



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Elevidys (delandistrogen moxeparvovec)

Det Europæiske Lægemiddelagentur har anbefalet afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Elevidys, et lægemiddel til behandling af Duchennes muskeldystrofi.

Agenturet fremsatte sin udtalelse den 24. juli 2025. Virksomheden, der har ansøgt om godkendelse, Roche Registration GmbH, kan anmode om fornyet behandling af udtalelsen senest 15 dage efter at have modtaget den.

### Hvad er Elevidys, og hvad forventedes det anvendt til?

Elevidys blev udviklet som et lægemiddel til behandling af Duchennes muskeldystrofi, en genetisk sygdom, der medfører tiltagende muskelsvaghed og muskelsvind (atrofi). Det var beregnet til børn i alderen 3-7 år, som er i stand til at gå.

Elevidys indeholder det aktive stof delandistrogen moxeparvovec og skulle gives som en enkelt infusion (drop) i en vene.

Elevidys blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 28. februar 2020 til behandling af Duchennes muskeldystrofi. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: [ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250).

### Hvordan virker Elevidys?

Patienter med Duchennes muskeldystrofi mangler det normale dystrofin, et protein, der primært findes i skeletmuskulaturen (muskler til bevægelse) og kardiale muskelceller (muskelceller i hjertet). Da dette protein også bidrager til at beskytte musklerne mod skader, når musklerne spændes og afslappes, bliver musklerne gradvist svagere og holder til sidst op med at virke.

Det aktive stof i Elevidys, delandistrogen moxeparvovec, er fremstillet af et virus, der indeholder genetisk materiale til fremstilling af en trunckeret (kortere) version af dystrofin. Lægemidlet var designet til at føre det genetiske materiale ind i skeletmuskulaturen og hjertet. En enkelt infusion skulle sætte patienten i stand til at producere en afkortet form af dystrofin og dermed bremse sygdommens udvikling.

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?**

Virksomheden fremlagde data fra et hovedstudie hos 125 børn i alderen 4-7 år med Duchennes muskeldystrofi, som var i stand til at gå. De fik én infusion af enten Elevidys eller placebo (en uvirksom behandling). Det vigtigste mål for virkningen var udviklingen i bevægelsesevnen over 12 måneder, vurderet ved hjælp af en standardskala kaldet North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Skalaen går fra 0 til 34, hvor de højeste scorer angiver den bedste bevægelsesevne.

## **Hvad var hovedårsagerne til afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse?**

Studiet med Elevidys viste ikke nogen virkning på bevægelsesevnen efter 12 måneder. Der sås forbedringer i NSAA-scorer både hos de patienter, der fik Elevidys, og hos dem, der fik placebo. Forskellen i ændringen i NSAA-scorerne mellem de to grupper var 0,65 på en 34-punkts-skala og var ikke statistisk signifikant, hvilket vil sige, at den kan være tilfældig. Hertil kommer, at selvom mange patienter, der blev behandlet med Elevidys, viste sig at producere en kortere form af dystrofinproteinet, kunne dystrofinniveauet ikke kædes sammen med en forbedring af bevægelsesevnen.

Virksomheden fremlagde desuden data for en undergruppe af patienter, som syntes at respondere bedre på Elevidys. Selv i denne gruppe blev virkningen af behandlingen ikke påvist.

Virksomheden havde ansøgt om en betinget markedsføringstilladelse. Da agenturet var af den opfattelse, at fordelene ved Elevidys ikke var blevet påvist, anbefalede det afslag på ansøgningen om betinget markedsføringstilladelse.

## **Har dette afslag konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser?**

Virksomheden har til agenturet oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser. I øjeblikket sættes alle kliniske undersøgelser med Elevidys midlertidigt i bero, så ingen patienter behandles med Elevidys. Patienter, der tidligere er blevet behandlet med Elevidys i en klinisk undersøgelse, bliver fortsat blive fulgt nøje.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.