



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023 m. balandžio 26 d.
EMA/251177/2023
EMA/H/C/005047

Paraiškos gauti Lumevoq (lenadogenas nolparvovekas) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

„Gensight Biologics SA“ atsiėmė paraišką gauti Lumevoq, skirtą regėjimo praradimui dėl akių ligos, vadinamos paveldima Lėberio optine neuropatija, gydyti, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2023 m. balandžio 20 d.

Kas yra Lumevoq ir kokiais atvejais buvo numatyta jį vartoti?

Lumevoq buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas regėjimo praradimui gydyti pacientams, sergantiems paveldima Lėberio optine neuropatija – liga, kuri pažeidžia užpakalinėje akies dalyje esantį nervą.

Buvo numatyta šį vaistą skirti pacientams nuo 15 metų, kuriems nustatyta tam tikra geno, vadinamo m.11778G>A, mutacija (pakitimas).

Lumevoq sudėtyje yra veikliosios medžiagos lenadogeno nolparvoveko ir jį buvo numatyta gaminti į abi akis švirkščiamos injekcinės suspensijos forma.

2011 m. gegužės 13 d. Lumevoq priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal paveldimos Lėberio optinės neuropatijos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Kaip veikia Lumevoq?

Paveldima Lėberio optine neuropatija sergantys pacientai turi genetinių mutacijų, kurios paveikia energiją gaminančius akių nervinių ląstelių komponentus. Dėl šių mutacijų ląstelės negali gaminti fermento (baltymo), vadinamo NADH dehidrogenaze 4 (ND4).

Veiklioji Lumevoq medžiaga lenadogenas nolparvovekas susideda iš viruso, kuriame yra šio fermento geno. Tikimasi, kad vaisto suleidus į akį, virusas perneš geną į ląsteles, kad jos galėtų gaminti ND4 fermentą.

Šiame vaiste panaudotas virusas (adenoasocijuotas virusas) žmonėms ligos nesukelia.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė dviejų pagrindinių tyrimų, kuriuose dalyvavo 76 pacientai, sergantys paveldima Lėberio optine neuropatija, kurią sukėlė m.11778G>A mutacija, rezultatus. Šiuose tyrimuose dalyvavusiems pacientams į vieną akį buvo švirkščiamą Lumevoq, o į kitą buvo atliekama netikra injekcija (švirkštas pridedamas prie akies, bet injekcija neatliekama). Abiejuose tyrimuose po 48 savaičių buvo vertinama, ar Lumevoq pagerino regėjimą, palyginti su netikra injekcija.

Trečiame pagrindiniame tyrime buvo tiriami dviejuose tyrimuose dalyvavę pacientai – praėjus trejiems metams nuo injekcijų buvo tikrinamas jų regėjimas.

Ketvirtame pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo 98 pacientai, sergantys paveldima Lėberio optine neuropatija, kurią sukėlė m.11778G>A mutacija, abiejų akių gydymas Lumevoq buvo lyginamas su vienos akies gydymu Lumevoq, o kitos – placebo (preparato be veikliosios medžiagos) injekcija.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Agentūrai įvertinus bendrovės atsakymus į paskutinį kartą pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Paraiškos atsiėmimo metu Agentūra turėjo tam tikrų abejonių, o jos preliminarinė nuomonė buvo ta, kad Lumevoq negalėjo būti leista gydyti paveldimos Lėberio optinės neuropatijos, kurią sukėlė m.11778G>A mutacija.

Tyrimų rezultatai neparodė reikšmingų regėjimo skirtumų tarp akių, į kurias buvo sušvirkšta Lumevoq, ir akių, kurios buvo gydomos netikra injekcija arba placebo. Be to, tyrimai nesuteikė pakankamai įrodymų, kad Lumevoq vartojimas į abi akis būtų naudingas pacientams.

Agentūrai taip pat iškilo tam tikrų abejonių dėl su vaistu atliktų laboratorinių tyrimų ir dėl gamybos proceso bei vietų, kuriose būtų gaminamas ir išbandomas komercinis preparatas. Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad Lumevoq teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad paraiškos atsiėmimas grindžiamas EMA Pažangiųjų terapijų komiteto (CAT) išvadomis dėl vaisto naudos.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, kurie jau gydomi ir šiuo metu dalyvauja klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose.

Bendrovė ketina atnaujinti savo ankstyvos prieigos programas, kai vaistas bus pateiktas klinikiniam vartojimui.

Jeigu dalyvaujate klinikiname tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo gydytoju.