



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 de julho de 2025
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Recusa da Autorização de Introdução no Mercado para Elevidys (delandistrogene moxeparvovec)

A Agência Europeia de Medicamentos recomendou a recusa da Autorização de Introdução no Mercado para Elevidys, um medicamento destinado ao tratamento da distrofia muscular de Duchenne.

A Agência emitiu o seu parecer em 24 de julho de 2025. A empresa que apresentou o pedido de autorização de introdução no mercado, a Roche Registration GmbH, pode solicitar o reexame do parecer no prazo de 15 dias a contar da receção do mesmo.

O que é o Elevidys e qual a utilização prevista?

O Elevidys foi desenvolvido como um medicamento para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne, uma doença genética que causa uma crescente fraqueza e atrofia (emaciação) dos músculos. Destinava-se a ser utilizado em crianças com idades compreendidas entre os 3 e os 7 anos capazes de andar.

O Elevidys contém a substância ativa delandistrogene moxeparvovec e destinava-se a ser administrado sob a forma de uma perfusão única (administração gota a gota) numa veia.

O Elevidys foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 28 de fevereiro de 2020 para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no sítio Internet da Agência:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Como funciona o Elevidys?

Os doentes com distrofia muscular de Duchenne carecem de distrofina normal, uma proteína encontrada principalmente nos músculos esqueléticos (músculos utilizados para movimentos) e nas células musculares cardíacas (do coração). Dado que esta proteína também ajuda a proteger os músculos de lesões à medida que os músculos se contraem e relaxam, em doentes com a doença os músculos tornam-se progressivamente mais fracos e acabam por deixar de funcionar.

A substância ativa do Elevidys, o delandistrogene moxeparvovec, é constituída por um vírus que contém material genético para produzir uma versão truncada (mais curta) da distrofina. O medicamento foi concebido para introduzir o material genético nos músculos esqueléticos e no

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



coração. Uma única perfusão destinava-se a permitir ao doente produzir uma forma encurtada de distrofina e, assim, abrandar a progressão da doença.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou dados de um estudo principal em 125 crianças com idades compreendidas entre os 4 e os 7 anos com distrofia muscular de Duchenne que conseguiam caminhar. Os doentes receberam uma perfusão de Elevidys ou um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi um efeito na capacidade de movimento ao longo de 12 meses, avaliado utilizando uma escala padrão denominada Avaliação da Locomoção North Star (NSAA). A escala varia de 0 a 34, com as pontuações mais elevadas a indicar melhores capacidades de movimento.

Quais foram as principais razões para a recusa da Autorização de Introdução no Mercado?

O estudo não demonstrou que o Elevidys tenha tido um efeito nas capacidades de movimento após 12 meses. Foram observadas melhorias nas pontuações da NSAA, tanto nos doentes que receberam o Elevidys como nos que receberam o placebo. A diferença na alteração das pontuações da NSAA entre os dois grupos foi de 0,65 numa escala de 34 pontos e não foi estatisticamente significativa, o que significa que pode ser devida ao acaso. Além disso, embora muitos doentes tratados com o Elevidys tenham demonstrado produzir uma forma mais curta da proteína distrofina, os níveis de distrofina não puderam ser associados a uma melhoria das capacidades de movimento.

A empresa também apresentou dados relativos a um subgrupo de doentes que parecia responder melhor ao Elevidys; no entanto, mesmo neste grupo, a eficácia do tratamento não foi demonstrada.

A empresa tinha solicitado uma autorização de introdução no mercado condicional. Uma vez que a Agência considerava que os benefícios do Elevidys não tinham sido demonstrados, recomendou a recusa da autorização de introdução no mercado condicional.

Esta recusa afeta os doentes em ensaios clínicos?

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos. Atualmente, todos os ensaios clínicos com o Elevidys são temporariamente suspensos; nenhum doente está a ser tratado com o Elevidys. Os doentes que foram previamente tratados com o Elevidys num ensaio clínico continuam a ser monitorizados.

Se estiver incluído num ensaio clínico e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, fale com o médico do ensaio clínico.