



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Elevidys (delandistrogène moxeparvovec)

L'Agence européenne des médicaments a recommandé le refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Elevidys, un médicament destiné au traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne.

L'Agence a rendu son avis le 24 juillet 2025. La société ayant demandé l'autorisation, Roche Registration GmbH, peut demander un réexamen de l'avis dans un délai de 15 jours à compter de la réception de celui-ci.

Qu'est-ce qu'Elevidys et dans quel cas devait-il être utilisé?

Elevidys a été développé en tant que médicament destiné au traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne, une maladie génétique qui provoque une faiblesse et une atrophie (fonte) croissantes des muscles. Il était destiné à être utilisé chez les enfants âgés de 3 à 7 ans capables de marcher.

Elevidys contient la substance active delandistrogène moxeparvovec et devait être administré en une seule perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine.

Elevidys a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 28 février 2020 pour la dystrophie musculaire de Duchenne. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Comment Elevidys agit-il?

Les patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne ont une carence en dystrophine normale, une protéine présente principalement dans les muscles squelettiques (muscles utilisés pour le mouvement) et les cellules musculaires cardiaques. Étant donné que cette protéine contribue aussi à protéger les muscles contre les blessures à mesure lorsqu'ils se contractent et se relâchent, chez les patients atteints de la maladie, les muscles s'affaiblissent progressivement et finissent par cesser de fonctionner.

La substance active d'Elevidys, le delandistrogène moxeparvovec, est constituée d'un virus qui contient du matériel génétique permettant de produire une version tronquée (raccourcie) de la dystrophine. Le médicament a été conçu pour introduire le matériel génétique dans les muscles squelettiques et le

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



cœur. Une perfusion unique visait à permettre au patient de produire une forme abrégée de dystrophine et donc de ralentir la progression de la maladie.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté des données tirées d'une étude principale portant sur 125 enfants âgés de 4 à 7 ans atteints de dystrophie musculaire de Duchenne, capables de marcher. Ils ont reçu une perfusion d'Elevidys ou d'un placebo (un traitement fictif). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était un effet sur les capacités de mouvement sur une période de 12 mois, évalué à l'aide d'une échelle standard appelée «évaluation ambulatoire North Star» (NSAA). L'échelle varie de 0 à 34, les scores les plus élevés indiquant de meilleures capacités de mouvement.

Quels étaient les principaux motifs ayant conduit au refus de l'autorisation de mise sur le marché?

L'étude n'a pas démontré qu'Elevidys avait un effet sur les capacités de mouvement après 12 mois. Des améliorations des scores NSAA ont été observées tant chez les patients ayant reçu Elevidys que chez ceux ayant reçu le placebo. La différence de variation des scores NSAA entre les deux groupes était de 0,65 sur une échelle de 34 points et n'était pas statistiquement significative, ce qui signifie qu'elle peut être due au hasard. En outre, bien qu'il ait été démontré que de nombreux patients traités par Elevidys produisaient une forme abrégée de la protéine dystrophine, il n'a pas été possible d'établir un lien entre les taux de dystrophine et une amélioration des capacités de mouvement.

La société a également présenté des données pour un sous-groupe de patients qui semblaient mieux répondre à Elevidys; toutefois, même dans ce groupe, l'efficacité du traitement n'a pas été démontrée.

La société avait demandé une autorisation de mise sur le marché conditionnelle; étant donné que l'Agence estime que les bénéfices d'Elevidys n'ont pas été démontrés, elle a recommandé que l'autorisation de mise sur le marché conditionnelle soit refusée.

Ce refus a-t-il des conséquences pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques. Actuellement, tous les essais cliniques utilisant Elevidys sont temporairement interrompus; aucun patient n'est traité par Elevidys. Les patients qui ont été précédemment traités par Elevidys dans le cadre d'un essai clinique continuent d'être surveillés.

Si vous participez à un essai clinique et si vous souhaitez obtenir des informations supplémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.