



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 de abril de 2023
EMA/251170/2023
EMA/H/C/005047

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Lumevoq (lenadogén nolparvovec)

Gensight Biologics SA retiró su solicitud de autorización de comercialización de Lumevoq para el tratamiento de la pérdida de visión debida a una enfermedad ocular denominada neuropatía óptica hereditaria de Leber.

La empresa retiró la solicitud el 20 de abril de 2023.

¿Qué es Lumevoq y a qué uso estaba destinado?

Lumevoq es un medicamento que se desarrolló para tratar la pérdida de visión en pacientes con neuropatía óptica hereditaria de Leber, una enfermedad que afecta al nervio de la parte posterior del ojo.

Se iba a utilizar en pacientes a partir de los 15 años de edad que presentan una mutación (cambio) específica en un gen conocido como m.11778G>A.

Lumevoq contiene el principio activo lenadogén nolparvovec e iba a presentarse en forma de suspensión inyectable en ambos ojos.

Lumevoq fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 13 de mayo de 2011 para el tratamiento de la neuropatía óptica hereditaria de Leber. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

¿Cómo actúa Lumevoq?

Los pacientes con neuropatía óptica hereditaria de Leber presentan mutaciones genéticas que afectan a los componentes de las células nerviosas que producen energía en los ojos. Debido a estas mutaciones, las células son incapaces de producir una enzima (proteína) conocida como NADH deshidrogenasa 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



El principio activo de Lumevoq, el lenadogén nolparvovec, consiste en un virus que contiene el gen de esta enzima. Cuando el medicamento se inyecta en el ojo, se espera que el virus introduzca el gen en las células para que puedan producir la enzima ND4.

El virus utilizado en este medicamento (virus adenoasociado) no causa enfermedad en los seres humanos.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de dos estudios principales en los que participaron 76 pacientes con neuropatía óptica hereditaria de Leber causada por la mutación m.11778G>A. Los pacientes de estos estudios recibieron una inyección de Lumevoq en un ojo, mientras que en el otro recibieron una inyección simulada (es decir, la jeringa se presiona contra el ojo, pero no se llega a inyectar). En ambos estudios se examinó la eficacia de Lumevoq para mejorar la vista en comparación con una inyección simulada al cabo de 48 semanas.

En un tercer estudio principal se hizo un seguimiento de los pacientes de estos dos estudios y se evaluó su visión tres años después de las inyecciones.

En un cuarto estudio principal, en el que participaron 98 pacientes con neuropatía óptica hereditaria de Leber causada por la mutación m.11778G>A, se comparó el tratamiento de ambos ojos con Lumevoq con el tratamiento de un ojo con Lumevoq y del otro con una inyección de placebo (tratamiento ficticio).

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiera evaluado la documentación presentada por la empresa y formulado una lista de preguntas para la empresa. Después de que la Agencia hubo evaluado las respuestas de la empresa a la última serie de preguntas, aún quedaban algunas cuestiones sin resolver.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

En el momento de la retirada, la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Lumevoq no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la neuropatía óptica hereditaria de Leber causada por la mutación M.11778G>A.

Los resultados de los estudios no mostraron una diferencia significativa en la visión en los ojos en los que se inyectó Lumevoq y en los que recibieron una inyección simulada o un placebo. Además, los estudios no aportaron pruebas suficientes de que la administración de Lumevoq en ambos ojos fuera beneficiosa para los pacientes.

La Agencia también tenía algunas preguntas sobre los estudios de laboratorio realizados con el medicamento, así como sobre el proceso de fabricación y los centros que fabricarían y analizarían el producto comercial. Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que los beneficios de Lumevoq no superaban a los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que la retirada se basaba en las consideraciones del Comité de Terapias Avanzadas (CAT) de la EMA relativas a los beneficios del medicamento.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que ya están siendo tratados y que participan actualmente en ensayos clínicos o en programas de uso compasivo.

La empresa tiene la intención de reanudar sus programas de acceso temprano cuando el medicamento esté disponible para uso clínico.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con su médico.