



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Elevidys (delandistrogen moxeparvovec)

Agenția Europeană pentru Medicamente a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață pentru Elevidys, un medicament destinat tratamentului distrofiei musculare Duchenne.

Agenția a emis avizul la 24 iulie 2025. Compania care a solicitat autorizația, Roche Registration GmbH, poate solicita reexaminarea avizului în termen de 15 zile de la primire.

Ce este Elevidys și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Elevidys a fost dezvoltat ca medicament pentru tratarea distrofiei musculare Duchenne, o boală genetică ce cauzează slăbiciune și atrofie (degradare) a mușchilor din ce în ce mai gravă. Medicamentul ar fi trebuit să se utilizeze la copiii cu vârsta cuprinsă între 3 și 7 ani care pot merge.

Elevidys conține substanța activă delandistrogen moxeparvovec și ar fi trebuit să fie administrat sub forma unei perfuzii intravenoase (picurare în venă) unice.

Elevidys a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 28 februarie 2020 pentru distrofia musculară Duchenne. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Cum acționează Elevidys?

La pacienții cu distrofie musculară Duchenne lipsește distrofina normală, o proteină care se găsește în principal în mușchii scheletici (mușchii folosiți pentru mișcare) și în celulele mușchilor cardiaci (ai inimii). Deoarece această proteină ajută și la protejarea împotriva leziunilor musculare când mușchii se contractă și se relaxează, la pacienții cu această boală mușchii devin din ce în ce mai slabi și, în cele din urmă, nu mai funcționează.

Substanța activă din Elevidys, delandistrogenul moxeparvovec, este produsă dintr-un virus care conține material genetic pentru producerea unei versiuni trunchiate (mai scurte) a distrofinei. Medicamentul a fost conceput pentru a introduce materialul genetic în mușchii scheletici și în inimă. Perfuzia unică ar fi trebuit să determine producerea în corpul pacientului a unei forme mai scurte de distrofină și să încetinească astfel progresia bolii.

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



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat date dintr-un studiu principal efectuat la 125 de copii cu vârste cuprinse între 4 și 7 ani cu distrofie musculară Duchenne care puteau să meargă. Acestora li s-a administrat fie o perfuzie cu Elevidys, fie una cu placebo (un preparat inactiv). Principalul indicator al eficacității a fost efectul asupra capacității de mișcare pe o perioadă de 12 luni, evaluat pe o scară standard numită North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Scara variază de la 0 la 34, scorurile mai mari indicând o capacitate de mișcare mai bună.

Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizației de punere pe piață?

Studiul nu a reușit să demonstreze că Elevidys are efect asupra capacității de mișcare după 12 luni. S-au observat îmbunătățiri ale scorurilor NSAA atât la pacienții cărora li s-a administrat Elevidys, cât și la cei care au primit placebo. Diferența de modificare a scorului NSAA între cele două grupuri a fost de 0,65 pe o scară cu 34 de puncte și nu a fost semnificativă statistic, ceea ce înseamnă că poate fi întâmplătoare. În plus, deși s-a demonstrat că mulți dintre pacienții tratați cu Elevidys au produs o formă mai scurtă a proteinei distrofină, nivelurile de distrofină nu au putut fi corelate cu o îmbunătățire a capacității de mișcare.

Compania a prezentat și date referitoare la un subgrup de pacienți care păreau să răspundă mai bine la Elevidys; eficacitatea tratamentului nu a fost însă demonstrată nici chiar în acest grup.

Compania solicitase o autorizație de punere pe piață condiționată; întrucât agenția a considerat că beneficiile Elevidys nu au fost demonstrate, a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață condiționate.

Refuzul afectează pacienții din studii clinice?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în prezent în studii clinice. În prezent, toate studiile clinice cu Elevidys sunt suspendate temporar; niciun pacient nu este tratat cu Elevidys. Pacienții care au fost tratați anterior cu Elevidys într-un studiu clinic continuă să fie monitorizați.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.