



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 aprile 2023  
EMA/251176/2023  
EMA/H/C/005047

## Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Lumevoq (lenadogene nolparvovec)

Gensight Biologics SA ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Lumevoq, per il trattamento della perdita della vista dovuta a un'affezione oculare nota come neuropatia ottica ereditaria di Leber.

La ditta ha ritirato la domanda il 20 aprile 2023.

### Che cos'è Lumevoq e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Lumevoq è stato sviluppato come medicinale per il trattamento della perdita della vista in pazienti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber, una malattia che colpisce il nervo nella parte posteriore dell'occhio.

Era destinato a pazienti a partire dai 15 anni di età che presentano una particolare mutazione (alterazione) in un gene noto come m.11778G>A.

Lumevoq contiene il principio attivo lenadogene nolparvovec e doveva essere disponibile sotto forma di sospensione iniettabile in entrambi gli occhi.

Lumevoq è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 13 maggio 2011 per il trattamento della neuropatia ottica ereditaria di Leber. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860).

### Come agisce Lumevoq?

I pazienti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber presentano mutazioni genetiche che colpiscono i componenti che producono energia delle cellule nervose degli occhi. Conseguentemente a tali mutazioni, le cellule non sono in grado di produrre un enzima (proteina) noto come NADH deidrogenasi 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



Il principio attivo di Lumevoq, lenadogene nolparvovec, è costituito da un virus che contiene il gene di questo enzima. Quando il medicinale viene iniettato nell'occhio, il virus dovrebbe rilasciare il gene nelle cellule, consentendo loro di produrre l'enzima ND4.

Il virus utilizzato in questo medicinale (virus adeno-associato) non provoca malattie negli esseri umani.

## **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

La ditta ha presentato i risultati di due studi principali condotti su 76 pazienti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber causata dalla mutazione m.11778G>A. I pazienti di questi studi hanno ricevuto un'iniezione di Lumevoq in un occhio, mentre nell'altro occhio hanno ricevuto un'iniezione fittizia (in cui la siringa viene premuta contro l'occhio senza iniettare nulla). Entrambi gli studi hanno esaminato il miglioramento della vista con Lumevoq rispetto a un'iniezione fittizia dopo 48 settimane.

Un terzo studio principale ha seguito i pazienti dei due studi e ne ha esaminato la vista tre anni dopo le iniezioni.

Un quarto studio principale condotto su 98 pazienti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber causata dalla mutazione m.11778G>A ha messo a confronto il trattamento di entrambi gli occhi con Lumevoq e il trattamento di un occhio con Lumevoq e dell'altro con un'iniezione di placebo (fittizia).

## **A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?**

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e formulato domande da sottoporle. Dopo la valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte della ditta all'ultima serie di domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

## **Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?**

Al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Lumevoq non potesse essere autorizzato per il trattamento della neuropatia ottica ereditaria di Leber causata dalla mutazione m.11778G>A.

I risultati degli studi non hanno evidenziato una differenza significativa nella vista tra gli occhi trattati con Lumevoq e quelli trattati con un'iniezione fittizia o placebo. Inoltre, gli studi non hanno fornito prove sufficienti atte a dimostrare che la somministrazione di Lumevoq in entrambi gli occhi avrebbe apportato benefici ai pazienti.

L'Agenzia ha inoltre sollevato alcune domande sugli studi di laboratorio condotti con il medicinale, sul processo di produzione e sui siti che avrebbero prodotto e testato il prodotto commerciale. Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che i benefici di Lumevoq non fossero superiori ai suoi rischi.

## **Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?**

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che il ritiro si basa sulle considerazioni del comitato per le terapie avanzate (CAT) dell'EMA in merito ai benefici del medicinale.

## **Il ritiro della domanda ha conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?**

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti già trattati e che attualmente partecipano a studi clinici o a programmi di uso compassionevole.

La ditta intende riprendere i suoi programmi di accesso precoce quando il medicinale sarà disponibile per uso clinico.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico che le sta trattando.