



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. liepos 25 d.
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Atsisakymas suteikti Elevidys (delandistrogeno mokseparvoveko) registracijos pažymėjimą

Europos vaistų agentūra rekomendavo nesuteikti Elevidys – Diušeno raumenų distrofijai gydyti skirto vaisto – registracijos pažymėjimo.

Savo nuomonę Agentūra pateikė 2025 m. liepos 24 d. Paraišką gauti registracijos pažymėjimą pateikusi bendrovė „Roche Registration GmbH“ per 15 dienų nuo šios nuomonės gavimo gali paprašyti persvarstyti priimtą nuomonę.

Kas yra Elevidys ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Elevidys buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas gydyti Diušeno raumenų distrofiją – genetinę ligą, kuri sukelia didėjančią raumenų silpnumą ir atrofiją (raumenų masės mažėjimą). Šį vaistą buvo numatyta skirti 3–7 metų vaikams, kurie gali vaikščioti.

Elevidys sudėtyje yra veikliosios medžiagos delandistrogeno mokseparvoveko, ir jį buvo numatyta vartoti vienkartinės infuzijos būdu (lašinti į veną).

2020 m. vasario 28 d. Elevidys priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal Diušeno raumenų distrofijos indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Kaip veikia Elevidys?

Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų organizme trūksta normalaus distrofino – baltymo, kurio daugiausia yra skeleto raumenyse (judėjimo raumenyse) ir širdies raumens ląstelėse. Kadangi šis baltymas taip pat padeda apsaugoti raumenis nuo sužeidimo, kai jie susitraukia ir atsipalaiduoja, sergančių pacientų raumenys palaipsniui silpnėja ir galiausiai nustoja funkcionuoti.

Elevidys veiklioji medžiaga delandistrogeno mokseparvovekas yra pagamintas iš viruso, kurio sudėtyje yra genetinės medžiagos, skirtos gaminti sutrumpėjusią (trumpesnę) distrofino versiją. Vaistas sukurtas taip, kad genetinę medžiagą būtų galima įterpti į skeleto raumenis ir širdį. Buvo numatyta, kad atlikus vieną infuziją paciento organizme susidarys sutrumpėjusios formos distrofinas ir taip sulėtės ligos progresavimas.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo eiti galintys 125 vaikai nuo 4 iki 7 metų, sergantys Diušeno raumenų distrofija, duomenis. Jiems buvo skirta viena Elevidys arba placebo (preparato be veikliosios medžiagos) infuzija. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo poveikis gebėjimui judėti per 12 mėnesių laikotarpį, vertinamas pagal standartinę skalę „North Star Ambulatory Assessment“ (NSAA). Ši skalė apima vertinimą balais nuo 0 iki 34. Didesnis balas reiškia geresnį gebėjimą judėti.

Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota nesuteikti registracijos pažymėjimo?

Tyrimas nepatvirtino Elevidys poveikio gebėjimui judėti po 12 mėnesių gydymo. Pagerėjo tiek Elevidys vartojusių, tiek placebo vartojusių pacientų balai pagal NSAA skalę. Balų pagal NSAA skalę pokyčio skirtumas tarp šių dviejų grupių buvo 0,65 balo pagal 34 balų skalę ir nebuvo statistiškai reikšmingas, o tai reiškia, kad jis galėjo būti atsitiktinis. Be to, nors nustatyta, kad daugelio Elevidys gydytų pacientų organizme susidaro trumpesnės formos distrofino baltymas, distrofino kiekio nebuvo galima susieti su gebėjimo judėti pagerėjimu.

Bendrovė taip pat pateikė pogrupio pacientų, kuriems pasireiškė, regis, geresnis atsakas į gydymą Elevidys, tačiau net ir šioje grupėje gydymo veiksmingumas nebuvo įrodytas.

Bendrovė pateikė paraišką gauti sąlyginės registracijos pažymėjimą. Kadangi Agentūra laikėsi nuomonės, kad Elevidys nauda neįrodyta, ji rekomendavo nesuteikti sąlyginės registracijos pažymėjimo.

Ar šis atsisakymas turės pasekmių pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad tai neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose. Šiuo metu visi Elevidys klinikiniai tyrimai yra laikinai sustabdyti; šiuo metu Elevidys negydomas nė vienas pacientas. Pacientai, anksčiau gydyti Elevidys atliekant klinikinį tyrimą, toliau stebimi.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.