



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 ta' April 2023  
EMA/251179/2023  
EMA/H/C/005047

## L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Lumevoq (lenadogene nolparvovec)

Gensight Biologics SA rtirat l-applikazzjoni tagħha għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Lumevoq għat-trattament tat-telf tal-vista minħabba kundizzjoni tal-għajnejn magħrufa bħala newropatija ottika ereditarja ta' Leber.

Il-kumpanija rtirat l-applikazzjoni fl-20 ta' April 2023.

### X'inhu Lumevoq u għal xiex kien mistenni li jintuża?

Lumevoq għie żviluppat bħala medicina għat-trattament tat-telf tal-vista f'pazjenti b'newropatija ottika ereditarja ta' Leber, marda li taffettwa n-nerv fuq wara tal-għajnejn.

Kien maħsub għal pazjenti minn 15-il sena 'l fuq li għandhom mutazzjoni (bidla) partikolari f'gene magħruf bħala m.11778G>A.

Lumevoq fih is-sustanza attiva lenadogene nolparvovec u kellu jiġi bħala sospensjoni għal injezzjoni fiż-żewġ għajnejn.

Lumevoq kien ikklassifikat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fit-13 ta' Mejju 2011 għat-trattament tan-newropatija ottika ereditarja ta' Leber. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860).

### Kif jaħdem Lumevoq?

Il-pazjenti b'newropatija ottika ereditarja ta' Leber għandhom mutazzjonijiet ġenetiċi li jaffettwaw il-komponenti li jipproduċu l-enerġija taċ-ċelloli tan-nervituri fl-għajnejn. B'riżultat ta' dawn il-mutazzjonijiet, iċ-ċelloli ma jistgħux jipproduċu enzima (proteina) magħrufa bħala NADH dehydrogenase 4 (ND4).

Is-sustanza attiva f'Lumevoq, il-lenadogene nolparvovec, tikkonsisti f'virus li fih il-ġene għal din l-enzima. Meta l-medicina tiġi injettata fl-għajnejn, il-virus huwa mistenni li jwassal il-ġene fiċ-ċelloli u dan jippermettilhom jipproduċu l-enzima 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-virus użat f'din il-medicina (virus assoċjat ma' adeno) ma jikkawżax mard fil-bniedem.

## **X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġja l-applikazzjoni tagħha?**

Il-kumpanija pprezentat riżultati minn żewġ studji ewlenin li involvew 76 pazjent b'newropatija ottika ereditarja ta' Leber ikkawżata mill-mutazzjoni m.11778G>A. Il-pazjenti f'dawn l-istudji rċewew injezzjoni ta' Lumevoq f'għajn waħda, filwaqt li fl-għajn oħra rċewew injezzjoni finta (fejn is-siringa tiġi ppressata kontra l-għajn iżda ma jkun hemm l-ebda injezzjoni). Iż-żewġ studji eżaminaw kemm Lumevoq tejjeb il-vista b'mod tajjeb meta mqabbel ma' injezzjoni finta wara 48 ġimgħa.

It-tielet studju ewleni segwa pazjenti miż-żewġ studji u ttestja l-vista tagħhom tliet snin wara l-injezzjonijiet.

Ir-raba' studju ewleni li involva 98 pazjent b'newropatija ottika ereditarja ta' Leber ikkawżata mill-mutazzjoni M.11778G>A qabbel it-trattament taż-żewġ għajnejn b'Lumevoq mat-trattament ta' għajn waħda b'Lumevoq u l-oħra b'injezzjoni placebo (finta).

## **Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?**

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kienet evalwat l-informazzjoni mill-kumpanija u hejjet mistoqsijiet għall-kumpanija. Wara li l-Aġenzija kienet ivvalutat it-tweġibiet tal-kumpanija għall-aħħar lista ta' mistoqsijiet, kien għad hemm xi kwistjonijiet mhux riżolti.

## **X'kienet ir-rakkomandazzjoni tal-Aġenzija dak iż-żmien?**

Fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kellha xi tħassib u l-opinjoni provviżorja tagħha kienet li Lumevoq ma setax jiġi awtorizzat għat-trattament ta' newropatija ottika ereditarja ta' Leber ikkawżata mill-mutazzjoni m.11778G>A.

Ir-riżultati tal-istudji ma wrewx differenza sinifikanti fil-vista fl-għajnejn injettati b'Lumevoq u f'dawk li ngħataw injezzjoni finta jew placebo. Barra minn hekk, l-istudji ma pprovdewx biżżejjed evidenza biex juru li l-għoti ta' Lumevoq fiż-żewġ għajnejn ikun ta' benefiċċju għall-pazjenti.

L-Aġenzija kellha wkoll xi mistoqsijiet dwar l-istudji fil-laboratorju mwettqa bil-medicina kif ukoll dwar il-proċess ta' manifattura u s-siti li jagħmlu u jittestjaw il-prodott kummerċjali. Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li l-benefiċċji ta' Lumevoq ma kinux jегħlbu r-riskji tiegħu.

## **X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?**

Fl-[ittra](#) li bagħtet lill-Aġenzija biex tgħarrafha bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li l-irtirar tagħha huwa bbażat fuq il-kunsiderazzjonijiet tal-Kumitat għat-Terapiji Avanzati (CAT) tal-EMA dwar il-benefiċċji tal-medicina.

## **Dan l-irtirar jaffettwa lill-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompassjoni?**

Il-kumpanija għarrfet lill-Aġenzija li ma hemm l-ebda konsegwenza għall-pazjenti li diġà huma ttrattati u li bħalissa qegħdin jipparteċipaw fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompassjoni.

Il-kumpanija għandha l-ħsieb li terġa' tibda l-programmi ta' aċċess bikri tagħha meta l-mediċina tkun disponibbli għall-użu kliniku.

Jekk inti qed tiegħu sehem fi prova klinika jew fi programmi ta' użu b'kompassjoni u teħtieġ aktar informazzjoni dwar it-trattament tiegħek, tkellem mat-tabib tiegħek.