



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Elevidys (delandistrogen mokseparvovek)

Evropska agencija za zdravila je priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Elevidys, namenjenim zdravljenju Duchennove mišične distrofije.

Agencija je mnenje izdala 24. julija 2025. Podjetje Roche Registration GmbH, ki je vložilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom, lahko v 15 dneh od prejema mnenja zahteva ponovni pregled mnenja.

Kaj je zdravilo Elevidys in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Elevidys je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje Duchennove mišične distrofije, tj. genetske bolezni, ki povzroča vedno večjo šibkost in atrofijo (upadanje) mišic. Uporabljalo naj bi se pri otrocih, starih od treh do sedmih let, ki lahko hodijo.

Zdravilo Elevidys vsebuje učinkovino delandistrogen mokseparvovek in naj bi se dajalo v obliki enkratnega infundiranja (kapalne infuzije) v veno.

Zdravilo Elevidys je bilo 28. februarja 2020 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za Duchennovo mišično distrofijo. Več informacij o zdravilih sirotah je voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Kako zdravilo Elevidys deluje?

Bolnikom z Duchennovo mišično distrofijo primanjkuje normalnega distrofina, tj. beljakovine, ki je prisotna predvsem v skeletnih mišicah (mišicah, ki se uporabljajo za premikanje) in srčnih mišičnih celicah. Ker ta beljakovina tudi pomaga ščititi mišice pred poškodbami ob njihovem krčenju in sproščanju, pri bolnikih s to boleznijo te mišice postopoma oslabijo in sčasoma prenehajo delovati.

Učinkovina v zdravilu Elevidys, delandistrogen mokseparvovek, je izdelana iz virusa, ki vsebuje genetski material za tvorbo skrajšane različice distrofina. Zdravilo je bilo zasnovano tako, da vnese genski material v skeletne mišice in srce. Namen enkratne infuzije je bil bolniku omogočiti tvorbo skrajšane oblike distrofina in tako upočasniti napredovanje bolezni.

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



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo podatke iz glavne študije, v katero je bilo vključenih 125 otrok z Duchennovo mišično distrofijo, starih od štiri do sedem let, ki so lahko hodili. Prejeli so eno infuzijo zdravila Elevidys ali placebo (zdravila brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bil učinek na sposobnosti gibanja v 12 mesecih, ocenjen s standardno lestvico, imenovano North Star Ambulant Assessment (NSAA). Lestvica ima razpon od 0 do 34 točk, pri čemer višje ocene kažejo na boljše sposobnosti gibanja.

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom?

V študiji niso dokazali, da bi zdravilo Elevidys po 12 mesecih vplivalo na sposobnosti gibanja. Izboljšane ocene NSAA so opazili tako pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Elevidys, kot tistih, ki so prejeli placebo. Razlika v spremembi ocen NSAA med obema skupinama na 34-točkovni lestvici je bila 0,65 in ni bila statistično pomembna, kar pomeni, da je lahko naključna. Čeprav se je izkazalo, da številni bolniki, zdravljeni z zdravilom Elevidys, proizvedejo skrajšano obliko beljakovine distrofin, ravni distrofina ni bilo mogoče povezati z izboljšanjem sposobnosti gibanja.

Podjetje je predložilo tudi podatke za podskupino bolnikov, za katere se je zdelo, da se bolje odzivajo na zdravilo Elevidys, vendar tudi v tej skupini učinkovitost zdravljenja ni bila dokazana.

Podjetje je zaprosilo za pogojno dovoljenje za promet; ker je agencija menila, da koristi zdravila Elevidys niso bile dokazane, je priporočila zavrnitev pogojnega dovoljenja za promet.

Ali ta zavrnitev vpliva na bolnike v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih. Trenutno so vsa klinična preskušanja z zdravilom Elevidys začasno prekinjena; z zdravilom Elevidys se ne zdravi noben bolnik. Bolnike, ki so se predhodno zdravili z zdravilom Elevidys v kliničnem preskušanju, še naprej spremljajo.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.