



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Elevidys-lääkevalmiste (delandistrogeenimokseparvoveekki) myyntilupahakemuksen epääminen

Euroopan lääkevirasto suosittelee Duchennen lihasdystrofian hoitoon tarkoitetun Elevidys-lääkevalmiste myyntiluvan epäämistä.

Virasto antoi lausuntonsa 24. heinäkuuta 2025. Lupaa hakenut yhtiö, Roche Registration GmbH, voi pyytää lausunnon uudelleentarkastelua 15 päivän kuluessa lausunnon vastaanottamisesta.

Mitä Elevidys on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Elevidys kehitettiin lääkkeeksi Duchennen lihasdystrofian hoitoon. Duchennen lihasdystrofia on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa lihasten lisääntyvää heikkoutta ja surkastumista. Sitä oli tarkoitus käyttää 3–7-vuotiailla lapsilla, jotka pystyvät kävelemään.

Elevidysin vaikuttava aine on delandistrogeenimokseparvoveekki, ja sitä oli määrä antaa yhtenä infuusiona (tiputuksena) laskimoon.

Elevidys nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 28. helmikuuta 2020 Duchennen lihasdystrofian hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Miten Elevidys vaikuttaa?

Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu normaali dystrofiini. Dystrofiini on proteiini, jota esiintyy pääasiassa luustolihaksissa (liikuntaan käytettävissä lihaksissa) ja sydänlihassoluissa. Koska tämä proteiini auttaa myös suojaamaan lihaksia vaurioilta lihasten supistuessa ja rentoutuessa, Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden lihakset heikkenevät vähitellen ja lakkaavat lopulta toimimasta.

Elevidys-lääkevalmiste vaikuttava aine delandistrogeenimokseparvoveekki on valmistettu viruksesta, joka sisältää geneettistä materiaalia dystrofiinin katkaistun (lyhyemmän) version tuottamista varten. Lääkevalmiste oli suunniteltu tuomaan geneettistä materiaalia luustolihaksiin ja sydämeen. Yhden

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



infuusion tarkoituksena oli saada potilas tuottamaan dystrofiinin lyhyempää muotoa ja siten hidastaa taudin etenemistä.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot päätutkimuksesta, johon osallistui 125 Duchennen lihasdystrofiaa sairastavaa 4–7-vuotiaasta lasta, jotka pystyivät kävelemään. Heille annettiin yksi infuusio joko Elevidys-lääkevalmistetta tai lumelääkettä. Tehon pääasiallisena mittarina oli vaikutus liikkumiskykyyn 12 kuukauden aikana. Arviointiin käytettiin North Star Ambulatory Assessment (NSAA) -vakioasteikkoa. Asteikon vaihteluväli on 0–34, ja korkeammat pisteet tarkoittavat parempaa liikkumiskykyä.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Tutkimuksessa ei pystytty osoittamaan, että Elevidys-lääkevalmiste olisi vaikuttanut liikkumiskykyyn 12 kuukauden kuluttua. NSAA-pisteet paranivat sekä Elevidys-lääkevalmistetta saaneilla että lumelääkettä saaneilla potilailla. Ero NSAA-pistemäärän muutoksessa näiden kahden ryhmän välillä oli 34 pisteen asteikolla 0,65. Ero ei ollut tilastollisesti merkitsevä, joten se saattaa johtua sattumasta. Vaikka monien Elevidys-hoitoa saaneiden potilaiden osoitettiin tuottavan dystrofiiniproteiinin lyhyempää muotoa, dystrofiinipitoisuutta ei voitu yhdistää liikkumiskyvyn paranemiseen.

Yhtiö esitti tietoja myös sellaisten potilaiden alaryhmästä, jotka näyttivät reagoivan paremmin Elevidys-lääkevalmisteseen. Hoidon tehokkuutta ei kuitenkaan osoitettu tässäkään ryhmässä.

Yhtiö oli hakenut ehdollista myyntilupaa. Koska viraston kanta oli, että Elevidys-lääkevalmisteen hyötyä ei ole osoitettu, se suositteli ehdollisen myyntiluvan epäämistä.

Vaikuttaako epääminen kliinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että kliinisiin tutkimuksiin osallistuville potilaille ei aiheudu seurauksia. Tällä hetkellä kaikki Elevidys-lääkevalmisteeilla tehtävät kliiniset tutkimukset on keskeytetty väliaikaisesti, eikä potilaille anneta Elevidys-hoitoa. Potilaita, joita on aiemmin hoidettu Elevidys-lääkevalmisteeilla kliinisessä tutkimuksessa, seurataan edelleen.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele asiasta kliinisen tutkimuksen lääkärin kanssa.