



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. April 2023
EMA/251168/2023
EMA/H/C/005047

Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Lumevoq (Lenadogen nolparvovec)

Das Unternehmen Gensight Biologics SA hat seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Lumevoq zur Behandlung von Sehverlust aufgrund einer Augenerkrankung, die als Lebersche hereditäre Optikusneuropathie bezeichnet wird, zurückgenommen.

Das Unternehmen nahm den Antrag am 20. April 2023 zurück.

Was ist Lumevoq und wofür sollte es angewendet werden?

Lumevoq wurde als Arzneimittel zur Behandlung von Sehverlust bei Patienten mit Leberscher hereditärer Optikusneuropathie entwickelt, einer Erkrankung, die den Nerv am hinteren Ende des Auges beeinträchtigt.

Es war für Patienten ab 15 Jahren vorgesehen, die eine bestimmte Mutation (Veränderung) in einem Gen mit der Bezeichnung m.11778G>A aufweisen.

Lumevoq enthält den Wirkstoff Lenadogen nolparvovec und sollte als Injektionssuspension für beide Augen erhältlich sein.

Lumevoq wurde am 13. Mai 2011 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen Lebersche hereditäre Optikusneuropathie ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Wie wirkt Lumevoq?

Patienten mit Leberscher hereditärer Optikusneuropathie weisen genetische Mutationen auf, die die energieproduzierenden Bestandteile der Nervenzellen in den Augen beeinträchtigen. Aufgrund dieser Mutationen sind die Zellen nicht in der Lage, ein Enzym (Protein) zu produzieren, das als NADH-Dehydrogenase 4 (ND4) bezeichnet wird.

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



Der Wirkstoff in Lumevoq, Lenadogen nolpharvovec, besteht aus einem Virus, das das Gen für dieses Enzym enthält. Wenn das Arzneimittel in das Auge injiziert wird, wird davon ausgegangen, dass das Virus das Gen in die Zellen überträgt, so dass diese das ND4-Enzym produzieren können.

Das in diesem Arzneimittel verwendete Virus (Adeno-assoziiertes Virus) verursacht beim Menschen keine Erkrankungen.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Ergebnisse aus zwei Hauptstudien vor, an denen 76 Patienten mit durch die m.11778G>A-Mutation verursachter Leberscher hereditärer Optikusneuropathie teilnahmen. Die Patienten in diesen Studien erhielten eine Injektion von Lumevoq in ein Auge, während sie in das andere Auge eine Scheininjektion erhielten (wobei die Spritze gegen das Auge gedrückt wird, jedoch keine Injektion erfolgt). In beiden Studien wurde untersucht, wie gut Lumevoq das Sehvermögen im Vergleich zu einer Scheininjektion nach 48 Wochen verbesserte.

In einer dritten Hauptstudie, an der Patienten aus den beiden Studien teilnahmen, wurde ihr Sehvermögen drei Jahre nach den Injektionen untersucht.

In einer vierten Hauptstudie, an der 98 Patienten mit durch die m.11778G>A-Mutation verursachter Leberscher hereditärer Optikusneuropathie teilnahmen, wurde die Behandlung beider Augen mit Lumevoq mit der Behandlung eines Auges mit Lumevoq und eines Auges mit einer Placebo-(Schein-)Injektion verglichen.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen an das Unternehmen formuliert hatte. Nachdem die Agentur die Antworten des Unternehmens auf die letzte Runde der ihm gestellten Fragen geprüft hatte, waren immer noch einige Fragen ungeklärt.

Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?

Zum Zeitpunkt der Rücknahme bestanden seitens der Agentur gewisse Bedenken. Die Agentur war der vorläufigen Ansicht, dass Lumevoq für die Behandlung der durch m.11778G>A-Mutation verursachten Leberschen hereditären Optikusneuropathie nicht hätte zugelassen werden dürfen.

Die Ergebnisse der Studien zeigten keinen signifikanten Unterschied im Sehvermögen bei Augen, die mit Lumevoq injiziert wurden, und bei Augen, die eine Scheininjektion oder Placebo-Injektion erhielten. Darüber hinaus lieferten die Studien keine ausreichenden Ergebnisse, um nachzuweisen, dass die Gabe von Lumevoq in beide Augen für die Patienten von Nutzen wäre.

Die Agentur hatte auch einige Fragen zu Laborstudien, die mit dem Arzneimittel durchgeführt wurden, sowie zu dem Herstellungsprozess und den Produktionsstätten, die das kommerzielle Produkt herstellen und testen würden. Zum Zeitpunkt der Rücknahme war die Agentur daher der Ansicht, dass der Nutzen von Lumevoq gegenüber den Risiken nicht überwog.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem [Schreiben](#), in dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, erklärte es, dass die Rücknahme auf den Überlegungen des Ausschusses für neuartige Therapien (CAT) der EMA bezüglich des Nutzens des Arzneimittels beruhe.

Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die bereits behandelt werden und derzeit an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen.

Das Unternehmen beabsichtigt, seine Programme für den frühzeitigen Zugang wiederaufzunehmen, wenn das Arzneimittel für den klinischen Gebrauch verfügbar ist.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.