



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 Απριλίου 2023  
EMA/251169/2023  
EMA/H/C/005047

## Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Lumevoq (lenadogene nolparnonec)

Η Gensight Biologics SA απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Lumevoq για τη θεραπεία της απώλειας όρασης λόγω μιας οφθαλμικής πάθησης που είναι γνωστή ως κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 20 Απριλίου 2023.

### **Τι είναι το Lumevoq και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;**

Το Lumevoq αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία της απώλειας όρασης σε ασθενείς με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber, μια νόσο που επηρεάζει το νεύρο στο πίσω μέρος του οφθαλμού.

Προοριζόταν για ασθενείς ηλικίας 15 ετών και άνω με συγκεκριμένη μετάλλαξη (αλλαγή) σε ένα γονίδιο που είναι γνωστό ως m.11778G>A.

Το Lumevoq περιέχει τη δραστική ουσία lenadogene nolparnonec και επρόκειτο να διατεθεί ως ενέσιμο εναιώρημα για έγχυση και στους δύο οφθαλμούς.

Το Lumevoq χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 13 Μαΐου 2011 για τη θεραπεία της κληρονομικής οπτικής νευροπάθειας Leber. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860).

### **Πώς δρα το Lumevoq;**

Οι ασθενείς με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber παρουσιάζουν γενετικές μεταλλάξεις που επηρεάζουν τα συστατικά των νευρικών κυττάρων που παράγουν ενέργεια στους οφθαλμούς. Ως αποτέλεσμα αυτών των μεταλλάξεων, τα κύτταρα δεν μπορούν να παράγουν ένα ένζυμο (πρωτεΐνη) που είναι γνωστό ως NADH αφυδρογονάση 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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Η δραστική ουσία του Lumenoq, η lenadogene nolparnovec, αποτελείται από έναν ιό που περιέχει το γονίδιο για το εν λόγω ένζυμο. Όταν το φάρμακο χορηγείται με ένεση στον οφθαλμό, ο ιός αναμένεται να μεταφέρει το γονίδιο στα κύτταρα, επιτρέποντας την παραγωγή του ενζύμου ND4.

Ο ιός που χρησιμοποιείται στο εν λόγω φάρμακο (αδενοσχετιζόμενος ιός) δεν προκαλεί νόσο στον άνθρωπο.

## **Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;**

Η παρασκευάστρια εταιρεία υπέβαλε τα αποτελέσματα δύο κύριων μελετών στις οποίες μετείχαν 76 ασθενείς με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber που προκαλείται από τη μετάλλαξη m.11778G>A. Στους ασθενείς που μετείχαν στις εν λόγω μελέτες χορηγήθηκε ένεση με Lumenoq στον έναν οφθαλμό, ενώ στον άλλο οφθαλμό χορηγήθηκε εικονική ένεση (κατά την οποία η σύριγγα πιέζεται στον οφθαλμό αλλά δεν πραγματοποιείται έγχυση). Και στις δύο μελέτες εξετάστηκε πόσο πολύ βελτιώθηκε η όραση με το Lumenoq σε σύγκριση με εικονική ένεση μετά από 48 εβδομάδες.

Σε μια τρίτη κύρια μελέτη μετείχαν ασθενείς από τις δύο μελέτες και ελέγχθηκε η όρασή τους τρία χρόνια μετά τις ενέσεις.

Μια τέταρτη κύρια μελέτη, στην οποία μετείχαν 98 ασθενείς με κληρονομική οπτική νευροπάθεια Leber που προκαλείται από τη μετάλλαξη m.11778G>A, συνέκρινε τη θεραπεία και των δύο οφθαλμών με Lumenoq με τη θεραπεία του ενός οφθαλμού με Lumenoq και του άλλου με εικονικό φάρμακο (εικονική ένεση).

## **Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;**

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε αξιολογήσει τα στοιχεία που είχαν υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Αφότου ο Οργανισμός ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

## **Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;**

Τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Lumenoq δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της κληρονομικής οπτικής νευροπάθειας Leber που προκαλείται από τη μετάλλαξη m.11778G>A.

Τα αποτελέσματα των μελετών δεν κατέδειξαν σημαντική διαφορά στην όραση μεταξύ των οφθαλμών στους οποίους χορηγήθηκε ένεση με Lumenoq και εκείνων στους οποίους χορηγήθηκε εικονικό φάρμακο (εικονική ένεση). Επιπλέον, οι μελέτες δεν παρείχαν επαρκή στοιχεία που να αποδεικνύουν ότι η χορήγηση Lumenoq και στους δύο οφθαλμούς θα ήταν επωφελής για τους ασθενείς.

Ο Οργανισμός είχε επίσης ορισμένες ερωτήσεις σχετικά με τις εργαστηριακές μελέτες που διεξήχθησαν για το φάρμακο, καθώς και σχετικά με τη διαδικασία παρασκευής και τις εγκαταστάσεις παραγωγής και δοκιμής του εμπορικού προϊόντος. Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Lumenoq δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

## **Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;**

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι η απόσυρσή της βασίζεται στις εκτιμήσεις της Επιτροπής Προηγμένων Θεραπειών (ΕΠΘ) του ΕΜΑ σχετικά με τα οφέλη του φαρμάκου.

## **Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;**

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που έχουν ήδη υποβληθεί σε θεραπεία και συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές ή σε προγράμματα παρηγορητικής χρήσης.

Η εταιρεία σκοπεύει να συνεχίσει τα προγράμματα έγκαιρης πρόσβασης όταν το φάρμακο θα είναι διαθέσιμο για κλινική χρήση.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας τη χορηγεί.