



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. huhtikuuta 2023
EMA/251172/2023
EMA/H/C/005047

Lumevoq-valmisteen (lenadogeeninolparvoveekki) myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Gensight Biologics SA peruutti Lumevoqia koskevan myyntilupahakemuksensa. Lumevoqia oli tarkoitus käyttää Leberin perinnöllisestä optisesta neuropatiasta johtuvan näön menetyksen hoitoon.

Yhtiö peruutti hakemuksen 20. huhtikuuta 2023.

Mitä Lumevoq on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Lumevoq kehitettiin lääkkeeksi näkökyvyn menetyksen hoitoon potilailla, joilla on Leberin perinnöllinen optinen neuropatia. Se on sairaus, joka vaikuttaa silmän takaosan hermoon.

Valmiste oli tarkoitettu vähintään 15-vuotiaille potilaille, joilla on tietty mutaatio (muutos) geenissä, joka tunnetaan nimellä m.11778G>A.

Lumevoqin vaikuttava aine on lenadogeeninolparvoveekki, ja sen oli määrä olla saatavana suspensiona molempiin silmiin annettavaa injeksiota varten.

Lumevoq nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 13. toukokuuta 2011 Leberin perinnöllisen optisen neuropatian hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Miten Lumevoq vaikuttaa?

Leberin perinnöllistä optista neuropatiaa sairastavilla potilailla on geneettisiä mutaatioita, jotka vaikuttavat silmien hermosolujen energiaa tuottaviin komponentteihin. Näiden mutaatioiden vuoksi solut eivät pysty tuottamaan entsyymiä (proteiinia), joka tunnetaan nimellä NADH-dehydrogenaasi 4 (ND4).

Lumevoqin vaikuttava aine lenadogeeninolparvoveekki koostuu viruksesta, joka sisältää geenin tätä entsyymiä varten. Kun lääke injektoidaan silmään, viruksen odotetaan kuljettavan geenin soluihin, jolloin solut voivat tuottaa ND4-entsyymiä.

Tässä lääkkeessä käytetty virus (adenoassosioitu virus) ei aiheuta tautia ihmisille.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset kahdesta päätutkimuksesta, joihin osallistui 76 potilasta, joilla oli m.11778G>A-mutaatiosta johtuva Leberin perinnöllinen optinen neuropatia. Näissä tutkimuksissa potilaat saivat yhteen silmään Lumevoq-injektion ja toiseen silmään lumeinjektion (jossa ruisku painetaan silmää vasten, mutta injektiota ei tehdä). Molemmissa tutkimuksissa tarkasteltiin, miten hyvin Lumevoq paransi näkökykyä verrattuna lumeinjektioon 48 viikon jälkeen.

Kolmannessa päätutkimuksessa seurattiin näihin kahteen tutkimukseen osallistuneiden potilaiden näkökykyä kolmen vuoden kuluttua injektioista.

Neljänteen päätutkimukseen osallistui 98 potilasta, joilla oli Leberin perinnöllinen optinen neuropatia, jonka aiheuttajana oli m.11778G>A-mutaatio. Tutkimuksessa verrattiin kummankin silmän hoitoa Lumevoqilla toisen silmän hoitoon Lumevoqilla ja toisen silmän hoitoon lumeinjektioilla.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun virasto oli arvioinut yhtiön viimeisiin kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Hakemuksen peruuttamisen ajankohtana virastolla oli joitakin huolenaiheita, ja sen alustava kanta oli, että Lumevoqia ei olisi voitu hyväksyä m.11778G>A-mutaation aiheuttaman Leberin perinnöllisen optisen neuropatian hoitoon.

Tutkimusten tulokset eivät osoittaneet merkitsevää eroa Lumevoq-valmistetta saaneiden ja lumeinjektion saaneiden silmien näkökyvyssä. Tutkimuksista ei myöskään saatu riittävästi näyttöä siitä, että Lumevoqin antamisesta molempiin silmiin olisi hyötyä potilaille.

Virastolla oli myös kysymyksiä laboratoriotutkimuksista, joita lääkkeestä oli tehty, sekä valmistusprosessista ja paikoista, joissa kaupallista valmistetta valmistettaisiin ja testattaisiin. Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, että Lumevoq-valmisteesta saatava hyöty ei ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se totesi, että hakemuksen peruuttaminen perustuu Euroopan lääkeviraston pitkälle kehitettyjä terapioida käsittelevän komitean (CAT) näkemyksiin lääkkeen hyödyistä.

Vaikuttaako tämä hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka jo saavat hoitoa ja osallistuvat klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

Yritys aikoo jatkaa varhaisen saatavuuden ohjelmiaan, kun lääke on saatavilla kliniseen käyttöön.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.