhecimento dos principais elementos envolvidos na distrofia muscular de Duchenne (DMD) e indicações de leitura complementares com o objetivo de conduzir acadêmicos de graduação da área da saúde a compreender a função da distrofina; relacionar alterações moleculares às manifestações clínicas; identificar estratégias terapêuticas; analisar criticamente evidências científicas; discutir desafios de acesso às tecnologias.

A trilha formativa é estruturada em etapas progressivas de aprendizagem, que compreendem: a visualização do mapa mental, com a hierarquização dos principais conteúdos; a aquisição e o aprofundamento de conhecimentos, por meio dos materiais de apoio e das leituras indicadas, abrangendo a fisiologia do músculo esquelético, a estrutura e as funções da distrofina, as correlações entre os mecanismos moleculares, as manifestações clínicas e os desafios terapêuticos da DMD; a análise dos custos e dos desafios relacionados ao acesso aos tratamentos; a leitura e a busca orientada por novos estudos sobre estratégias terapêuticas para a DMD; e o desenvolvimento do protagonismo acadêmico na construção do conhecimento, na produção científica e no diálogo com a sociedade.

Ao final, esta metodologia ativa propõe uma atividade-síntese que pode representar um diálogo do estudante com a sociedade, ou seja, um material de divulgação-educação-popularização da ciência, um artigo de opinião com base em evidências científicas e acadêmicas no qual o protagonismo do acadêmico expressa a sua efetiva aprendizagem e visão crítica.

Mapa mental

O mapa mental (**Figura 18.1**) resume, em um panorama geral, as informações que serão apresentadas ao longo deste texto. Leia atentamente o mapa mental e identifique as categorias: (A) bases fisiológicas/fisiopatológicas; (B) aspectos clínicos e terapêuticos; (C) novos estudos para o tratamento da DMD.

Sistema muscular esquelético

O sistema muscular esquelético, ou musculoesquelético, corresponde a aproximadamente 50% de toda a massa corporal e é formado por cerca de 650 músculos. Estes, majoritariamente, estão ligados aos ossos corporais, juntamente com os tendões e ligamentos, e são responsáveis pela postura e movimentação corporal, incluindo andar, correr, pular, abaixar, levantar, falar, cuspir, piscar, mastigar, lavar, coçar e respirar, dentre outros. Em conjunto, direta ou indiretamente, a postura e os movimentos corporais são responsáveis por interações sociais variadas, alimentação e reprodução. Adicionalmente, o sistema muscular esquelético auxilia no retorno venoso do sangue, homeostase da glicose, reserva energética e manutenção da temperatura corporal.

A unidade funcional do sistema muscular esquelético é a fibra muscular. Uma célula alongada multinucleada formada pela fusão de miócitos durante a gestação e período pós-natal. O número de miócitos, resultante da hiperpla-

sia, é regulado por genes miogênicos, sendo os principais MyoD, Myf5, miogenina, MRF4 e miostatina. Na fase pós-natal há baixa expressão de miostatina, o principal regulador negativo da miogênese, o que induz ganho de massa muscular acelerado. Adicionalmente ao número, as fibras musculares podem sofrer aumento ou redução de seu conteúdo durante toda a vida, processos denominados de hipertrofia e atrofia muscular, respectivamente.

Figura 18.1 Distrofia muscular de Duchenne: bases moleculares, manifestações clínicas, diagnóstico e estratégias terapêuticas



Fonte: Elaborada com auxílio da IA ChatGPT para a organização e síntese de informações da literatura especializada. Revisada e ajustada pelos autores.

Materiais de apoio

A manutenção da qualidade de vida em qualquer idade depende, em grande parte, da capacidade de movimentação do sujeito, o que lhe confere autonomia em relação ao ambiente e, portanto, a qualidade de vida está diretamente ligada às fibras musculares esqueléticas. A própria capacidade vital de respirar está baseada na movimentação da caixa torácica por músculos esqueléticos. Essa célula possui uma citoarquitetura adaptada para sua função de contração e relaxamento. A unidade intracelular responsável por esse processo é o sarcômero. De forma orquestrada, os sarcômeros reunidos em miofibrilas se contraem e relaxam acompanhados de toda a estrutura celular. Proteínas contráteis, como actina e miosina, regulatórias, como troponina e tropomiosina, e estruturais, como titina, nebulina, tropomodulina, alfa-actinina e distrofina são os efetores desse processo. Falhas neste sistema podem ter grandes impactos sociais e psicológicos. Para melhorar os conhecimentos de base de fisiologia do sistema muscular, leia o capítulo "Músculos", da autora Silverthorn, no livro texto "Fisiologia Humana: uma abordagem integrada".

