



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. april 2023
EMA/251167/2023
EMA/H/C/005047

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Lumevoq (lenadogen nolparvovec)

Gensight Biologics SA tilbagetrak sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Lumevoq til behandling af synstab som følge af en øjensygdom kaldet Lebers hereditære opticus-neuropati (dvs. arvelig synsnerveatrofi).

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 20. april 2023.

Hvad er Lumevoq, og hvad forventedes det anvendt til?

Lumevoq blev udviklet som et lægemiddel til behandling af synstab hos patienter med Lebers hereditære opticus-neuropati, en sygdom, der påvirker nerven i den bageste del af øjet.

Det var beregnet til patienter fra 15 år, som har en bestemt mutation (ændring) i et gen kaldet m.11778G>A.

Lumevoq indeholder det aktive stof lenadogen nolparvovec og skulle markedsføres som en opløsning til injektion i begge øjne.

Lumevoq blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 13. maj 2011 til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati. Yderligere oplysninger om udpegelsen som lægemiddel til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Hvordan virker Lumevoq?

Patienter med Lebers hereditære opticus-neuropati har genetiske mutationer, som påvirker de energiproducerende komponenter i nervecellerne i øjnene. På grund af disse mutationer kan cellerne ikke producere et enzym (protein) kaldet NADH-dehydrogenase 4 (ND4).

Det aktive stof i Lumevoq, lenadogen nolparvovec, består af et virus, der indeholder genet for dette enzym. Når lægemidlet indsprøjtes i øjet, forventes virusset at overføre genet til cellerne, så de kan producere ND4-enzymet.

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



Det virus, der anvendes i dette lægemiddel (adeno-associeret virus), forårsager ikke sygdom hos mennesker.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultater fra to hovedstudier, der omfattede 76 patienter med Lebers hereditære opticus-neuropati forårsaget af mutationen m.11778G>A. Patienterne i disse studier fik en injektion af Lumevoq i det ene øje, mens de i det andet øje fik en skininjektion (hvor sprøjten presses mod øjet, men der ikke injiceres noget). Begge studier så på, hvor godt Lumevoq forbedrede synet sammenlignet med en skininjektion efter 48 uger.

Et tredje studie fulgte patienterne fra de to studier og testede deres syn tre år efter injektionerne.

Et fjerde hovedstudie, der omfattede 98 patienter med Lebers hereditære opticus-neuropati forårsaget af mutationen m.11778G>A, sammenlignede behandling med Lumevoq i begge øjne med behandling af det ene øje med Lumevoq og det andet med en placeboinjektion (virkningsløs injektion).

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Efter at agenturet havde vurderet virksomhedens svar på den sidste spørgsmålsrunde, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På tidspunktet for tilbagetrækningen havde agenturet visse betænkeligheder, og dets foreløbige udtalelse var, at Lumevoq ikke kunne være blevet godkendt til behandling af Lebers hereditære opticus-neuropati forårsaget af mutationen m.11778G>A.

Resultaterne af studierne viste ikke nogen betydelig synsforskel for øjne, der fik en injektion med Lumevoq, og øjne, der fik en skin- eller placeboinjektion. Studierne gav desuden ikke tilstrækkelig evidens til at påvise, at det ville være til fordel for patienterne at give Lumevoq i begge øjne.

Agenturet havde også visse spørgsmål til de laboratoriestudier, der var udført med lægemidlet, og til fremstillingsprocessen og de steder, der skulle fremstille og teste det kommercielle produkt. Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Lumevoq ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at tilbagetrækningen var baseret på overvejelserne om fordelene ved lægemidlet i EMA's Udvalg for Avancerede Terapier (CAT).

Har denne tilbagetrækning betydning for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at tilbagetrækningen ikke har nogen betydning for patienter, der allerede er i behandling og i øjeblikket deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Virksomheden har til hensigt at genoptage sine programmer med tidlig adgang, når lægemidlet er tilgængeligt til klinisk brug.

Hvis du deltager i et klinisk studie eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte din læge.