



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 avril 2023
EMA/251173/2023
EMA/H/C/005047

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Lumevoq (lénadogène nolparvovec)

Gensight Biologics SA a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché de Lumevoq pour le traitement de la perte de vision due à une affection oculaire connue sous le nom de neuropathie optique héréditaire de Leber.

La société a retiré sa demande le 20 avril 2023.

Qu'est-ce que Lumevoq et dans quel cas devait-il être utilisé?

Lumevoq a été développé en tant que médicament pour le traitement de la perte de vision chez les patients atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber, une maladie qui affecte le nerf à l'arrière de l'œil.

Il était destiné aux patients âgés de 15 ans et plus présentant une mutation (modification) particulière d'un gène connu sous le nom de m.11778G>A.

Lumevoq contient la substance active lénadogène nolparvovec et devait être disponible sous la forme d'une suspension injectable dans les deux yeux.

Lumevoq a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), le 13 mai 2011 pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Comment Lumevoq agit-il?

Les patients atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber présentent des mutations génétiques qui affectent les composants producteurs d'énergie des cellules nerveuses des yeux. À la suite de ces mutations, les cellules ne sont pas en mesure de produire une enzyme (protéine) connue sous le nom de NADH déshydrogénase 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



La substance active de Lumevoq, le lénadogène nolparvovec, est constituée d'un virus qui contient le gène de cette enzyme. Lorsque le médicament est injecté dans l'œil, le virus doit transmettre le gène aux cellules, leur permettant ainsi de produire l'enzyme ND4.

Le virus utilisé dans ce médicament (virus adéno-associé) ne provoque pas de maladie chez l'homme.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté les résultats de deux études principales portant sur 76 patients atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber causée par la mutation m.11778G>A. Dans ces études, les patients ont reçu une injection de Lumevoq dans un œil, tandis que dans l'autre œil, ils ont reçu une injection placebo (dans laquelle la seringue est appuyée contre l'œil, mais sans faire d'injection). Les deux études visaient à déterminer dans quelle mesure Lumevoq améliorerait la vue par rapport à une injection placebo après 48 semaines.

Une troisième étude principale a suivi les patients des deux études et évalué leur vue trois ans après les injections.

Une quatrième étude principale portant sur 98 patients atteints de neuropathie optique héréditaire de Leber causée par la mutation m.11778G>A a comparé le traitement des deux yeux par Lumevoq au traitement d'un œil par Lumevoq et de l'autre œil par injection placebo (traitement fictif).

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que l'Agence européenne des médicaments a évalué les informations de la société et préparé des questions à son intention. Après l'évaluation par l'Agence des réponses apportées par la société à la dernière série de questions, certains aspects problématiques demeuraient en suspens.

Quelle était la recommandation de l'Agence à ce stade?

Au moment du retrait, l'Agence avait des réserves et estimait à ce stade que Lumevoq n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de la neuropathie optique héréditaire de Leber causée par la mutation m.11778G>A.

Les résultats des études n'ont pas montré de différence significative de la vision entre les yeux ayant reçu une injection de Lumevoq et ceux ayant reçu une injection fictive ou placebo. En outre, les études n'ont pas fourni d'éléments de preuve suffisants pour démontrer que l'administration de Lumevoq aux deux yeux serait bénéfique aux patients.

L'Agence avait également des questions sur les études de laboratoire réalisées avec le médicament, ainsi que sur le procédé de fabrication et les sites qui fabriqueraient et testeraient le produit commercial. Par conséquent, au moment du retrait, l'avis de l'Agence était que les bénéfices de Lumevoq n'étaient pas supérieurs à ses risques.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué que son retrait était fondé sur les considérations du comité des thérapies innovantes (CAT) de l'EMA concernant les bénéfices du médicament.

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients qui sont déjà traités et qui participent actuellement à des essais cliniques ou à des programmes d'utilisation compassionnelle.

La société a l'intention de reprendre ses programmes d'accès précoce lorsque le médicament sera disponible pour un usage clinique.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations supplémentaires sur votre traitement, contactez votre médecin.