



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 de abril de 2023
EMA/251182/2023
EMA/H/C/005047

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Lumevoq (lenadogene nolparvovec)

A Gensight Biologics SA retirou o seu pedido de autorização de introdução no mercado para o Lumevoq para o tratamento da perda de visão devido a uma doença dos olhos conhecida como neuropatia ótica hereditária de Leber.

A empresa retirou o pedido em 20 de abril de 2023.

O que é o Lumevoq e qual a utilização prevista?

O Lumevoq foi desenvolvido como um medicamento para o tratamento da perda de visão em doentes com neuropatia ótica hereditária de Leber, uma doença que afeta o nervo na parte de trás do olho.

Destinava-se a doentes a partir dos 15 anos de idade com uma mutação (alteração) específica num gene denominado m.11778G>A.

O Lumevoq contém a substância ativa lenadogene nolparvovec e iria ser disponibilizado na forma de suspensão injetável em ambos os olhos.

O Lumevoq foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 13 de maio de 2011 para o tratamento da neuropatia ótica hereditária de Leber. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no sítio Internet da Agência:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Como funciona o Lumevoq?

Os doentes com neuropatia ótica hereditária de Leber têm mutações genéticas que afetam os componentes das células nervosas responsáveis pela produção de energia nos olhos. Como resultado destas mutações, as células não conseguem produzir uma enzima (proteína) conhecida como NADH desidrogenase 4 (ND4).

A substância ativa do Lumevoq, lenadogene nolparvovec, é constituída por um vírus que contém o gene desta enzima. Quando o medicamento é injetado no olho, espera-se que o vírus transporte o gene para as células, permitindo-lhes produzir a enzima ND4.

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



O vírus utilizado neste medicamento (vírus adeno-associado) não causa doença nos seres humanos.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou resultados de dois estudos principais que incluíram 76 doentes com neuropatia ótica hereditária de Leber causada pela mutação m.11778G>A. Os doentes nestes estudos receberam uma injeção de Lumevoq num olho, enquanto no outro, receberam uma injeção simulada (em que a seringa é pressionada contra o olho, mas não há injeção). Ambos os estudos analisaram até que ponto Lumevoq melhorou a visão em comparação com uma injeção simulada após 48 semanas.

Um terceiro estudo principal acompanhou os doentes dos dois estudos e testou a visão três anos após as injeções.

Um quarto estudo principal que incluiu 98 doentes com neuropatia ótica hereditária de Leber causada pela mutação m.11778G>A comparou o tratamento de ambos os olhos com Lumevoq com o tratamento de um olho com Lumevoq e do outro com uma injeção placebo (simulada).

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

O pedido foi retirado depois de a Agência Europeia de Medicamentos ter avaliado as informações fornecidas pela empresa e formulado perguntas à empresa. Após a avaliação, pela Agência, das respostas apresentadas pela empresa à última ronda de perguntas, subsistiam algumas questões.

Qual era a recomendação da Agência no momento da retirada?

No momento da retirada, a Agência tinha algumas preocupações e o seu parecer provisório era que Lumevoq não podia ter sido autorizado para o tratamento da neuropatia ótica hereditária de Leber causada pela mutação M.11778G > A.

Os resultados dos estudos não mostraram uma diferença significativa na visão dos olhos injetados com o Lumevoq e dos que receberam uma injeção simulada ou de placebo. Além disso, os estudos não forneceram provas suficientes para demonstrar que a administração de Lumevoq em ambos os olhos seria benéfica para os doentes.

A Agência também teve algumas questões sobre os estudos laboratoriais realizados com o medicamento, bem como sobre o processo de fabrico e as instalações que produziriam e testariam o produto comercial. Por conseguinte, no momento da retirada, a Agência considerava que os benefícios do Lumevoq não eram superiores aos seus riscos.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido de autorização, a empresa declarou que a retirada do pedido se baseia nas considerações do Comité das Terapias Avançadas (CAT) da EMA relativas aos benefícios do medicamento.

Quais as consequências da retirada do pedido para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso?

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes que já são tratados e que participam atualmente em ensaios clínicos ou em programas de uso compassivo.

A empresa pretende retomar os seus programas de acesso precoce quando o medicamento estiver disponível para uso clínico.

Se estiver incluído num ensaio clínico ou num programa de uso compassivo e necessitar de informação adicional sobre o tratamento, fale com o seu médico.