



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Elevidys (delandistrogene moxeparvovec)

L'Agenzia europea per i medicinali ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Elevidys, un medicinale destinato al trattamento della distrofia muscolare di Duchenne.

L'Agenzia ha reso detto parere il 24 luglio 2025. La ditta che ha presentato domanda di autorizzazione, Roche Registration GmbH, può chiedere il riesame del parere entro 15 giorni dal ricevimento dello stesso.

Che cos'è Elevidys e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Elevidys è stato sviluppato come medicinale per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne, una malattia genetica che causa una crescente debolezza e atrofia (deperimento) dei muscoli. Era destinato a essere utilizzato in bambini di età compresa tra i 3 e i 7 anni che sono in grado di camminare.

Elevidys contiene il principio attivo delandistrogene moxeparvovec e avrebbe dovuto essere somministrato in un'unica infusione (flebo) in vena.

Elevidys è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 28 febbraio 2020 per la distrofia muscolare di Duchenne. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Come agisce Elevidys?

I pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne presentano un deficit della normale distrofina, una proteina presente principalmente nei muscoli scheletrici (muscoli deputati al movimento) e nelle cellule muscolari cardiache. Poiché tale proteina contribuisce anche a proteggere i muscoli dalle lesioni quando si contraggono e si rilassano, nei pazienti affetti dalla malattia i muscoli diventano progressivamente più deboli fino a quando cessano di funzionare.

Il principio attivo di Elevidys, delandistrogene moxeparvovec, è costituito da un virus contenente materiale genetico per la produzione di una versione troncata (più corta) di distrofina. Il medicinale è stato concepito per introdurre tale materiale genetico nei muscoli scheletrici e nel cuore. Una singola

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



infusione doveva consentire al paziente di produrre una forma abbreviata di distrofina, rallentando così la progressione della malattia.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i dati di uno studio principale condotto su 125 bambini di età compresa tra 4 e 7 anni affetti da distrofia muscolare di Duchenne che erano in grado di camminare, ai quali è stata somministrata un'infusione di Elevidys o di placebo (un trattamento fittizio). La principale misura dell'efficacia era l'effetto sulla capacità motoria nell'arco di 12 mesi, valutato sulla base di una scala standard denominata North Star Ambulatory Assessment (NSAA). La scala va da 0 a 34, in cui i punteggi più alti indicano migliori capacità motoria.

Quali sono stati i motivi principali del rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

Lo studio non ha dimostrato che Elevidys avesse avuto effetto sulla capacità motoria dopo 12 mesi. Sono stati osservati miglioramenti nei punteggi della NSAA sia nei pazienti trattati con Elevidys sia in quelli ai quali era stato somministrato placebo. La differenza nella variazione dei punteggi NSAA tra i due gruppi, pari a 0,65 punti su una scala di 34 punti, non era statisticamente significativa, per cui poteva anche essere casuale. Inoltre, sebbene si fosse evidenziato che molti pazienti trattati con Elevidys producevano una forma più corta di distrofina, i livelli di tale proteina non erano collegabili a un miglioramento della capacità motoria.

La ditta ha inoltre presentato dati relativi a un sottogruppo di pazienti che sembravano rispondere meglio a Elevidys; tuttavia, l'efficacia del trattamento non è stata dimostrata nemmeno in questo gruppo.

La ditta aveva presentato una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni; tuttavia l'Agenzia ha ritenuto che i benefici di Elevidys non fossero stati dimostrati e ha raccomandato il rifiuto della suddetta autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni.

Quali sono le conseguenze del rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici. Attualmente, tutte le sperimentazioni cliniche con Elevidys sono temporaneamente sospese e nessun paziente è in trattamento con il medicinale. I pazienti precedentemente trattati con Elevidys nell'ambito di una sperimentazione clinica continuano a essere monitorati.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.