

## 61. Elevidys

[출처]

- ① [FDA Approves First Gene Therapy for Treatment of Certain Patients with Duchenne Muscular Dystrophy](#)  
(FDA, 2023.06.22.)
- ② [Package Insert - ELEVIDYS](#)
- ③ [Approval Letter - ELEVIDYS](#)
- ④ [Summary Basis for Regulatory Action - ELEVIDYS](#)
- ⑤ [Center Director Decisional Memo - ELEVIDYS](#)
- ⑥ [ClinicalTrials.gov\(SRP-9001-101, SRP-9001-102, SRP-9001-103, EMBARK\)](#)

제품명 (성분명)	<b>Elevidys</b> (delandistrogene moxeparvovec-rokl)
허가권자	<b>Sarepta Therapeutics, Inc.</b>
허가일	2023.06.22. (FDA)
적응증	<ul style="list-style-type: none"> <li>DMD 유전자 돌연변이가 확인된 뒤시엔느 근이영양증(DMD)<sup>1)</sup>이 있는 4~5세 외래 소아 환자</li> </ul> <p>1) DMD(Duchenne muscular dystrophy, 뒤시엔느 근이영양증)</p>
대상 적응증 질환 특성	<ul style="list-style-type: none"> <li>DMD는 신체의 근육세포를 유지하는데 필요한 단백질인 디스트로핀이 결핍된 유전자의 결함으로 인해 발생 <ul style="list-style-type: none"> <li>걷기 및 달리기 문제, 자주 넘어짐, 피로, 학습 장애/어려움, 심장 근육 기능 약화로 인한 심장 문제, 호흡 근육 약화로 인한 호흡 문제 등의 증상이 발생함</li> <li>관련 근육 약화 증상은 일반적으로 3~6세 사이에 시작되며 주로 남성에게 영향을 미침</li> <li>DMD는 3,300명 중 약 1명꼴로 발병하며 질병의 중증도와 기대 수명은 다양하지만 심장 및 호흡 부전으로 인해 20대 또는 30대에 사망함</li> </ul> </li> <li>기존 DMD 치료법은 질병의 증상을 다루는 코르티코스테로이드 약물, 스트레칭, 운동 프로그램, 보행 보조장비 사용 등이며, 근본적인 원인인 유전 변이에 대한 치료 부재</li> </ul>
작용 기전	<ul style="list-style-type: none"> <li>'Elevidys'는 바이러스 벡터(adeno-associated virus (AAV) serotype rh74<sup>2)</sup>) 기반 유전자치료제로 Elevidys micro-dystrophin<sup>3)</sup>단백질의 생산을 유도하는 유전자를 체내에 전달</li> </ul> <p>2) AAVrh74(adeno-associated virus (AAV) serotype rh74, 아데노 바이러스 혈청형 rh74): 임상, 비임상 연구에서 근육세포(골격, 심장)에서 형질도입이 입증된 바이러스 벡터</p> <p>3) Elevidys micro-dystrophin : 디스트로핀의 선택된 도메인을 포함하는 단축된 단백질(138kDa, 정상근육세포의 디스트로핀 단백질 427kDa)</p>
임상시험 정보	<ul style="list-style-type: none"> <li>'Elevidys'의 유효성은 다기관 임상연구 2건(SRP-9001-102, SRP-9001-103)에서 4~7세 DMD 환자 61명을 대상으로 평가됨 <ul style="list-style-type: none"> <li>'Elevidys' 투여 12주 후 4~5세 DMD 환자의 Elevidys micro-dystrophin 단백질 발현을 측정한 결과, Study1(Part1, Part2)에서 95.7%(N=3), Study2(Cohort1)에서 51.7%(N=11) 증가함</li> </ul> </li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 'Elevidys'의 안전성은 다기관 임상연구 3건(SRP-9001-101, SRP-9001-102, SRP-9001-103)에서 3~20세 DMD 환자 85명을 대상으로 평가됨 <ul style="list-style-type: none"> <li>- 이상반응은 일반적으로 투여 후 2주 이내에 메스꺼움, 구토, 혈소판감소증, 발열 등이 나타나거나 2개월 이내에 면역 매개성 근염, 간기능검사 수치 증가(AST, ALT, GGT 등)가 나타남</li> </ul> </li> </ul> <p>* 임상시험 설계 세부 정보 및 결과</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- SRP-9001-101 (NCT03375164, <a href="#">▶ClinicalTrials.gov에서 상세보기</a>)</li> <li>- SRP-9001-102 (NCT03769116, <a href="#">▶ClinicalTrials.gov에서 상세보기</a>)</li> <li>- SRP-9001-103 (NCT04626674, <a href="#">▶ClinicalTrials.gov에서 상세보기</a>)</li> <li>- 임상시험 결과 : "Package Insert – Elevidys"의 '14. Clinical Studies'에서 확인 가능</li> </ul>
부작용 등	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 가장 흔한 부작용(발생률 5% 이상)은 구토, 메스꺼움, 간기능검사 수치 증가, 발열, 혈소판감소증 등</li> <li>• 'Elevidys' 투여 전후 3개월간 매주 간기능 모니터링이 필요하며, 심근염에 대비하여 투여 전후 1개월간 매주 트로포닌 I<sup>4)</sup> 수치 모니터링 필요</li> <li>• DMD 유전자에서 엑손 8 또는 엑손 9 결손 환자의 경우, 사용 금지 <ul style="list-style-type: none"> <li>- 임상시험에서 엑손 8 또는 엑손 9 결손 돌연변이 환자에게서 'Elevidys' 투여 1개월 후 면역 매개성 근염 발생</li> </ul> </li> </ul> <p>4) troponin-I(트로포닌 I) : 심근세포 손상 시 혈중 수치가 상승하는 심장근육 단백질</p>
기타	<ul style="list-style-type: none"> <li>• DMD 환자의 치료를 위한 최초의 유전자 치료제</li> <li>• 신속심사 (Accelerated Approval pathway)</li> <li>• 추후 'Elevidys'의 운동 기능 개선에 대한 임상 3상 연구(EMBARK 시험)* 결과에 따라 적응증에 대한 수정 또는 철회 등 추가 조치가 필요한 지 검토 예정</li> </ul> <p>* 임상시험 설계 세부 정보</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- EMBARK (NCT05096221, <a href="#">▶ClinicalTrials.gov에서 상세보기</a>)</li> </ul>