



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ravimi Elevidys (delandistrogeenmokseparvovek) müügiloa andmisest keeldumine

Euroopa Raviamet on soovitanud keelduda müügiloa andmisest ravimile Elevidys, mida kavatseti kasutada Duchenne'i lihasküüroopia raviks.

Amet esitas oma arvamuse 24. juulil 2025. Müügiloa taotluse esitanud ettevõtte Roche Registration GmbH võib taotleda arvamuse taasküüvataamist 15 päeva jooksul pärast arvamuse saamist.

Mis on Elevidys ja milleks kavatseti seda kasutada?

Elevidys töötati välja Duchenne'i lihasküüroopia ravimina. Duchenne'i lihasküüroopia on geneetiline haigus, mis põhjustab lihaste suurenevat nõrkust ja atroofiat (kühetumist). Ravimit kavatseti kasutada 3–7-aastastel küündimisvõimelistel lastel.

Elevidys sisaldab toimeainet delandistrogeenmokseparvovekit ja seda kavatseti manustada ühekordse veeniinfusioonina.

Elevidys nimetati 28. veebruaril 2020 Duchenne'i lihasküüroopia harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Kuidas Elevidys toimib?

Duchenne'i lihasküüroofiaga patsientidel puudub normaalne küütropiin ehk valk, mida esineb peamiselt skeletilihastes (lihased, mida kasutatakse liikumisel) ja südamelihase rakkudes. See valk aitab ka kaitsta lihaseid vigastuste eest lihaste kokkutõmbumisel ja lõdvestumisel, seepärast muutuvad lihased selle haigusega patsientidel üha nõrgemaks ja lõpuks enam ei toimi.

Elevidyse toimeaine delandistrogeenmokseparvovek on valmistatud viirusest, mis sisaldab küütropiini küüritud (lühema) versiooni tootmise geneetilist materjali. Ravim oli kavandatud geneetilise materjali sisestamiseks skeletilihastesse ja südamesse. Ühekordse infusiooni eesmärk oli küüvitada küütrofiini lühema vormi tootmine patsiendi organismis, mis aeglustaks haiguse küüvenemist.

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



Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas andmed põhiuuringust, milles osales 125 last vanuses 4–7 aastat, kellel oli Duchenne'i lihasdüstroofia ja kes suutsid kõndida. Neile manustati üks infusioon Elevidyst või platseebot (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli toime liikumisvõimele 12 kuu jooksul, mida hinnati standardskaalal North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Skaala on 0–34 ja suuremad skoorid tähendavad paremat liikumisvõimet.

Mis olid müügiloo andmisest keeldumise peamised põhjused?

Uuring ei tõendanud, et Elevidysel oleks toimet liikumisvõimele 12 kuu pärast. NSAA-skoorid suurenesid nii Elevidyst kui ka platseebot saanud patsientidel. Kummagi rühma NSAA-skooride erinevus oli 34-punktilisel skaalal 0,65 ja see ei olnud statistiliselt oluline, mis tähendab, et see võib olla juhuslik. Kuigi paljudel Elevidysegagi ravitud patsientidel tekkis valgu düstrofiini lühem vorm, ei saanud düstrofiinisaldust seostada liikumisvõime paranemisega.

Ettevõtte esitas ka andmed patsientide alarühma kohta, kes näisid paremini reageerivat Elevidysele, kuid isegi selles rühmas ei tõendatud ravi efektiivsust.

Ettevõtte oli taotlenud tingimuslikku müügiluba. Amet oli arvamisel, et Elevidyse kasulikkus ei ole tõendatud, mistõttu soovitas tingimusliku müügiloo andmisest keelduda.

Kas keeldumine mõjutab kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente. Praegu on kõik Elevidyse kliinilised uuringud katkestatud; Elevidysegagi ei ravita ühtki patsienti. Patsiente, keda on kliinilises uuringus varem Elevidysegagi ravitud, jälgitakse edasi.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.