Embora o músculo esquelético tenha capacidade de regeneração a partir de células satélites, existem várias doenças relacionadas a este tecido. Dentre as doenças que afetam o sistema muscular esquelético, destacam-se as distrofias musculares. Nesta condição, há um enfraquecimento progressivo da musculatura que pode levar à morte. As principais distrofias musculares esqueléticas são: Miotônica, Du-

chenne, Becker, Distrofia muscular do tipo cinturas, Distrofia muscular facio-escapulo-umeral, Congênita, Distrofia muscular óculo-faríngea, Distrofia muscular distal e Emery-Dreifuss. Dentre estas, uma das mais graves é a distrofia muscular de Duchenne.

Anualmente, são diagnosticados cerca de 20 mil novos casos de distrofia muscular de Duchenne, uma doença progressiva que afeta um em cada 3500 meninos nascidos no mundo e pode levá-los à morte. Os tratamentos atuais convencionais disponíveis são predominantemente voltados à redução da progressão da doença, ao controle das manifestações clínicas e à manutenção da função e da qualidade de vida, portanto, insuficientes. Assim, há necessidade de novos avanços terapêuticos. Embora existam terapias moleculares aprovadas pela FDA para a DMD, elas não representam, até o momento, uma cura estabelecida para a doença. Adicionalmente, há dificuldades de acesso e alto custo.

Distrofina: a proteína-chave

Retomando a citoarquitetura molecular da fibra muscular (miofibra), destaca-se a distrofina, uma proteína estrutural fundamental das células musculares, localizada na face interna do sarcolema. A distrofina representa a ligação entre estrutura molecular – função – doença – tratamento. Na fibra muscular saudável, sua região N-terminal se liga aos filamentos de actina do citoesqueleto, enquanto outras regiões da proteína interagem com componentes do complexo distrofina-glicoproteínas, conectando o citoesqueleto ao ambiente extracelular, como mostra a **Figura 18.2**. Essa ligação contribui para a estabilidade e a integridade do sarcolema durante os ciclos de contração e relaxamento muscular. Além de sua função estrutural, a distrofina também participa da organização de proteínas envolvidas na sinalização celular.

Na distrofia muscular de Duchenne (DMD), mutações no gene DMD, localizado no cromossomo X, podem impedir a produção de uma distrofina funcional. Deleções ou duplicações que alteram o quadro de leitura podem gerar uma proteína truncada ou levar à produção de um códon de parada prematuro, resultando em ausência ou redução acentuada da distrofina funcional. Como consequência, a ligação entre o citoesqueleto e o sarcolema é comprometida, tornando a membrana da fibra muscular mais suscetível aos danos provocados pela contração. Esse processo favorece lesão e necrose das fibras musculares, inflamação e, progressivamente, substituição do tecido muscular por tecido fibrótico e adiposo.

Correlações clínicas e terapêuticas

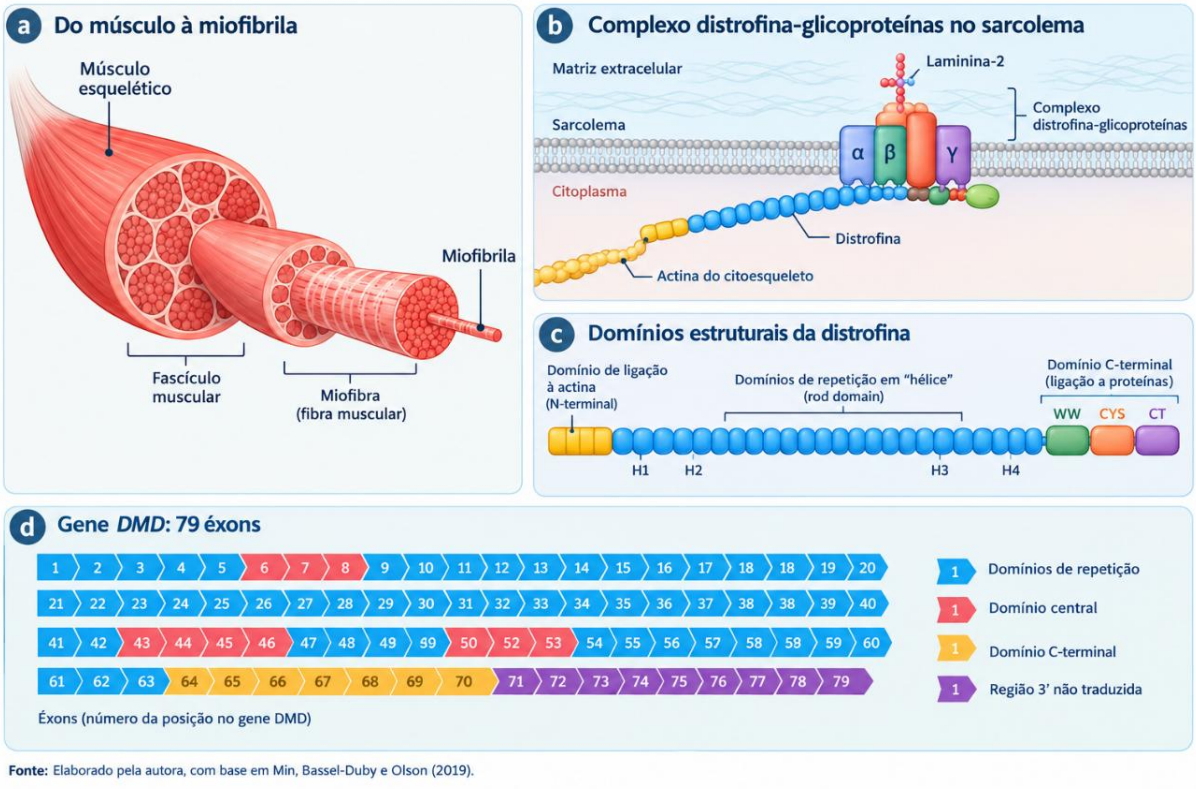
A manifestação predominante da DMD é a fraqueza muscular progressiva, inicialmente mais evidente nos músculos proximais dos membros inferiores. As crianças podem apresentar atraso nos marcos motores, quedas frequentes, dificuldade para correr, saltar, subir escadas ou levantar-se do chão, além de marcha anormal, frequentemente do tipo bamboleante. O sinal de Gowers, caracterizado pelo uso das mãos para auxiliar na elevação do corpo ao levantar-se do chão, é um achado clínico clássico. A pseudohipertrofia das panturrilhas, decorrente da substituição do tecido muscular por gordura e tecido fibroso, também é frequente.

As terapias atuais (documento da FDA de 29 de julho de 2026) para a DMD englobam tratamentos farmacológicos e genéticos. Estes tratamentos estão sumarizados na **Figura 18.3**, a seguir.

O mês de setembro é considerado o período de conscientização sobre a DMD, valorizando e divulgando histórias que destacam as experiên-

cias reais de pessoas afetadas pela distrofia muscular, escritas em suas próprias palavras. No Brasil, a Lei Nº 14.557/2023, institui o Dia Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne e a Semana Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne.

Figura 18.2 Organização estrutural da fibra muscular e da distrofina. (A) Organização do músculo esquelético até a miofibrila. (B) Complexo distrofina-glicoproteínas no sarcolema e interação da distrofina com a actina. (C) Principais domínios estruturais da distrofina. (D) Organização dos 79 éxons do gene *DMD* e sua relação com os domínios da proteína



Fonte: Elaborada pelos autores, com auxílio da IA ChatGPT, a partir de ZHANG *et al*. (2018); MIN; BASSEL-DUBY e OLSON (2019) e adaptada para fins didáticos

