



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 Ιουλίου 2025
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Elevidys (δελανδιστρογένη μοξεπαρβοβέκη)

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Elevidys, ένα φάρμακο που προορίζεται για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας Duchenne.

Ο Οργανισμός εξέδωσε τη γνώμη του στις 24 Ιουλίου 2025. Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, η Roche Registration GmbH, μπορεί να ζητήσει επανεξέταση της γνώμης εντός 15 ημερών από την παραλαβή της γνώμης.

Τι είναι το Elevidys και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Elevidys αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας Duchenne, μιας γενετικής νόσου που προκαλεί αυξανόμενη αδυναμία και ατροφία (εξασθένηση) των μυών. Επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε παιδιά ηλικίας 3 έως 7 ετών που μπορούν να βαδίζουν.

Το Elevidys περιέχει τη δραστική ουσία δελανδιστρογένη μοξεπαρβοβέκη και επρόκειτο να χορηγηθεί με εφάπαξ ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση).

Το Elevidys χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 28 Φεβρουαρίου 2020 για τη θεραπεία της μυϊκής δυστροφίας Duchenne. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Πώς δρα το Elevidys;

Οι ασθενείς με μυϊκή δυστροφία Duchenne παρουσιάζουν έλλειψη φυσιολογικής δυστροφίνης, μιας πρωτεΐνης η οποία υπάρχει κυρίως στους σκελετικούς μυς (μύες που χρησιμοποιούνται για την κίνηση) και στα μυϊκά κύτταρα της καρδιάς. Επειδή η πρωτεΐνη αυτή συμβάλλει επίσης στην προστασία των μυών από τραυματισμούς κατά τη σύσπαση και χαλάρωση των μυών, στους ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο αυτή οι μύες καθίστανται σταδιακά ασθενέστεροι και τελικά σταματούν να λειτουργούν.

Η δραστική ουσία του Elevidys, η δελανδιστρογένη μοξεπαρβοβέκη, παρασκευάζεται από ιό που περιέχει γενετικό υλικό για την παραγωγή κολοβωμένης (μικρότερης) δυστροφίνης. Το φάρμακο σχεδιάστηκε

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



για να εισαγάγει το γενετικό υλικό στους σκελετικούς μυς και στην καρδιά. Η εφάπαξ έγχυση σχεδιάστηκε με σκοπό να δοθεί η δυνατότητα στον ασθενή να παράγει μια μικρότερη μορφή δυστροφίνης και, ως εκ τούτου, να επιβραδύνει την εξέλιξη της νόσου.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε δεδομένα από μια βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 125 παιδιά ηλικίας 4 έως 7 ετών με μυϊκή δυστροφία Duchenne, τα οποία μπορούσαν να βαδίζουν. Οι ασθενείς έλαβαν μία έγχυση είτε Elevidys είτε εικονικού φαρμάκου (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η επίδραση στην ικανότητα κίνησης σε διάστημα 12 μηνών, η οποία αξιολογήθηκε με τη χρήση τυποποιημένης κλίμακας που ονομάζεται North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Η κλίμακα κυμαίνεται από το 0 έως το 34, με τις υψηλότερες βαθμολογίες να υποδεικνύουν καλύτερη ικανότητα κίνησης.

Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας;

Η μελέτη δεν κατάφερε να καταδείξει ότι το Elevidys επηρέασε τις ικανότητες κίνησης μετά από 12 μήνες. Παρατηρήθηκαν βελτιώσεις στις βαθμολογίες NSAA τόσο στους ασθενείς που έλαβαν Elevidys όσο και στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Η διαφορά στη μεταβολή των βαθμολογιών NSAA μεταξύ των δύο ομάδων ήταν 0,65 σε κλίμακα 34 βαθμών και δεν ήταν στατιστικά σημαντική, πράγμα που σημαίνει ότι μπορεί η μεταβολή αυτή να είναι τυχαία. Επιπλέον, αν και πολλοί ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με Elevidys αποδείχθηκε ότι παρήγαγαν μικρότερη μορφή της δυστροφίνης, τα επίπεδα δυστροφίνης δεν ήταν δυνατό να συνδεθούν με τη βελτίωση των ικανοτήτων κίνησης.

Η εταιρεία παρουσίασε επίσης δεδομένα για μια υποομάδα ασθενών που φαινόταν να ανταποκρίνονται καλύτερα στο Elevidys. Ωστόσο, ακόμη και στην ομάδα αυτή, δεν αποδείχθηκε η αποτελεσματικότητα της θεραπείας.

Η εταιρεία είχε υποβάλει αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας υπό όρους. Ο Οργανισμός, δεδομένου ότι διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Elevidys δεν έχουν καταδειχθεί, εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας υπό όρους.

Επηρεάζει η απόρριψη της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία πληροφόρησε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν επιπτώσεις για τους ασθενείς που συμμετέχουν στις κλινικές δοκιμές. Επί του παρόντος, όλες οι κλινικές δοκιμές με το Elevidys διακόπτονται προσωρινά. Κανένας ασθενής δεν υποβάλλεται σε θεραπεία με Elevidys. Οι ασθενείς που έχουν λάβει στο παρελθόν θεραπεία με Elevidys στο πλαίσιο κλινικής δοκιμής εξακολουθούν να παρακολουθούνται.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.