



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023. április 26.
EMA/251175/2023
EMA/H/C/005047

A Lumevoq-ra (lenadogén nolparvovec) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Gensight Biologics SA visszavonta a Leber-féle öröklődő optikus neuropátia néven ismert szembetegség okozta látásvesztés kezelésére szánt Lumevoq-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2023. április 20-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Lumevoq és milyen alkalmazásra szánták?

A Lumevoq-ot a Leber-féle öröklődő optikus neuropátiában, a szem hátsó részében található ideget érintő betegségben szenvedő betegeknél fellépő látásvesztés kezelésére fejlesztették ki.

A gyógyszert olyan 15 éves és idősebb betegeknek szánták, akiknél az m.11778G>A elnevezésű gén különleges mutációja (változása) van jelen.

A Lumevoq hatóanyaga a lenadogén nolparvovec, és mindkét szembe adandó szuszpenziós injekció formájában hozták volna forgalomba.

A Lumevoq-ot 2011. május 13-án a Leber-féle öröklődő optikus neuropátia tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Hogyan fejti ki hatását a Lumevoq?

A Leber-féle öröklődő optikus neuropátiában szenvedő betegeknél olyan genetikai mutációk vannak jelen, amelyek befolyásolják a szemben található idegsejtek energiatermelő komponenseit. E mutációk eredményeként a sejtek nem képesek az NADH-dehidrogenáz-4 (ND4) elnevezésű enzim (fehérje) előállítására.

A Lumevoq hatóanyaga, a lenadogén nolparvovec egy vírus, amely tartalmazza ennek az enzimnek a génjét. Amikor a gyógyszert a szembe injektálják, a vírus a gént várhatóan a sejtekbe juttatja, lehetővé téve számukra az ND4 enzim előállítását.

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



Az ebben a gyógyszerben található vírus (adeno-asszociált vírus) embereknél nem okoz betegséget.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat két fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyekben 76, az m.11778G>A mutáció okozta Leber-féle öröklődő optikus neuropátiában szenvedő beteg vett részt. A vizsgálatokban a betegek az egyik szemükbe Lumevoq-injekciót, a másik szemükbe pedig álinjekciót kaptak (amelynél a fecskendő a szemhez nyomják, de nem történik injekálás). Mindkét vizsgálatban azt tanulmányozták, hogy 48 hét elteltével a Lumevoq az álinjekcióhoz képest milyen mértékben javította a látást.

Egy harmadik fő vizsgálatban követték a két vizsgálatban részt vevő betegek állapotát, és látásukat három évvel az injekció beadása után tesztelték.

Egy negyedik fő vizsgálatban, amelyben 98, az m.11778G>A mutáció okozta Leber-féle öröklődő optikus neuropátiában szenvedő beteg vett részt, a két szem Lumevoq-kal történő kezelését hasonlították össze az egyik szem Lumevoq-kal és a másik szem placebó-injekcióval történő kezelésével.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott információt és a vállalat számára kérdéslíátákat állított össze. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak az utolsó kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Lumevoq alkalmazása nem engedélyezhető az m.11778G>A mutáció okozta Leber-féle öröklődő optikus neuropátia kezelésére.

A vizsgálatok eredményei nem mutattak jelentős látásbeli különbséget a Lumevoq-kal, illetve az ál- vagy placebó-injekcióval kezelt szemek között. Továbbá a vizsgálatok nem nyújtottak elegendő bizonyítékot annak igazolására, hogy a Lumevoq mindkét szembe történő beadása előnyös lenne a betegek számára.

Az Ügynökségnek kérdései merültek fel a gyógyszerrel végzett laboratóriumi vizsgálatokkal, valamint a gyártási folyamattal és a kereskedelmi terméket gyártó és tesztelő telephelyekkel kapcsolatban is. Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség meglátása szerint a Lumevoq előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a visszavonás az EMA fejlett terápiákkal foglalkozó bizottságának (CAT) a gyógyszer előnyeivel kapcsolatos megfontolásain alapul.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban már kezelt, illetve jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

A vállalat folytatni kívánja korai hozzáférési programjait, amint a gyógyszer klinikai használatra rendelkezésre áll.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti alkalmazási programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.