



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023. gada 26. aprīlis
EMA/251178/2023
EMA/H/C/005047

Lumevoq (*lenadogēna nolparvoveks*) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Gensight Biologics SA atsauca *Lumevoq* reģistrācijas apliecības pieteikumu, lai ārstētu Lēbera pārmantoto optisko neiropātiju (*Leber's hereditary optic neuropathy — LHON*), slimību, kas izraisa redzes zudumu.

Uzņēmums pieteikumu atsauca 2023. gada 20. aprīlī.

Kas ir *Lumevoq*, un kādam nolūkam bija paredzēts tās lietot?

Lumevoq tika izstrādātas kā zāles redzes zuduma ārstēšanai pacientiem ar Lēbera pārmantoto optisko neiropātiju — slimību, kas ietekmē nervu acs aizmugurē.

Tās bija paredzētas pacientiem no 15 gadu vecuma, kuriem ir īpaša mutācija (izmaiņas) gēnā, ko dēvē par m.11778G>A.

Lumevoq satur aktīvo vielu lenadogēnu nolparvoveku, un bija paredzēts, ka tās būs pieejamas kā suspensija injekcijām abās acīs.

Lumevoq 2011. gada 13. maijā tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss Lēbera iedzimtās optiskās neiropātijas ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Kā *Lumevoq* darbojas?

Pacientiem ar Lēbera pārmantoto optisko neiropātiju ir ģenētiskas mutācijas, kas ietekmē nervu šūnās esošās enerģiju ražojošās sastāvdaļas acīs. Šo mutāciju rezultātā šūnas nespēj ražot fermentu (proteīnu), kas pazīstams kā *NADH* dehidrogenāze 4 (ND4).

Lumevoq aktīvā viela lenadogēna nolparvoveks sastāv no vīrusa, kas satur šā fermenta enzīmu. Ja zāles injicē acī, ir sagaidāms, ka vīruss ievadīs gēnu šūnās, ļaujot tām ražot ND4 enzīmu.

Šajās zālēs lietotais vīruss (adenoasociētais vīruss) neizraisa cilvēku saslimšanu.

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



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza divu pamatpētījumu rezultātus, iesaistot 76 pacientus ar Lebera pārmantotu optisko neiropātiju, ko izraisījusi m.11778G>A mutācija. Šajos pētījumos pacienti saņēma *Lumevoq* injekciju vienā acī, savukārt otrā acī viņi saņēma neīstu injekciju (kad šļirce tiek piespiesta pie acs, bet netiek veikta injekcija). Abos pētījumos pēc 48 nedēļām noteica, cik labi *Lumevoq* uzlabo redzi salīdzinājumā ar neīstu injekciju.

Trešajā pamatpētījumā iesaistīja pacientus no abiem pētījumiem un pārbaudīja redzi trīs gadus pēc injekcijas.

Ceturtajā pamatpētījumā, iesaistot 98 pacientus ar Lebera pārmantotu optisko neiropātiju, ko izraisījusi m.11778G>A mutācija, abu acu ārstēšanu ar *Lumevoq* salīdzināja ar vienas acs ārstēšanu ar *Lumevoq* un otru ar placebo (fiktīvu) injekciju.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumu sarakstu uzņēmumam. Novērtējusi uzņēmuma sniegtās atbildes uz pēdējā posma jautājumiem, aģentūra konstatēja, ka dažas problēmas joprojām nav atrisinātas.

Kāds bija Aģentūras ieteikums tajā laikā?

Atsaukšanas brīdī aģentūrai bija daži iebildumi, un aģentūra tobrīd provizoriski atzina, ka *Lumevoq* nevarēja apstiprināt m.11778G>A mutācijas izraisītas Lebera pārmantotās optiskās neiropātijas ārstēšanai.

Pētījumu rezultāti neuzrādīja nozīmīgu redzes atšķirību acīm, kuras tika injicētas ar *Lumevoq*, un acīm, kuras saņēma injekcijas imitāciju vai placebo injekciju. Turklāt pētījumi nesniedza pietiekamus pierādījumus, lai pierādītu, ka *Lumevoq* lietošana abās acīs dotu labumu pacientiem.

Aģentūrai bija arī daži jautājumi par laboratorijas pētījumiem, kas veikti ar šīm zālēm, kā arī par ražošanas procesu un ražotnēm, kas izgatavotu un testētu komerciālās zāles. Tāpēc atsaukšanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka *Lumevoq* sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka atsaukšana ir pamatota ar EMA Uzlaboto terapiju komitejas (CAT) apsvērumiem attiecībā uz zāļu ieguvumiem.

Vai šis atsaukums ietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka tas neietekmēs pacientus, kuri jau tiek ārstēti un pašlaik piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās.

Uzņēmums plāno atsākt agrīnās piekļuves programmas, kad zāles būs pieejamas klīniskai lietošanai.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautāiet savam ārstam.