



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 април 2023 г.
EMA/251165/2023
EMA/H/C/005047

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Lumevoq (lenadogene nolparvovес)

Gensight Biologics SA оттегли заявлението си за разрешение за употреба на Lumevoq за лечение на загуба на зрението поради заболяване на очите, известно като наследствена оптична невропатия на Лебер.

Фирмата оттегля заявлението си на 20 април 2023 г.

Какво представлява Lumevoq и за какво е предназначен да се използва?

Lumevoq е разработен като лекарство за лечение на загуба на зрението при пациенти с наследствена оптична невропатия на Лебер — заболяване, което засяга нервите в задната част на окото.

Предназначен е за пациенти на възраст над 15 години, които имат специфична мутация (промяна) в ген, известен като m.11778G>A.

Lumevoq съдържа активното вещество ленадоген нолпарвовек (lenadogene nolparvovес) и е трябвало да се предлага под формата на инжекционна суспензия в двете очи.

Lumevoq е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 13 май 2011 г. за лечение на наследствена оптична невропатия на Лебер. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Как действа Lumevoq?

Пациентите с наследствена оптична невропатия на Лебер имат генетични мутации, които засягат произвеждащите енергия компоненти на нервните клетки в очите. В резултат на тези мутации клетките не могат да произведат ензим (протеин), известен като NADH дехидрогеназа 4 (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



Активното вещество в Lumevoq, ленадоген нолпарвовек, се състои от вирус, който съдържа гена за този ензим. Когато лекарството се инжектира в окото, се очаква вирусът да достави гена в клетките, което ще им позволи да произвеждат ензима ND4.

Вирусът, използван в това лекарство (адено-асоцииран вирус), не причинява заболяване при хората.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата представя резултати от две основни проучвания при 76 пациенти с наследствена оптична невропатия на Лебер, причинена от мутацията m.11778G>A. Пациентите в тези проучвания получават инжекция Lumevoq в едното око, а в другото око получават псевдоинжекция (при която спринцовката се притиска към окото, но няма инжекция). Двете проучвания разглеждат в каква степен Lumevoq подобрява зрението в сравнение с псевдоинжекция след 48 седмици.

Трето основно проучване проследява пациентите от двете проучвания и изследва зрението им три години след инжекциите.

Четвърто основно проучване при 98 пациенти с наследствена оптична невропатия на Лебер, причинена от m.11778G > A мутация, сравнява лечението на двете очи с Lumevoq с лечението на едното око с Lumevoq, а другото — с плацебо (сляпа) инжекция.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила информацията, представена от фирмата, и е изготвила въпроси към фирмата. След като Агенцията е оценила отговорите на фирмата на последната група въпроси, все още остават някои неразрешени проблеми.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Към момента на оттеглянето Агенцията има известни забележки и изразява предварителното становище, че Lumevoq не може да бъде одобрен за лечение на наследствена оптична невропатия на Лебер, причинена от мутацията m.11778G>A.

Резултатите от проучванията не показват значителна разлика между зрението в очите, инжектирани с Lumevoq, и тези, на които се прилага псевдоинжекция или плацебо. Освен това проучванията не предоставят достатъчно доказателства, че прилагането на Lumevoq и в двете очи би било от полза за пациентите.

Агенцията има също така някои въпроси относно лабораторните проучвания, проведени с лекарството, както и относно производствения процес и обектите, които ще произвеждат и тестват търговския продукт. Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че ползите от Lumevoq не превишават рисковете.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В [писмото](#), с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че оттеглянето се основава на съображенията на Комитета за модерни терапии (CAT) на ЕМА относно ползите от лекарството.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата информира Агенцията, че няма последствия за пациентите, които вече са лекувани и понастоящем участват в клинични изпитвания или в програми за палиативна употреба.

Фирмата възнамерява да възобнови своите програми за ранен достъп, когато лекарството е налично за клинична употреба.

Ако участвате в клинично изпитване или в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, свържете се с лекаря, който ви го е предписал.