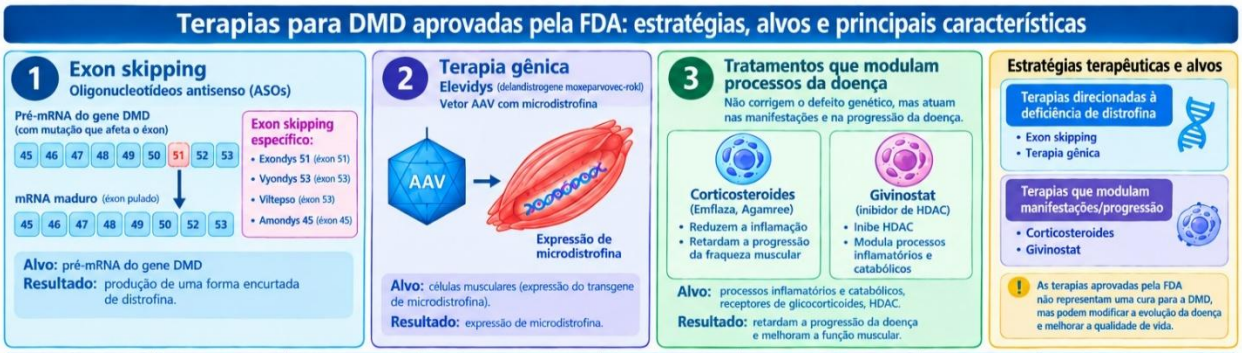
A Aliança Distrofia Brasil (ADB) é uma instituição privada e sem fins econômicos que reúne diversas ações, informações, perspectivas e pessoas com distrofia muscular no Brasil.

Custos e desafios relacionados ao acesso aos tratamentos

A DMD também representa um importante desafio econômico, tanto para as famílias quanto para os sistemas de saúde. O tratamento convencional exige acompanhamento multidisciplinar contínuo, incluindo fisioterapia, medicamentos, monitoramento cardíaco e respiratório e dispositivos de assistência. No Brasil, um estudo de microcusteio estimou o custo anual mediano de terapias convencionais de R$ 17.122,00 por paciente, com predominância dos custos domiciliares e da perda de produtividade. Entretanto, terapias moleculares de alto custo podem elevar substancialmente esse impacto financeiro. Em decisão judicial de 2020, por exemplo, o custo anual estimado do atalureno foi de aproximadamente R$ 1,3 milhão por paciente. Mais recentemente, a terapia gênica Elevidys chegou a apresentar custo estimado de aproximadamente R$ 20 milhões por dose no Brasil, embora seu registro tenha sido posteriormente cancelado em 2026. Esses

valores evidenciam o desafio de conciliar inovação terapêutica, sustentabilidade dos sistemas de saúde e acesso dos pacientes a tecnologias destinadas às doenças raras. Os valores apresentados correspondem a estimativas obtidas em contextos e períodos específicos e não devem ser interpretados como custos universais ou atuais do tratamento da DMD.

Figura 18.3 Terapias aprovadas pela FDA para a distrofia muscular de Duchenne (DMD). Principais estratégias terapêuticas aprovadas pela FDA para a DMD, incluindo *exon skipping*, terapia gênica e tratamentos que atuam sobre diferentes processos da doença, com seus respectivos produtos, mecanismos de ação, alvos e indicações



Estratégia	Produto (nome comercial)	Princípio ativo	Mecanismo de ação	Alvo	Elegibilidade genética (mutação passível de)	Ano de aprovação (FDA)	Observações principais
Terapias direcionadas à deficiência genética (Exon skipping)	Exondys 51	Eteplirsen	Oligonucleotídeo antisenso (éxon skipping)	Pré-mRNA do DMD	Mutação passível de éxon 51 skipping	2016 (acelerada)	Produção de forma encurtada de distrofina.
	Vyondys 53	Golodirsen	Oligonucleotídeo antisenso (éxon skipping)	Pré-mRNA do DMD	Mutação passível de éxon 53 skipping	2019 (acelerada)	Produção de forma encurtada de distrofina.
	Viltepso	Viltolarsen	Oligonucleotídeo antisenso (éxon skipping)	Pré-mRNA do DMD	Mutação passível de éxon 53 skipping	2020 (acelerada)	Mesmo alvo do Vyondys, mas com molécula diferente.
	Amondys 45	Casimersen	Oligonucleotídeo antisenso (éxon skipping)	Pré-mRNA do DMD	Mutação passível de éxon 45 skipping	2021 (acelerada)	Produção de distrofina encurtada. Indicação para mutações específicas.
Terapia gênica	Elevidys	Delandistrogene moxeparvovec-rokl	Vetor AAV com transgene de microdistrofina	Gene DMD (expressão de microdistrofina)	Mutação confirmada no gene DMD; pacientes ambulatoriais ≥4 anos	2023 (acelerada) 2024 (tradicional)	Indicação para pacientes ambulatoriais com DMD. Requer monitoramento hepático. Uso restrito a ≥4 anos.
Modulação da doença	Emflaza	Deflazacort	Corticosteroide	Inflamação	Independente da variante genética	2017	Retarda a progressão da doença. Uso contínuo.
	Agamree	Vamorolone	Corticosteroide (perfil distinto)	Inflamação	Independente da variante genética	2023	Menos efeitos adversos que corticosteroides convencionais. Uso contínuo.
	Duvyzat	Givinostat (inibidor de HDAC)	Inibidor de HDAC	Processos inflamatórios e catabólicos	Independente da variante genética	2024	Primeiro tratamento não esteroidal aprovado para DMD. Indicado para pacientes ≥6 anos.

