



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Elevidys (Delandistrogen moxeparvovec)

Die Europäische Arzneimittel-Agentur hat die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Elevidys, einem Arzneimittel zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie, empfohlen.

Die Agentur verabschiedete ihr Gutachten am 24. Juli 2025. Das Unternehmen, das die Zulassung beantragt hat, Roche Registration GmbH, kann innerhalb von 15 Tagen nach Erhalt der Stellungnahme eine erneute Prüfung des Gutachtens beantragen.

Was ist Elevidys und wofür sollte es angewendet werden?

Elevidys wurde als Arzneimittel zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie entwickelt, einer genetischen Erkrankung, die zu zunehmender Schwäche und Atrophie (Schwund) der Muskeln führt. Es sollte bei gehfähigen Kindern im Alter von 3 bis 7 Jahren angewendet werden.

Elevidys enthält den Wirkstoff Delandistrogen moxeparvovec und sollte als einzige Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene verabreicht werden.

Elevidys wurde am 28. Februar 2020 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Wie wirkt Elevidys?

Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie mangelt es an normalem Dystrophin, einem Protein, das hauptsächlich in den Skelettmuskeln (Muskeln zur Bewegung) und den Herzmuskelzellen zu finden ist. Da dieses Protein auch dazu beiträgt, die Muskeln vor Verletzungen zu schützen, wenn sich die Muskeln zusammenziehen und entspannen, werden die Muskeln bei Patienten mit der Erkrankung immer schwächer und hören schließlich auf zu arbeiten.

Der Wirkstoff in Elevidys, Delandistrogen moxeparvovec, besteht aus einem Virus, das genetisches Material zur Erzeugung einer verkürzten (kürzeren) Dystrophin-Version enthält. Das Arzneimittel wurde so konzipiert, dass das genetische Material in die Skelettmuskulatur und das Herz eingebracht wird. Eine einzelne Infusion sollte den Patienten in die Lage versetzen, eine verkürzte Form von Dystrophin zu produzieren und so das Fortschreiten der Erkrankung zu verlangsamen.



Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Daten aus einer Hauptstudie mit 125 gehfähigen Kindern mit Duchenne-Muskeldystrophie im Alter von 4 bis 7 Jahren vor. Sie erhielten eine Infusion entweder von Elevidys oder Placebo (eine Scheinbehandlung). Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war eine Auswirkung auf die Bewegungsfähigkeit über einen Zeitraum von 12 Monaten, beurteilt anhand einer Standardskala, der sogenannten North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Die Skala reicht von 0 bis 34, wobei höhere Punktzahlen auf bessere Bewegungsfähigkeiten hindeuten.

Was waren die Hauptgründe für die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen?

In der Studie konnte nicht nachgewiesen werden, dass Elevidys nach 12 Monaten Auswirkungen auf die Bewegungsfähigkeit hatte. Verbesserungen der NSAA-Scores wurden sowohl bei Patienten, die Elevidys erhielten, als auch bei Patienten, die Placebo erhielten, beobachtet. Der Unterschied bei der Änderung der NSAA-Scores zwischen den beiden Gruppen betrug 0,65 auf einer 34-Punkte-Skala und war statistisch nicht signifikant, was bedeutet, dass er möglicherweise auf Zufall beruht. Darüber hinaus konnte, obwohl viele mit Elevidys behandelte Patienten nachweislich eine kürzere Form des Dystrophin-Proteins produzieren, die Dystrophin-Konzentrationen nicht mit einer Verbesserung der Bewegungsfähigkeit in Verbindung gebracht werden.

Das Unternehmen legte auch Daten für eine Untergruppe von Patienten vor, die besser auf Elevidys zu reagieren schienen; die Wirksamkeit der Behandlung wurde jedoch selbst in dieser Gruppe nicht nachgewiesen.

Das Unternehmen hatte eine Genehmigung unter „besonderen Bedingungen“ für das Inverkehrbringen beantragt. Da die Agentur der Ansicht war, dass der Nutzen von Elevidys nicht nachgewiesen wurde, empfahl sie die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen unter „besonderen Bedingungen“.

Hat die Versagung Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen. Derzeit werden alle klinischen Studien mit Elevidys vorübergehend unterbrochen; es werden keine Patienten mit Elevidys behandelt. Patienten, die zuvor in einer klinischen Studie mit Elevidys behandelt wurden, werden weiterhin überwacht.

Sollten Sie an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.