



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Elevidys (delandistrogene moxeparvovec)

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geadviseerd de vergunning voor het in de handel brengen van Elevidys, een geneesmiddel bedoeld voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne, te weigeren.

Het Geneesmiddelenbureau heeft zijn advies op 24 juli 2025 uitgebracht. Roche Registration GmbH, het bedrijf dat de aanvraag indiende, kan binnen 15 dagen na ontvangst van het advies vragen om een heronderzoek.

Wat is Elevidys en voor welke behandeling was het bedoeld?

Elevidys werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne, een genetische aandoening die toenemende zwakte en atrofie (wegkwijnen) van spieren veroorzaakt. Het was bedoeld om te worden gebruikt bij kinderen van 3 tot 7 jaar die nog kunnen lopen.

Elevidys bevat de werkzame stof delandistrogene moxeparvovec en zou worden toegediend als één infusie (indruppeling) in een ader.

Elevidys werd op 28 februari 2020 voor spierdystrofie van Duchenne aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Hoe werkt Elevidys?

Patiënten met spierdystrofie van Duchenne hebben een tekort aan normale dystrofine, een eiwit dat voornamelijk in skeletspieren (spieren gebruikt voor bewegingen) en hartspiercellen wordt aangetroffen. Omdat dit eiwit ook helpt om spieren tegen letsel te beschermen wanneer ze samentrekken en ontspannen, raken de spieren bij patiënten met deze ziekte steeds zwakker en werken ze uiteindelijk niet meer.

De werkzame stof in Elevidys, delandistrogene moxeparvovec, is gemaakt van een virus dat genetisch materiaal bevat voor de productie van een afgeknotte (kortere) versie van dystrofine. Het geneesmiddel was ontworpen om het genetische materiaal in de skeletspieren en het hart te

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



introduceren. Eén enkele infusie was bedoeld om de patiënt in staat te stellen een kortere versie van dystrofine te produceren en zo de progressie van de ziekte te vertragen.

Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf heeft gegevens ingediend van een hoofdstudie onder 125 kinderen tussen 4 en 7 jaar oud met spierdystrofie van Duchenne die in staat waren om te lopen. Zij kregen één infusie met Elevidys dan wel placebo (een schijnbehandeling). De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was het effect op het bewegingsvermogen gedurende twaalf maanden, dat werd beoordeeld aan de hand van de standaardschaal North Star Ambulatory Assessment (NSAA). De schaal loopt van 0 tot 34, waarbij hogere scores wijzen op een beter bewegingsvermogen.

Wat waren de voornaamste redenen om de handelsvergunning te weigeren?

Uit het onderzoek bleek niet dat Elevidys na twaalf maanden een effect had op het bewegingsvermogen. Er werden verbeteringen in de NSAA-scores waargenomen bij zowel patiënten die Elevidys kregen als patiënten die placebo kregen. Het verschil in de NSAA-scores tussen de twee groepen was 0,65 op een schaal van 34 punten en was statistisch niet significant. Dit betekent dat het mogelijk aan toeval te wijten was. Hoewel veel met Elevidys behandelde patiënten een kortere versie van het dystrofine-eiwit bleken te produceren, kon het dystrofine-gehalte bovendien niet in verband worden gebracht met een verbetering van het bewegingsvermogen.

Het bedrijf heeft ook gegevens gepresenteerd voor een subgroep van patiënten die beter op Elevidys leken te reageren; zelfs in deze groep werd de werkzaamheid van de behandeling echter niet aangetoond.

Het bedrijf had een voorwaardelijke vergunning voor het in de handel brengen aangevraagd. Aangezien het Geneesmiddelenbureau van mening was dat de voordelen van Elevidys niet zijn aangetoond, adviseerde het de voorwaardelijke vergunning voor het in de handel brengen te weigeren.

Heeft deze weigering gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

Het bedrijf heeft het Geneesmiddelenbureau laten weten dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven. Momenteel worden alle klinische proeven met Elevidys tijdelijk onderbroken; er worden geen patiënten met Elevidys behandeld. Patiënten die eerder in een klinische proef met Elevidys zijn behandeld, worden nog steeds gemonitord.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.