



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Elevidys (delandistrogen mokseparvovek)

Europska agencija za lijekove preporučila je odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Elevidys, koji je namijenjen liječenju Duchenneove mišićne distrofije.

Agencija je mišljenje izdala 24. srpnja 2025. Tvrtka koja je podnijela zahtjev za izdavanje odobrenja, Roche Registration GmbH, može zatražiti preispitivanje mišljenja u roku od 15 dana od primitka mišljenja.

Što je Elevidys i za što se trebao koristiti?

Elevidys je razvijen kao lijek za liječenje Duchenneove mišićne distrofije, genetske bolesti koja uzrokuje sve veću slabost i atrofiju (propadanje) mišića. Lijek je bio namijenjen za primjenu u djece u dobi od tri do sedam godina koja mogu hodati.

Elevidys sadrži djelatnu tvar delandistrogen mokseparvovek i trebao se primjenjivati kao jedna infuzija (ukapavanje) u venu.

Lijek Elevidys uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti 28. veljače 2020. za Duchenneovu mišićnu distrofiju. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Kako djeluje Elevidys?

Bolesnici s Duchenneovom mišićnom distrofijom nemaju normalan distrofin, bjelančevinu koja se prvenstveno nalazi u skeletnim mišićima (mišićima koji se koriste za kretanje) i stanicama srčanog mišića (srca). Budući da ta bjelančevina također pomaže u zaštiti mišića od ozljeda kada se mišići stežu i opuštaju, u bolesnika s tom bolešću mišići postaju sve slabiji i na kraju prestaju raditi.

Djelatna tvar u lijeku Elevidys, delandistrogen mokseparvovek, proizvodi se od virusa koji sadržava genetski materijal za proizvodnju skraćene (kraće) verzije distrofina. Lijek je namijenjen za unošenje genetskog materijala u skeletne mišiće i srce. Jedna infuzija trebala je omogućiti bolesniku da proizvede skraćeni oblik distrofina i tako uspori napredovanje bolesti.

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



Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je dostavila podatke iz glavnog ispitivanja koje je obuhvatilo 125-ero djece u dobi između četiri i sedam godina s Duchenneovom mišićnom distrofijom koja su mogla hodati. Primili su jednu infuziju lijeka Elevidys ili placebo (prividnog liječenja). Glavno mjerilo djelotvornosti bio je učinak na sposobnosti kretanja tijekom 12 mjeseci, procijenjen na temelju standardne ljestvice pod nazivom North Star Ambulational Assessment (NSAA). Raspon ljestvice kreće se od 0 do 34, pri čemu viši rezultati ukazuju na bolje sposobnosti kretanja.

Koji su bili glavni razlozi za odbijanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet?

Ispitivanje nije pokazalo da je Elevidys imao učinak na sposobnost kretanja nakon 12 mjeseci. Poboljšanja rezultata na ljestvici NSAA primijećena su kako u bolesnika koji su primali lijek Elevidys tako i u bolesnika koji su primali placebo. Razlika u promjenama rezultata na ljestvici NSAA između dviju skupina iznosila je 0,65 na ljestvici od 34 boda i nije bila statistički značajna, što znači da bi to moglo biti slučajno. Osim toga, iako se pokazalo da mnogi bolesnici na terapiji lijekom Elevidys proizvode kraći oblik bjelančevine distrofina, razina distrofina nije se mogla povezati s većom sposobnošću kretanja.

Tvrtka je dostavila i podatke za podskupinu bolesnika za koje se činilo da bolje reagiraju na lijek Elevidys, međutim, čak ni u toj skupini nije dokazana učinkovitost liječenja.

Tvrtka je podnijela zahtjev za uvjetno odobrenje za stavljanje lijeka u promet. Budući da je mišljenje Agencije bilo da koristi od lijeka Elevidys nisu dokazane, preporučila je odbijanje uvjetnog odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Ima li ovo odbijanje posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike uključene u klinička ispitivanja. Trenutačno se sva klinička ispitivanja lijeka Elevidys privremeno prekidaju i nijedan bolesnik ne prima lijek Elevidys. Bolesnici koji su prethodno primali terapiju lijekom Elevidys u kliničkom ispitivanju i dalje se prate.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju i potrebno vam je više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.