



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Az Elevidys-re (delandisztrogén moxeparvovec) vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítása

Az Európai Gyógyszerügynökség a Duchenne-féle izomdisztrófia kezelésére szánt Elevidys-re vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta.

Az Ügynökség 2025. július 24-én adta ki véleményét. Az engedélyt kérelmező vállalat, a Roche Registration GmbH a vélemény kézhezvételétől számított 15 napon belül kérheti annak felülvizsgálatát.

### Milyen típusú gyógyszer az Elevidys és milyen alkalmazásra szánták?

Az Elevidys-t a Duchenne-féle izomdisztrófia, egy olyan genetikai betegség kezelésére fejlesztették ki, amely az izmok fokozódó gyengeségét és atrofiáját (elhalását) okozza. A gyógyszert 3 és 7 év közötti, járóképes gyermekeknél történő alkalmazásra szánták.

Az Elevidys hatóanyaga a delandisztrogén moxeparvovec, és vénába adott egyetlen infúzió formájában tervezték alkalmazni.

Az Elevidys-t 2020. február 28-án a Duchenne-féle izomdisztrófia vonatkozásában „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:  
[ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250).

### Hogyan fejti ki hatását az Elevidys?

A Duchenne-féle izomdisztrófiában szenvedő betegeknél hiányzik a rendes disztrofin, amely elsősorban a vázizmokban (a mozgásra használt izmokban) és a szív(szív)izomsejtekben található fehérje. Mivel ez a fehérje segít megvédeni az izmokat a sérüléstől, amikor azok összehúzódnak és elernyednek, a betegségben szenvedő betegeknél az izmok fokozatosan gyengülnek, és végül leáll a működésük.

Az Elevidys hatóanyaga, a delandisztrogén moxeparvovec olyan vírusból készül, amely genetikai anyagot tartalmaz a disztrofin csonkított (rövidebb) változatának előállításához. A gyógyszert úgy alakították ki, hogy a genetikai anyagot a vázizmokba és a szívbe juttassa. Az egyetlen infúzió célja annak lehetővé tétele volt, hogy a beteg szervezete csonkított disztrofint termeljen, és így lassítsa a betegség súlyosbodását.

**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](https://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?**

A vállalat egy fő vizsgálatból származó adatokat nyújtott be, amelyet 125, Duchenne-féle izomdisztrófiában szenvedő, 4 és 7 év közötti, járóképes gyermek részvételével végeztek. A gyermekek Elevidys vagy placebo infúziót (hatóanyag nélküli kezelés) kaptak. A hatásosság fő mutatója a mozgási képességekre gyakorolt hatás volt 12 hónap alatt, amelyet az North Star Ambulatory Assessment (NSAA) elnevezésű standard skála segítségével értékelték. A skála 0-tól 34-ig terjed, a magasabb pontszámok jobb mozgási képességeket jeleznek.

## **Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?**

A tanulmány nem mutatta ki, hogy az Elevidys 12 hónap elteltével hatással lett volna a mozgási képességekre. Az NSAA-pontszámok javulását figyelték meg mind az Elevidys-t kapó, mind a placebót kapó betegeknél. Az NSAA pontértékek változása a két csoport között 0,65 volt egy 34 pontos skálán, és nem volt statisztikailag szignifikáns, ami azt jelenti, hogy valószínűleg a véletlennek volt köszönhető. Ezenfelül, bár számos, Elevidys-szel kezelt beteg esetében bebizonyosodott, hogy a disztrofin fehérje rövidebb formáját termeli, a disztrofin szintjét nem lehetett összefüggésbe hozni a mozgási képességek javulásával.

A vállalat olyan betegek egy alcsoportjára vonatkozó adatokat is benyújtott, akik láthatóan jobban reagáltak az Elevidys-re; a kezelés hatékonyságát azonban még ebben a csoportban sem bizonyították.

A vállalat feltételes forgalombahozatali engedély iránti kérelmet nyújtott be; mivel az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy az Elevidys előnyeit nem igazolták, a feltételes forgalombahozatali engedély elutasítását javasolta.

## **Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?**

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a klinikai vizsgálatokban részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei. Jelenleg az Elevidys-szel végzett valamennyi klinikai vizsgálatot ideiglenesen felfüggesztették, és egyetlen beteget sem kezelnek Elevidys-szel. A klinikai vizsgálat során korábban Elevidys-szel kezelt betegeket továbbra is figyelemmel kísérik.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.