



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. dubna 2023
EMA/251166/2023
EMA/H/C/005047

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Lumevoq (lenadogen nolparvovek)

Společnost Gensight Biologics SA stáhla svou žádost o registraci přípravku Lumevoq určeného k léčbě ztráty zraku v důsledku onemocnění oka známého jako Leberova dědičná optická neuropatie.

Společnost svou žádost stáhla dne 20. dubna 2023.

Co je přípravek Lumevoq a k čemu měl být používán?

Přípravek Lumevoq byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě ztráty zraku u pacientů s Leberovou dědičnou optickou neuropatií, což je onemocnění postihující nerv v zadní části oka.

Byl určen pro pacienty ve věku od 15 let s určitou mutací (změnou) v genu s názvem m.11778G>A.

Přípravek Lumevoq obsahuje léčivou látku lenadogena nolparvovek a měl být dostupný ve formě injekční suspenze k podání do obou očí.

Přípravek Lumevoq byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 13. května 2011. Přípravek měl být určen k léčbě Leberovy dědičné optické neuropatie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Jak přípravek Lumevoq působí?

Pacienti s Leberovou dědičnou optickou neuropatií vykazují genetické mutace, které ovlivňují určité složky nervových buněk v očích, jež produkují energii. V důsledku těchto mutací nejsou tyto buňky schopny vytvářet enzym (bílkovinu) známý jako NADH dehydrogenáza 4 (ND4).

Léčivá látka v přípravku Lumevoq, lenadogen nolparvovek, je virus, který obsahuje gen tohoto enzymu. Očekává se, že jakmile je léčivý přípravek injekčně podán do oka, virus dopraví gen do buněk, což jim umožní vytvářet enzym ND4.

Virus použitý v tomto léčivém přípravku (adeno-asociovaný virus) nevyvolává u lidí onemocnění.

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



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky dvou hlavních studií, do kterých bylo zařazeno 76 pacientů s Leberovou dědičnou optickou neuropatií způsobenou mutací m.11778G>A. Pacientům zařazeným do těchto studií byla do jednoho oka podávána injekce přípravku Lumevoq, zatímco u druhého oka byla použita simulovaná injekce (kdy se injekční stříkačka přitlačí k oku, ale ke vpichu injekce nedojde). Obě studie hodnotily, do jaké míry zlepšil přípravek Lumevoq po 48 týdnech zrak v porovnání se simulovanou injekcí.

V třetí hlavní studii byli sledováni pacienti z těchto dvou studií, přičemž tři roky po ukončení podávání injekcí byl testován jejich zrak.

Čtvrtá hlavní studie, do které bylo zařazeno 98 pacientů s Leberovou dědičnou optickou neuropatií způsobenou mutací m.11778G>A, porovnávala léčbu obou očí přípravkem Lumevoq s léčbou jednoho oka přípravkem Lumevoq a druhého oka placebo (simulovanou) injekcí.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila informace předložené společností a vypracovala otázky pro společnost. Agentura vyhodnotila odpovědi společnosti na poslední sadu otázek, některé body však zůstaly nedořešené.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

V době stažení žádosti měla agentura určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Lumevoq nemůže být schválen k léčbě Leberovy dědičné optické neuropatie způsobené mutací m.11778G>A.

Výsledky studií neprokázaly významný rozdíl ve zraku pacientů, kterým byla podávána injekce přípravku Lumevoq, a pacientů, jimž byla podávána simulovaná neboli placebo injekce. Studie navíc neposkytly dostatečné důkazy, které by prokazovaly, že by podávání přípravku Lumevoq do obou očí bylo pro pacienty přínosné.

Agentura měla pochybnosti rovněž o laboratorních studiích provedených s tímto léčivým přípravkem, jakož i o výrobním procesu a místech, která by komerční léčivý přípravek vyráběla a testovala. Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že přínosy přípravku Lumevoq nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje na základě úvah Výboru pro moderní terapie (CAT) agentury EMA ohledně přínosů léčivého přípravku.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Lumevoq podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou již léčeni a jsou v současné době zařazeni do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Lumevoq podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Společnost má v úmyslu obnovit své programy včasného přístupu, jakmile bude léčivý přípravek k dispozici pro klinické použití.

Pokud jste zařazeni do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Lumevoq podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře.