



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. července 2025
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Zamítnutí registrace přípravku Elevidys (delandistrogen moxeparvovec)

Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila zamítnout registraci přípravku Elevidys určeného k léčbě Duchenneovy svalové dystrofie.

Agentura vydala své stanovisko dne 24. července 2025. Společnost Roche Registration GmbH, která o registraci požádala, může do 15 dnů od obdržení stanoviska požádat o jeho přezkoumání.

Co je přípravek Elevidys a k čemu měl být používán?

Přípravek Elevidys byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě Duchenneovy svalové dystrofie, genetického onemocnění, které způsobuje rostoucí slabost a atrofii (ochabování) svalů. Byl určen pro děti ve věku od 3 do 7 let, které jsou schopné chůze.

Přípravek Elevidys obsahuje léčivou látku delandistrogen moxeparvovec a měl být podáván formou jednorázové infuze (kapačky) do žíly.

Dne 28. února 2020 byl přípravek Elevidys označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění. Přípravek měl být určen k léčbě Duchenneovy svalové dystrofie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Jak přípravek Elevidys funguje?

Pacientům s Duchenneovou svalovou dystrofií chybí normální dystrofin, protein (bílkovina), který se nachází především v kosterních svalech (svalích sloužících k pohybu) a v buňkách srdečního svalu. Jelikož tento protein pomáhá chránit svaly při jejich stahování a uvolňování před zraněním, u pacientů s uvedeným onemocněním svaly ochabují a nakonec přestávají fungovat.

Léčivá látka v přípravku Elevidys, delandistrogen moxeparvovec, je tvořena virem, který obsahuje genetický materiál k produkci zkrácené (kratší) verze dystrofinu. Léčivý přípravek měl zavádět genetický materiál do kosterních svalů a srdce. Jednorázová infuze měla pacientovi umožnit produkovat zkrácenou formu dystrofinu a zpomalit tak progresi onemocnění.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost představila údaje z hlavní studie, do které bylo zařazeno 125 dětí ve věku od 4 do 7 let s Duchenneovou svalovou dystrofií, které byly schopny chůze. Byla jim podána jedna infuze přípravku Elevidys nebo placebo (neúčinného přípravku). Hlavním měřítkem účinnosti byl vliv na schopnosti pohybu po dobu 12 měsíců, hodnocený pomocí standardní škály označované jako North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Jedná se o škálu v rozmezí od 0 do 34 bodů, přičemž vyšší skóre naznačuje lepší schopnosti pohybu.

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?

Studie neprokázala, že přípravek Elevidys měl po 12 měsících vliv na schopnosti pohybu. Zlepšení skóre NSAA byla pozorována u pacientů, kterým byl podáván přípravek Elevidys, i u pacientů, kterým bylo podáváno placebo. Rozdíl ve změně skóre NSAA mezi oběma skupinami činil 0,65 na 34bodové škále a nebyl statisticky významný, což znamená, že mohl být náhodný. Kromě toho, přestože se u mnoha pacientů léčených přípravkem Elevidys prokázala produkce kratší formy proteinu dystrofinu, nebylo možné prokázat spojitost mezi hladinou dystrofinu a zlepšením schopností pohybu.

Společnost také předložila údaje pro podskupinu pacientů, kteří podle všeho na přípravek Elevidys reagovali lépe. Ani v této skupině však nebyla prokázána účinnost léčby.

Společnost požádala o podmíněnou registraci. Vzhledem k tomu, že agentura zastávala stanovisko, podle něhož přínos přípravku Elevidys nebyl prokázán, doporučila podmíněnou registraci zamítnout.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazení do klinických studií. V současné době jsou všechny klinické studie s přípravkem Elevidys dočasně pozastaveny a přípravkem Elevidys není léčen žádný pacient. Pacienti, kteří byli dříve léčeni přípravkem Elevidys v rámci klinické studie, jsou nadále sledováni.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.