



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 ta' Lulju 2025
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Elevidys (delandistrogene moxeparvovec)

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini rrakkomandat ir-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Elevidys, mediċina maħsuba għall-kura tad-distrofija muskolari ta' Duchenne.

L-Aġenzija ħarġet l-opinjoni tagħha fl-24 ta' Lulju 2025. Il-kumpanija li applikat għall-awtorizzazzjoni, Roche Registration GmbH, tista' titlob rieżami tal-opinjoni fi żmien 15-il jum minn meta tircievi l-opinjoni.

X'inhu Elevidys u għal xiex kien mistenni li jintuża?

Elevidys ġie żviluppat bħala mediċina għall-kura tad-distrofija muskolari ta' Duchenne, marda ġenetika li tikkawża żieda fid-dgħufija u atrofija (ħela) tal-muskoli. Kien maħsub biex jintuża fi tfal ta' bejn 3 snin u 7 snin li jistgħu jimxu.

Elevidys fih is-sustanza attiva delandistrogene moxeparvovec u kellu jingħata bħala infużjoni waħda (dripp) ġo vina.

Elevidys kien ikklassifikat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-28 ta' Frar 2020 għad-distrofija muskolari ta' Duchenne. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Kif jaħdem Elevidys?

Il-pazjenti bid-distrofija muskolari ta' Duchenne għandhom nuqqas ta' distrofin normali, proteina li tinstab primarjament fil-muskoli skeletriċi (il-muskoli użati għall-moviment) u ċelloli tal-muskoli kardijaci (tal-qalb). Minħabba li din il-proteina tgħin ukoll biex tipproteġi l-muskoli mill-korriment hekk kif il-muskoli jikkontrattaw u jirrilassaw, f'pazjenti bil-marda, il-muskoli jsiru progressivament aktar dgħajfa u eventwalment jieqfu jaħdmu.

Is-sustanza attiva f'Elevidys, id-delandistrogene moxeparvovec, hija magħmula minn virus li fih materjal ġenetiku għall-produzzjoni ta' verżjoni tronkata (iqsar) ta' distrofin. Il-mediċina kienet imfassla biex tintroduci l-materjal ġenetiku fil-muskoli skeletriċi u fil-qalb. Infużjoni waħda kienet maħsuba biex tippermetti lill-pazjent jipproduci forma mqassra ta' distrofin u b'hekk inaqqas il-progressjoni tal-marda.

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



X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat *data* minn studju ewlieni f'125 tifel u tifla ta' bejn 4 snin u 7 snin b'distrofija muskolari ta' Duchenne li setgħu jimxu. Inghataw infużjoni waħda ta' Elevidys jew ta' placebo (kura finta). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien effett fuq il-kapaċitajiet ta' moviment matul 12-il xahar, ivvalutati bl-użu ta' skala standard imsejha North Star Ambulatory Assessment (NSAA). L-iskala tvarja minn 0 sa 34, b'punteġġi ogħla li jindikaw kapaċitajiet aħjar ta' moviment.

X'kienu r-raġunijiet ewlenin għar-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq?

L-istudju naqas milli juri li Elevidys kellu effett fuq il-kapaċitajiet ta' moviment wara 12-il xahar. Gie osservat titjib fil-punteġġi NSAA kemm f'pazjenti li ngħataw Elevidys kif ukoll f'dawk li ngħataw placebo. Id-differenza fil-bidla fil-punteġġi tal-NSAA bejn iż-żewġ gruppi kienet ta' 0.65 fuq skala ta' 34 punt u ma kinitx statistikament sinifikanti, li jfisser li tista' tkun b'kumbinazzjoni. Barra minn hekk, għalkemm intwera li hafna pazjenti kkurati b'Elevidys jipproduċu forma iqsar tal-proteina distrofin, ma setgħetx tinstab rabta bejn il-livelli ta' distrofin u t-titjib fil-kapaċitajiet ta' moviment.

Il-kumpanija pprezentat ukoll *data* għal sottogrupp ta' pazjenti li dehru li kienu jirrispondu aħjar għal Elevidys; madankollu, anki f'dan il-grupp, l-effikaċja tal-kura ma ntwerietx.

Il-kumpanija kienet applikat għal awtorizzazzjoni kundizzjonali għat-tqegħid fis-suq; peress li l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li l-benefiċċji ta' Elevidys ma ntwerewx, hija rrakkomandat li tiġi rrifjutata awtorizzazzjoni kundizzjonali għat-tqegħid fis-suq.

Dan ir-rifjut jaffettwa lill-pazjenti fi provi kliniċi?

Il-kumpanija infurmat lill-Aġenzija li ma hemm l-ebda konsegwenza għall-pazjenti li bħalissa huma għaddejjin minn provi kliniċi. Bħalissa, il-provi kliniċi kollha b'Elevidys twaqqfu b'mod temporanju; l-ebda pazjent mhu qed jiġi kkurat b'Elevidys. Il-pazjenti li fil-passat kienu ġew ikkurati b'Elevidys fi prova klinika jkomplu jiġu mmonitorjati.

Jekk inti qed tiegħu sehem fi prova klinika u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, tkellem mat-tabib tal-prova klinika tiegħek.