



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. gada 25. jūlijs
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Elevidys (delandistrogēna mokseparvoveka) reģistrācijas apliecības atteikums

Eiropas Zāļu aģentūra ir ieteikusi atteikt reģistrācijas apliecību zālēm *Elevidys*, kas paredzētas Dišēna muskuļu distrofijas ārstēšanai.

Aģentūra sniedza atzinumu 2025. gada 24. jūlijā. Uzņēmums, kas iesniedzis reģistrācijas pieteikumu, *Roche Registration GmbH*, 15 dienu laikā pēc atzinuma saņemšanas var lūgt pārskatīt atzinumu.

Kas ir *Elevidys* un kādam nolūkam tās bija paredzēts lietot?

Elevidys tika izstrādātas kā zāles Dišēna muskuļu distrofijas ārstēšanai. Tā ir ģenētiska slimība, kas izraisa progresējošu muskuļu vājumu un atrofiju (apjoma samazināšanos). Tās bija paredzētas lietošanai bērniem vecumā no trim līdz septiņiem gadiem, kuri spēj staigāt.

Elevidys satur aktīvo vielu delandistrogēna mokseparvoveku, un tās bija paredzēts ievadīt vēnā ar vienu infūziju (pa pilienam).

Elevidys 2020. gada 28. februārī tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss Dišēna muskuļu distrofijas ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē:

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

Kā *Elevidys* darbojas?

Dišēna muskuļu distrofijas pacientiem trūkst normāla distrofīna — proteīna, kas atrodams galvenokārt skeleta muskuļos (muskuļos, kas tiek izmantoti kustībām) un kardiālās (sirds) muskuļu šūnās. Tā kā šis proteīns arī palīdz aizsargāt muskuļus no traumām, muskuļiem saraužoties un atslābinoties, pacientiem ar šo slimību muskuļi pakāpeniski kļūst vājāki un galu galā pārstāj darboties.

Elevidys aktīvā viela delandistrogēna mokseparvoveks ir izgatavota no vīrusa, kas satur ģenētisku materiālu saīsinātas (īsākas) distrofīna versijas ražošanai. Zāles bija paredzētas ģenētiskā materiāla ievadīšanai skeleta muskuļos un sirdī. Bija paredzēta viena infūzija, lai pacienta organisms spētu veidot saīsinātu distrofīna formu un tādējādi palēninātu slimības progresēšanu.

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



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza datus no pamatpētījuma par 125 bērniem vecumā no četriem līdz septiņiem gadiem, kuri slimoja ar Dišēna muskuļu distrofiju un spēja staigāt. Viņi saņēma vienu *Elevidys* vai placebo (neīsta ārstēšanas līdzekļa) infūziju. Galvenais efektivitātes rādītājs bija ietekme uz kustību spējām 12 mēnešu laikā, ko novērtēja, izmantojot standarta skalu *North Star Ambulatory Assessment* (NSAA). Skalas diapazons ir no 0 līdz 34, un augstāki rādītāji norāda uz labākām kustību spējām.

Kādi bija galvenie iemesli reģistrācijas apliecības atteikumam?

Pētījumā neizdevās pierādīt, ka *Elevidys* pēc 12 mēnešiem būtu ietekmējis kustību spējas. NSAA punktu skaita uzlabošanās tika novērota gan pacientiem, kuri saņēma *Elevidys*, gan pacientiem, kuri saņēma placebo. NSAA punktu skaita izmaiņu atšķirība starp abām grupām bija 0,65 pēc 34 punktu skalas un nebija statistiski nozīmīga, kas nozīmē, ka tā var būt saistīta ar nejaušību. Turklāt, lai gan tika pierādīts, ka daudzi pacientiem, kurus ārstēja ar *Elevidys*, organismā veidojas īsāka distrofīna proteīna forma, distrofīna līmeni nebija iespējams saistīt ar kustību spēju uzlabošanu.

Uzņēmums iesniedza arī datus par pacientu apakšgrupu, kurai, šķiet, bija labāka atbildes reakcija pret *Elevidys*, taču pat šajā grupā ārstēšanas efektivitāte netika pierādīta.

Uzņēmums bija iesniedzis pieteikumu reģistrācijas apliecības ar nosacījumiem saņemšanai; tā kā aģentūra uzskatīja, ka *Elevidys* ieguvumi nav pierādīti, tā ieteica atteikt reģistrācijas apliecības ar nosacījumiem izsniegšanu.

Vai šis atteikums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja Aģentūru, ka tas neietekmē pacientus, kuri pašlaik piedalās klīniskajos pētījumos. Pašlaik visi klīniskie pētījumi ar *Elevidys* uz laiku ir pārtraukti; neviens patients netiek ārstēts ar *Elevidys*. Turpina uzraudzīt pacientus, kuri klīniskajā pētījumā iepriekš ārstēti ar *Elevidys*.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par ārstēšanu, konsultējieties ar savu klīniskā pētījuma ārstu.