



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Elevidys (delandistrogen-moxeparvovek)

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har rekommenderat avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Elevidys, ett läkemedel avsett för behandling av Duchennes muskeldystrofi.

EMA utfärdade sitt yttrande den 24 juli 2025. Företaget som ansökte om godkännandet, Roche Registration GmbH, kan begära en omprövning av yttrandet inom 15 dagar efter att det mottagit yttrandet.

Vad är Elevidys och vad skulle det användas för?

Elevidys togs fram som ett läkemedel för behandling av Duchennes muskeldystrofi, en genetisk sjukdom som orsakar ökad muskelsvaghet och muskelatrofi (förtvining av musklerna). Det var avsett för barn i åldern 3–7 år som kan gå.

Elevidys innehåller den aktiva substansen delandistrogen-moxeparvovek och skulle ges som en engångsinfusion (dropp) i en ven.

Elevidys klassificerades den 28 februari 2020 som ett särlläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid Duchennes muskeldystrofi. Mer information om klassificeringen som särlläkemedel finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Hur verkar Elevidys?

Patienter med Duchennes muskeldystrofi saknar normalt dystrofin, ett protein som främst finns i skelettmusklerna (de muskler som vi använder för att kunna röra på oss) och hjärtmuskelcellerna. Eftersom detta protein också hjälper till att skydda musklerna mot skador när de dras samman och slappnar av, blir musklerna hos patienter med sjukdomen gradvis svagare och slutar så småningom att fungera.

Den aktiva substansen i Elevidys, delandistrogen-moxeparvovek, är tillverkad av ett virus som innehåller genetiskt material för att framställa en trunkerad (kortare) version av dystrofin. Läkemedlet utformades för att föra in det genetiska materialet i skelettmusklerna och hjärtmuskelcellerna. En

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



engångsinfusion var avsedd att möjliggöra framställningen av en förkortad form av dystrofin och på så sätt fördröja sjukdomens utveckling.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade uppgifter från en huvudstudie på 125 barn i åldern 4–7 år med Duchennes muskeldystrofi som kunde gå. De fick en infusion med antingen Elevidys eller placebo (overksam behandling). Huvudeffektmåttet var en effekt på rörelseförmågan under 12 månader, vilket bedömdes med hjälp av standardskalan North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Skalan sträcker sig från 0 till 34, där högre poäng tyder på bättre rörelseförmåga.

Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om godkännande för försäljning?

Studien visade inte att Elevidys hade någon effekt på rörelseförmågan efter 12 månader. Förbättringar av NSAA-poängen observerades både hos de patienter som fick Elevidys och hos de patienter som fick placebo. Skillnaden i förändringen av NSAA-poängen mellan de två grupperna var 0,65 på en skala med 34 poäng och den var alltså inte statistiskt signifikant, vilket innebär att den kan ha berott på en slump. Även om många av de patienter som behandlades med Elevidys visade sig framställa en kortare form av dystrofinprotein, kunde nivåerna av dystrofin inte kopplas till en förbättring av rörelseförmågan.

Företaget lade också fram uppgifter för en patientundergrupp som verkade svara bättre på Elevidys, men inte heller i denna grupp påvisades någon effekt av behandlingen.

Företaget hade ansökt om villkorligt godkännande för försäljning, men eftersom EMA fann att nyttan med Elevidys inte hade påvisats, rekommenderade EMA att ett sådant godkännande för försäljning inte skulle beviljas.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade EMA om att detta inte får några följder för patienter i kliniska prövningar. För närvarande är alla kliniska prövningar med Elevidys tillfälligt pausade och inga patienter behandlas med Elevidys. Patienter som tidigare behandlats med Elevidys i en klinisk prövning fortsätter att övervakas.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.