



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 aprilie 2023
EMA/251183/2023
EMA/H/C/005047

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Lumevoq (lenadogene nolparvovec)

Gensight Biologics SA și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Lumevoq pentru tratarea pierderii vederii din cauza unei afecțiuni oculare cunoscute sub numele de neuropatie optică ereditară Leber.

Compania și-a retras cererea la 20 aprilie 2023.

Ce este Lumevoq și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Lumevoq a fost dezvoltat ca medicament pentru tratarea pierderii vederii la pacienții cu neuropatie optică ereditară Leber, o boală care afectează nervul din spatele ochiului.

Medicamentul era destinat pacienților cu vârsta peste 15 ani care au o anumită mutație (modificare) a unei gene cunoscute sub denumirea de m.11778G>A.

Lumevoq conține substanța activă lenadogene nolparvovec și urma să fie disponibil sub formă de suspensie injectabilă pentru injecție bioculară.

Lumevoq a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 13 mai 2011 pentru tratarea neuropatiei optice ereditare Leber. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Cum acționează Lumevoq?

Pacienții cu neuropatie optică ereditară Leber au mutații genetice care afectează componentele celulelor nervoase din globul ocular care produc energie. Ca urmare a acestor mutații, celulele nu pot produce o enzimă (proteină) numită NADH dehidrogenază, subunitatea 4 (ND4).

Substanța activă din Lumevoq, lenadogene nolparvovec, este formată dintr-un virus care conține gena pentru această enzimă. Când medicamentul este injectat în globul ocular, se preconizează că virusul eliberează gena în celule, permițându-le să producă enzima ND4.

Virusul utilizat în acest medicament (virus adeno-asociat) nu provoacă boli la om.

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



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele a două studii principale care au cuprins 76 de pacienți cu neuropatie optică ereditară Leber provocată de mutația m.11778G>A. Pacienților din aceste studii li s-a administrat o injecție cu Lumevoq într-un glob ocular, în timp ce în celălalt glob ocular li s-a administrat o injecție simulată (prin care seringă este apăsată pe globul ocular, dar nu se efectuează nicio injecție). Ambele studii au evaluat gradul de ameliorare a vederii cu Lumevoq prin comparație cu o injecție simulată, după 48 de săptămâni.

Un al treilea studiu principal a urmărit pacienții din cele două studii și a testat vederea la trei ani după administrarea injecțiilor.

Un al patrulea studiu principal, care a cuprins 98 de pacienți cu neuropatie optică ereditară Leber provocată de mutația m.11778G>A, a comparat tratamentul biocular cu Lumevoq cu tratamentul unui ochi cu Lumevoq și al celuilalt cu o injecție cu placebo (un preparat inactiv).

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. După evaluarea de către agenție a răspunsurilor companiei la ultima rundă de întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

La momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu conform căruia Lumevoq nu putea fi autorizat pentru tratarea neuropatiei optice ereditare Leber provocate de mutația m.11778G>A.

Rezultatele studiilor nu au indicat o diferență semnificativă de vedere între ochii în care s-a administrat o injecție cu Lumevoq și cei în care s-a administrat o injecție simulată sau cu placebo. În plus, studiile nu au furnizat dovezi suficiente pentru a demonstra că administrarea bioculară a Lumevoq ar fi benefică pentru pacienți.

De asemenea, agenția a avut unele întrebări cu privire la studiile de laborator efectuate pentru acest medicament, precum și cu privire la procesul de fabricație și unitățile de producție care urmau să producă și să testeze produsul comercial. Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, beneficiile Lumevoq nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că retragerea se bazează pe considerațiile Comitetului pentru terapii avansate (CAT) din cadrul EMA privind beneficiile medicamentului.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții care sunt deja tratați și care participă în prezent la studii clinice sau la programe de uz compasional.

Compania intenționează să își reia programele de acces timpuriu când medicamentul va fi disponibil pentru uz clinic.

Dacă participați la un studiu clinic sau program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului.