



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. aprill 2023
EMA/251171/2023
EMA/H/C/005047

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Lumevoq (lenadogeennolparvovek)

Gensight Biologics SA võttis tagasi ravimi Lumevoq müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud Leberi pärilikust optilisest neuropaatiast tingitud nägemiskaotuse raviks.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 20. aprillil 2023.

Mis on Lumevoq ja milleks kavatseti seda kasutada?

Lumevoq töötati välja ravimina nägemiskaotuse raviks Leberi päriliku optilise neuropaatiaga patsientidel. See haigus kahjustab silma tagaosas olevaid närvirakke.

Ravim oli ette nähtud vähemalt 15-aastastele patsientidele, kellel on spetsiifiline mutatsioon (muutus) geenis m.11778G>A.

Lumevoq sisaldab toimeainena lenadogeennolparvovekit ja seda kavatseti turustada mõlemasse silma süstitava süstesuspensioonina.

Lumevoq nimetati 13. mail 2011 Leberi päriliku optilise neuropaatia harvkravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvkravimiks nimetatud ravimi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Kuidas Lumevoq toimib?

Leberi päriliku optilise neuropaatiaga patsientidel on geenimutatsioonid, mis mõjutavad silmanärvirakkude energiat tootvaid komponente. Nende mutatsioonide tulemusena ei suuda rakud toota ensüümi (valku) NADH-dehüdrogenaas 4 (ND4).

Lumevoqi toimeaine lenadogeennolparvovek koosneb viirusest, mis sisaldab seda ensüümi kodeerivat geeni. Ravimi silma süstimisel viib viirus eeldatavasti geeni rakkudesse, võimaldades neil toota ND4-ensüümi.

Ravimis kasutatav viirus (adeno-assotsieerunud viirus) ei põhjusta inimestel haigust.

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



Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused kahest põhiuuringust, milles osales 76 patsienti, kellel oli m.11778G>A mutatsioonist tingitud Leberi pärilik optiline neuropaatia. Uuringutes osalenud patsiendid said ühte silma Lumevoqi süsti ja teise silma näilise süsti (süstal suruti vastu silma, kuid süstet ei tehtud). Mõlemas uuringus vaadeldi, kui hästi oli Lumevoq parandanud 48 nädala pärast nägemist võrreldes näilise süstiga.

Kolmandas põhiuuringus jälgiti mõlema uuringu patsiente ja kontrolliti nende nägemist kolm aastat pärast süstimist.

Neljandas põhiuuringus, milles osales 98 patsienti, kellel oli m.11778G>A mutatsioonist tingitud Leberi pärilik optiline neuropaatia, võrreldi kummagi silma Lumevoq-ravi ühe silma Lumevoq-ravi ja teise silma tehtud platseebo (näiva ravimi) süstega.

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Raviamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Amet oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni probleem oli veel lahendamata.

Mis oli sel ajal ameti soovitus?

Taotluse tagasivõtmise ajal nägi amet põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Lumevoqi kasutamist m.11778G>A mutatsioonist tingitud Leberi päriliku optilise neuropaatia raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Uuringute tulemused ei tõendanud Lumevoqi süste saanud silmade ja näiva või platseebosüste saanud silmade nägemise olulist erinevust. Lisaks ei saadud uuringutest piisavalt tõendeid, et Lumevoqi manustamine mõlemasse silma oleks patsientidele kasulik.

Ametil oli ka küsimusi ravimiga tehtud laboriuuringute, tootmisprotsessi ja tootmiskohtade kohta, kus kaubanduslikku ravimit toodetakse ja testitakse. Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et Lumevoqi eelised ei kaalu üles selle riske.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Raviametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et tagasivõtmise aluseks on EMA uudsete ravimite komitee kaalutlused ravimi kasulikkuse kohta.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et tagasivõtmine ei mõjuta juba ravitavaid patsiente, kes osalevad kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides.

Ettevõtte kavatseb jätkata varajase juurdepääsu programme, kui ravim on kliiniliseks kasutuseks kättesaadav.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge oma arsti poole.