



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 de julio de 2025
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Denegación de la autorización de comercialización de Elevidys (delandistrogene moxeparvovec)

La Agencia Europea de Medicamentos ha recomendado denegar la autorización de comercialización de Elevidys, un medicamento destinado al tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne.

La Agencia emitió su dictamen el 24 de julio de 2025. La empresa que solicitó la autorización, Roche Registration GmbH, puede solicitar la revisión del dictamen en un plazo de 15 días a partir de la recepción del dictamen.

¿Qué es Elevidys y a qué uso estaba destinado?

Elevidys se desarrolló como medicamento para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne, una enfermedad genética que provoca un aumento de la debilidad y la atrofia (emaciación) de los músculos. Estaba destinado a ser utilizado en niños de entre 3 y 7 años capaces de caminar.

Elevidys contiene el principio activo delandistrogene moxeparvovec y debía administrarse en una sola perfusión (goteo en una vena).

Elevidys fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 28 de febrero de 2020 para la distrofia muscular de Duchenne. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

¿Cómo actúa Elevidys?

Los pacientes con distrofia muscular de Duchenne carecen de la distrofina normal, una proteína que se encuentra principalmente en los músculos esqueléticos (músculos utilizados para el movimiento) y en las células musculares cardíacas (del corazón). Dado que esta proteína también ayuda a proteger a los músculos contra lesiones cuando estos se contraen y se relajan, en los pacientes que sufren esta enfermedad los músculos se debilitan progresivamente y finalmente dejan de funcionar.

El principio activo de Elevidys, delandistrogene moxeparvovec, está compuesto de un virus que contiene material genético para producir una versión truncada (más corta) de la distrofina. El medicamento se diseñó para introducir el material genético en los músculos esqueléticos y el corazón.

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



Una única perfusión estaba destinada a permitir que el paciente produjera una forma más corta de distrofina y ralentizara así la progresión de la enfermedad.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó datos de un estudio principal en el que participaron 125 niños de entre 4 y 7 años con distrofia muscular de Duchenne capaces de caminar. Recibieron una perfusión de Elevidys o un placebo (un tratamiento ficticio). El criterio principal de valoración de la eficacia fue el efecto sobre la capacidad de movimiento a lo largo de 12 meses, evaluado mediante una escala normalizada denominada Evaluación Ambulatoria de North Star (NSAA). La escala oscila entre 0 y 34, y las puntuaciones más altas indican una mejor capacidad de movimiento.

¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar la autorización de comercialización?

El estudio no demostró que Elevidys tuviera un efecto sobre la capacidad de movimiento al cabo de 12 meses. Se observaron mejorías en las puntuaciones de NSAA tanto en los pacientes que recibieron Elevidys como en los que recibieron placebo. La diferencia en la variación de las puntuaciones de la NSAA entre los dos grupos fue de 0,65 en una escala de 34 puntos y no fue estadísticamente significativa, lo que significa que puede deberse al azar. Además, aunque se demostró que muchos pacientes tratados con Elevidys producían una forma más corta de la proteína de la distrofina, los niveles de distrofina no podían vincularse a una mejora de las capacidades de movimiento.

La empresa también presentó datos relativos a un subgrupo de pacientes que parecían responder mejor a Elevidys; sin embargo, ni siquiera en este grupo se demostró la eficacia del tratamiento.

La empresa había solicitado una autorización condicional de comercialización; dado que la Agencia estimaba que no se habían demostrado los beneficios de Elevidys, recomendó denegar la autorización condicional de comercialización.

¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que actualmente participan en ensayos clínicos. En la actualidad, todos los ensayos clínicos con Elevidys se han interrumpido temporalmente; no se está tratando a ningún paciente con Elevidys. Se sigue controlando a los pacientes que han sido tratados previamente con Elevidys en un ensayo clínico.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.