Fonte: Elaborada pelos autores, com auxílio da IA ChatGPT, com base em informações da FDA, consultadas em 26 de setembro de 2026

Ensaios clínicos e novas estratégias terapêuticas

Os estudos científicos para aperfeiçoar e ampliar o tratamento da DMD podem ser acessados por meio de busca de dados no PubMed. Usando a estratégia de busca *"Dystrophin AND Duchenne muscular dystrophy AND treatment AND (vector-based gene therapy OR exon skipping OR gene therapy) NOT corticosteroids"; Clinical Trial; Publi-cation data 5 years* – retornaram 19 resultados, como mostra o *print* a seguir.

No artigo de Ansari *et al*., publicado em 10 de setembro de 2026, título traduzido "Novas fronteiras terapêuticas na distrofia muscular de Duchenne: terapia gênica, exon skipping e abordagens com células-tronco", os autores colocam que "os avanços recentes no tratamento trazem um otimismo renovado por meio de diversas estratégias inovadoras, como a edição genética CRISPR-Cas9, o salto de éxon mediado por oligonucleotídeos antisense (eteplirsen, golodirsen, viltolarsen e casimersen), a terapia gênica com microdistrofina utilizando vetores virais adenoassociados (AAV), a terapia de leitura de códon de parada e tratamentos baseados em células-tronco. Mas as dificuldades relacio-

nadas ao custo, à imunogenicidade, à eficácia e à especificidade da mutação persistem".

CONCLUSÃO

A Distrofia Muscular de Duchenne mostrou-se um eixo temático com potencial para integrar conhecimentos de diferentes áreas da saúde e organizar uma trajetória de aprendizagem ativa, investigativa e interdisciplinar. A proposta articula construção do conhecimento, análise de evidências, investigação científica e comunicação com público não especializado, favorecendo o protagonismo discente. A incorporação crítica da inteligência artificial como ferramenta de revisão amplia as possibilidades formativas sem substituir a autoria, a análise e a verificação científica. Assim, a metodologia proposta oferece uma estrutura didático-pedagógica que pode aproximar a formação acadêmica da prática científica e do diálogo com a sociedade.

REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

ALLOUCH, S. *et al*. Tools for measuring curriculum integration in health professions' education: a systematic review. BMC Medical Education, v. 24, n. 1, art. 635, p. 1-15, 2024. DOI: https://doi.org/10.1186/s12909-024-05618-5.

ANSARI, S. *et al*. Novel therapeutic frontiers in Duchenne muscular dystrophy: gene therapy, exon skipping, and stem cell approaches. Current Pharmaceutical Design, 2026. DOI: https://doi.org/10.2174/0113816128486412260828111209.

BRASIL. Justiça Federal de São Paulo. União terá de fornecer medicamento para irmãos com Distrofia Muscular de Duchenne. São Paulo: Justiça Federal de São Paulo, 10 jun. 2020. Atualizado em: 4 ago. 2026. Disponível em: https://www.jfsp.jus.br/comunicacao-publica/indice-noticias/noticias-2020/10062020-uniao-tera-de-fornecer-medicamento-para-irmaos-com-distrofia-muscular-de-duchenne. Acesso em: 26 set. 2026.

