



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. júl 2025
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Elevidys (delandistrogén moxeparvovek)

Európska agentúra pre lieky odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Elevidys, ktorý je určený na liečbu Duchennevej svalovej dystrofie.

Agentúra vydala svoje stanovisko 24. júla 2025. Spoločnosť Roche Registration GmbH, ktorá požiadala o povolenie, môže požiadať o opätovné preskúmanie stanoviska do 15 dní od doručenia stanoviska.

Čo je liek Elevidys a aké bolo jeho predpokladané použitie?

Liek Elevidys bol vyvinutý ako liek na liečbu Duchennevej svalovej dystrofie, genetickej choroby, ktorá spôsobuje stupňujúcu slabosť a atrofiu (ubúdanie) svalstva. Mal sa používať u detí vo veku od 3 do 7 rokov, ktoré dokážu chodiť.

Liek Elevidys obsahuje liečivo delandistrogén moxeparvovek a mal sa podávať vo forme jednej infúzie (na kvapkanie) do žily.

Liek Elevidys bol 28. februára 2020 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný pri zriedkavých chorobách) na liečbu Duchennevej svalovej dystrofie. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Akým spôsobom liek Elevidys účinkuje?

Pacientom s Duchennovou svalovou dystrofiou chýba normálny dystrofín, proteín, ktorý sa vyskytuje najmä v kostrových svaloch (používaných na pohyb) a v bunkách srdcového svalu. Keďže tento proteín pomáha chrániť svaly pred poškodením, keď sa sťahujú a uvoľňujú, u pacientov s touto chorobou svaly postupne slabnú a napokon prestanú fungovať.

Liečivo lieku Elevidys, delandistrogén moxeparvovek, je vyrobené z vírusu, ktorý obsahuje genetický materiál na tvorbu skrátenej verzie dystrofínu. Liek bol navrhnutý tak, aby genetický materiál prenikol do kostrových svalov a srdca. Jednorazová infúzia mala u pacienta stimulovať produkciu skrátenej formy dystrofínu, a tým spomaliť progresiu ochorenia.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila údaje z hlavnej štúdie zahŕňajúcej 125 detí vo veku od 4 do 7 rokov s Duchennovou svalovou dystrofiou, ktoré dokázali chodiť. Dostali jednorazovú infúziu lieku Elevidys alebo placebo (zdanlivý liek). Hlavným meradlom účinnosti bol účinok na schopnosť pohybu počas 12 mesiacov, ktorý sa hodnotil pomocou štandardnej stupnice nazývanej North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Stupnica sa pohybuje od 0 do 34, pričom vyššie skóre znamená lepšiu schopnosť pohybu.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

V štúdií sa nepreukázalo, že by liek Elevidys mal po 12 mesiacoch účinok na schopnosť pohybu. Zlepšenie skóre NSAA sa pozorovalo u pacientov, ktorí dostali liek Elevidys, ako aj u pacientov, ktorí dostali placebo. Rozdiel v zmene skóre NSAA medzi týmito dvomi skupinami bol 0,65 na 34-bodovej stupnici a nebol štatisticky významný, čo znamená, že môže byť náhodný. Hoci sa okrem toho preukázalo, že u mnohých pacientov liečených liekom Elevidys sa vytvárala kratšia forma dystrofínového proteínu, nebolo možné stanoviť zlepšenie schopnosti pohybu súvisiace s hladinou dystrofínu.

Spoločnosť predložila aj údaje o podskupine pacientov, u ktorých sa zdalo, že lepšie odpovedajú na liek Elevidys. Účinnosť liečby sa však nepreukázala ani v tejto skupine.

Spoločnosť požiadala o podmienené povolenie na uvedenie na trh. Agentúra však zastávala názor, že prínosy lieku Elevidys neboli preukázané, a preto odporučila zamietnuť podmienené povolenie na uvedenie na trh.

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach lieku, nevyplývajú žiadne dôsledky. V súčasnosti sú všetky klinické skúšania lieku Elevidys dočasne pozastavené; žiadni pacienti nie sú liečení liekom Elevidys. Pacienti, ktorí boli v minulosti liečení liekom Elevidys v rámci klinického skúšania, sa naďalej monitorujú.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.