



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. travnja 2023.
EMA/251174/2023
EMA/H/C/005047

Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Lumevoq (lenadogen nolparvovek)

Tvrtka Gensight Biologics SA povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Lumevoq za liječenje gubitka vida zbog bolesti oka poznate pod nazivom Leberova nasljedna optička neuropatija.

Tvrtka je povukla zahtjev 20. travnja 2023.

Što je Lumevoq i za što se trebao koristiti?

Lumevoq je razvijen kao lijek za liječenje gubitka vida u bolesnika s Leberovom nasljednom optičkom neuropatijom, bolešću koja zahvaća živac u stražnjem dijelu oka.

Bio je namijenjen bolesnicima u dobi od 15 godina i starijima koji imaju posebnu mutaciju (promjenu) na genu m.11778G>A.

Lumevoq sadrži djelatnu tvar lenadogen nolparvovek i trebao je biti dostupan u obliku suspenzije za injekciju u oba oka.

Lijek Lumevoq uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti dana 13. svibnja 2011. za liječenje Leberove nasljedne optičke neuropatije. Dodatne informacije o uvrštenju na popis lijekova za rijetke bolesti dostupne su na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Kako djeluje Lumevoq?

Bolesnici s Leberovom nasljednom optičkom neuropatijom imaju genetske mutacije koje utječu na dijelove živčanih stanica u očima koji proizvode energiju. Zbog tih mutacija stanice ne mogu proizvesti enzim (protein) NADH dehidrogenaza 4 (ND4).

Djelatna tvar u lijeku Lumevoq, lenadogen nolparvovek, sastoji se od virusa koji sadrži gen za taj enzim. Kada se lijek ubrizga u oko, očekuje se da će virus isporučiti gen u stanice, što će im omogućiti proizvodnju enzima ND4.

Virus upotrijebljen u ovom lijeku (adenopridruženi virus) ne uzrokuje bolest u ljudi.

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



Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je iznijela rezultate dvaju glavnih ispitivanja u kojima je sudjelovalo 76 bolesnika s Leberovom nasljednom optičkom neuropatijom uzrokovanom mutacijom na genu m.11778G>A. Bolesnici koji su sudjelovali u tim ispitivanjima primili su injekciju lijeka Lumevoq u jedno oko, dok su u drugo oko primili fiktivnu injekciju (pri čemu se štrcaljka pritisne uz oko, ali ne daje se injekcija). U oba ispitivanja promatrao se stupanj poboljšanja vida uz primjenu lijeka Lumevoq, u usporedbi s fiktivnom injekcijom, nakon 48 tjedana.

U trećem glavnom ispitivanju sudjelovali su bolesnici iz tih dvaju ispitivanja, a testirao se njihov vid tri godine nakon primjene injekcija.

U četvrtom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 98 bolesnika s Leberovom nasljednom optičkom neuropatijom uzrokovanom mutacijom na genu m.11778G>A uspoređena je primjena lijeka Lumevoq u oba oka s primjenom lijeka Lumevoq u jedno oko, dok se u drugo oko davala fiktivna injekcija (placebo).

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Zahtjev je povučen nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila popis pitanja za tvrtku. Nakon što je Agencija procijenila odgovore tvrtke na posljednji niz pitanja, još su uvijek postojale neke nedoumice.

Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?

U trenutku povlačenja zahtjeva Agencija je imala razloga za zabrinutost, a njezino privremeno mišljenje bilo je da se lijek Lumevoq ne može odobriti za liječenje Leberove nasljedne optičke neuropatije uzrokovane mutacijom na genu m.11778G>A.

Rezultati ispitivanja nisu pokazali značajnu razliku u vidu između bolesnika koji su primili injekciju lijeka Lumevoq i onih koji su primili fiktivnu odnosno placebo injekciju. Nadalje, ispitivanja nisu pružila dostatne dokaze da bi primjena lijeka Lumevoq u oba oka bila korisna za bolesnike.

Agencija je imala i određena pitanja o laboratorijskim ispitivanjima provedenima na lijeku te o postupku proizvodnje i lokacijama na kojima će se proizvoditi i testirati lijek za tržište. Sukladno navedenome, Agencija je u vrijeme povlačenja smatrala kako koristi od lijeka Lumevoq ne nadmašuju s njim povezane rizike.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva tvrtka je navela da se povlačenje temelji na razmatranjima EMA-ina Odbora za napredne terapije (CAT) o koristima lijeka.

Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji se već liječe i koji trenutačno sudjeluju u kliničkim ispitivanjima ili programima milosrdnog davanja lijeka.

Tvrtka namjerava nastaviti sa svojim programima ranog pristupa kada lijek bude dostupan za kliničku primjenu.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili programu milosrdnog davanja lijekova te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vas liječi.