



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 lipca 2025 r.
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla produktu Elevidys (delandistrogen mokseparwówek)

Europejska Agencja Leków zaleciła odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu leku Elevidys przeznaczonego do leczenia dystrofii mięśniowej Duchenne’a.

Agencja wydała opinię w dniu 24 lipca 2025 r. Firma ubiegająca się o dopuszczenie do obrotu, Roche Registration GmbH, może zwrócić się o ponowne rozpatrzenie opinii w ciągu 15 dni od jej otrzymania.

Co to jest produkt Elevidys i w jakim celu miał być stosowany?

Elevidys został opracowany jako lek do leczenia dystrofii mięśniowej Duchenne’a, choroby genetycznej, która powoduje narastające osłabienie i zanik (wyniszczenie) mięśni. Produkt miał być stosowany u dzieci w wieku od 3 do 7 lat, które są w stanie chodzić.

Elevidys zawiera substancję czynną delandistrogen mokseparwówek i miał być podawany w pojedynczym wlewie (kroplówce) do żyły.

W dniu 28 lutego 2020 r. lek Elevidys uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Jak działa produkt Elevidys?

U pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne’a nie występuje prawidłowe białko dystrofina, które głównie znajduje się w mięśniach szkieletowych (odpowiedzialnych za poruszanie się) i komórkach mięśnia sercowego. Ponieważ białko to pomaga również chronić mięśnie przed urazami w ramach skurczu i rozkurczu mięśni, u pacjentów z tą chorobą mięśnie stają się stopniowo słabsze i ostatecznie przestają działać.

Substancja czynna zawarta w leku Elevidys, delandistrogen mokseparwówek, jest zbudowana z wirusa, który zawiera materiał genetyczny pozwalający wytwarzać skróconą wersję dystrofiny. Lek miał na celu wprowadzenie materiału genetycznego do mięśni szkieletowych i serca. Pojedynczy wlew miał na celu umożliwienie pacjentowi wytworzenia skróconej postaci dystrofiny, a tym samym spowolnienie postępu choroby.

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



Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła dane z badania głównego z udziałem 125 dzieci w wieku od 4 do 7 lat z dystrofią mięśniową Duchenne'a, które były w stanie chodzić. Otrzymały one pojedynczy wlew leku Elevidys albo placebo (leczenie pozorowane). Głównym kryterium oceny skuteczności był wpływ na zdolność poruszania się w ciągu 12 miesięcy, oceniany za pomocą standardowej skali o nazwie North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Zakres skali wynosi od 0 do 34 punktów, a im wyższy wynik, tym wyższa zdolność poruszania się.

Jakie były główne powody odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?

W badaniu nie wykazano, aby produkt Elevidys miał wpływ na zdolność poruszania się po 12 miesiącach. Poprawę wyników w skali NSAA zaobserwowano zarówno u pacjentów, którzy otrzymywali produkt Elevidys, jak i u pacjentów przyjmujących placebo. Różnica w zmianie wyników w skali NSAA między dwiema grupami wyniosła 0,65 w 34-stopniowej skali i nie była istotna statystycznie, co oznacza, że mogła wynikać z przypadku. Ponadto, chociaż wykazano, że u wielu pacjentów leczonych produktem Elevidys wytwarzana jest krótsza postać białka dystrofiny, stężenie dystrofiny nie mogło się wiązać z jakąkolwiek poprawą zdolności poruszania się.

Firma przedstawiła również dane dotyczące podgrupy pacjentów, którzy wydawali się lepiej reagować na leczenie produktem Elevidys, jednak nawet w tej grupie nie wykazano skuteczności leczenia.

Firma złożyła wniosek o warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu. Ponieważ zdaniem Agencji nie wykazano korzyści ze stosowania produktu Elevidys, zaleciła ona odmowę wydania warunkowego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie są skutki odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych. Obecnie wszystkie badania kliniczne z użyciem produktu Elevidys są tymczasowo wstrzymane; żaden pacjent nie jest leczony produktem Elevidys. Pacjenci, którzy byli wcześniej leczeni produktem Elevidys w badaniu klinicznym, będą w dalszym ciągu monitorowani.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.