BRASIL. Lei nº 14.557, de 25 de abril de 2023. Institui o Dia Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne e a Semana Nacional de Conscientização sobre a Distrofia Muscular de Duchenne. Diário Oficial da União: seção 1, Brasília, DF, p. 3, 26 abr. 2023. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2023-2026/2023/lei/l14557.htm. Acesso em: 26 set. 2026.

BRASIL. Tribunal Regional Federal da 3ª Região. União deve fornecer medicamento a paciente com Distrofia Muscular de Duchenne. São Paulo: Tribunal Regional Federal da 3ª Região, 29 jan. 2024. Disponível em: https://web.trf3.jus.br/noticias-sjsp/Noticiar/ExibirNoticia/1167-uniao-deve-fornecer-medicamento-a-paciente-com-distrofia. Acesso em: 26 set. 2026.

CENTERS FOR DISEASE CONTROL AND PREVENTION. CDC is making a difference for people with muscular dystrophy. Atlanta: CDC, 2026. Disponível em: https://www.cdc.gov/muscular-dystrophy/awareness-month/index.html. Acesso em: 26 set. 2026.

ESTADOS UNIDOS. Food and Drug Administration. Amondys 45 (casimersen) injection: prescribing information. Silver Spring, MD: U.S. Food and Drug Administration, 2021. Disponível em: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2021/213026lbl.pdf. Acesso em: 26 set. 2026.

ESTADOS UNIDOS. Food and Drug Administration. Cellular, Tissue, and Gene Therapies Advisory Committee July 29, 2026 meeting briefing document: BLA 125842, drug: deramiocel. Silver Spring, MD: U.S. Food and Drug Administration, 2026. Disponível em: https://www.fda.gov/media/193839/download. Acesso em: 27 set. 2026.

ESTADOS UNIDOS. Food and Drug Administration. Exondys 51 (eteplirsen) injection: prescribing information. Silver Spring, MD: U.S. Food and Drug Administration, 2016. Disponível em: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2016/206488lbl.pdf. Acesso em: 26 set. 2026.

ESTADOS UNIDOS. Food and Drug Administration. Viltepso (viltolarsen) injection: prescribing information. Silver Spring, MD: U.S. Food and Drug Administration, 2020. Disponível em: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2020/212154s000lbl.pdf. Acesso em: 26 set. 2026.

ESTADOS UNIDOS. Food and Drug Administration. Vyondys 53 (golodirsen) injection: prescribing information. Silver Spring, MD: U.S. Food and Drug Administration, 2024. Disponível em: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2024/211970s010s011lbl.pdf. Acesso em: 26 set. 2026.

FREEMAN, S. *et al*. Active learning increases student performance in science, engineering, and mathematics. Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America, v. 111, n. 23, p. 8410–8415, 2014. DOI: https://doi.org/10.1073/pnas.1319030111.

MIN, Y. L.; BASSEL-DUBY, R.; OLSON, E. N. CRISPR correction of Duchenne muscular dystrophy. Annual Review of Medicine, v. 70, p. 239-255, 2019. DOI: https://doi.org/10.1146/annurev-med-081117-010451.

MOHAN, L. *et al*. Scientific literacy and the medical student: a cross-sectional study. National Medical Journal of India, v. 33, n. 1, p. 35–37, 2020. DOI: https://doi.org/10.4103/0970-258X.308242.

SILVERTHORN, D. U. Fisiologia humana: uma abordagem integrada. 7. ed. Porto Alegre: Artmed, 2017.

THOMAS, S. *et al*. Time to diagnosis of Duchenne muscular dystrophy remains unchanged: findings from the Muscular Dystrophy Surveillance, Tracking, and Research Network, 2000-2015. Muscle & Nerve, v. 66, n. 2, p. 193-197, 2022. DOI: https://doi.org/10.1002/mus.27532.

VERMA, S.; YACOB, M. S.; KIRPALANI, A. Outcomes of inquiry-based learning in health professions education: a scoping review. Canadian Medical Education Journal, v. 14, n. 2, p. 89–118, 2023. DOI: https://doi.org/10.36834/cmej.75144.

ZHANG, Y. *et al*. Myoediting: toward prevention of muscular dystrophy by therapeutic genome editing. Physiological Reviews, v. 98, n. 3, p. 1205-1240, 2018. DOI: https://doi.org/10.1152/physrev.00046.2017.