



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 april 2023  
EMA/251180/2023  
EMA/H/C/005047

## Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Lumevoq (lenadogene nolparvovec)

Gensight Biologics SA heeft zijn aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen van Lumevoq ingetrokken. Lumevoq was bedoeld voor de behandeling van patiënten die hun gezichtsvermogen verliezen als gevolg van een oogaandoening die de ziekte van Leber of hereditaire opticusneuropathie wordt genoemd.

Het bedrijf heeft de aanvraag op 20 april 2023 ingetrokken.

### **Wat is Lumevoq en voor welke behandeling was het bedoeld?**

Lumevoq werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling van patiënten die hun gezichtsvermogen verliezen als gevolg van een oogaandoening die de ziekte van Leber of hereditaire opticusneuropathie wordt genoemd en die de zenuw aan de achterkant van het oog aantast.

Het was bedoeld voor patiënten vanaf 15 jaar die een bepaalde mutatie (verandering) in het gen 'm.11778G>A' vertonen.

Lumevoq bevat de werkzame stof lenadogene nolparvovec en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van een suspensie voor injectie in beide ogen.

Lumevoq werd op 13 mei 2011 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor de behandeling van de ziekte van Leber. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau:

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

### **Hoe werkt Lumevoq?**

Patiënten met de ziekte van Leber vertonen genetische mutaties die de energieproducerende onderdelen van de oogzenuwcellen aantasten. Als gevolg van die mutaties zijn de cellen niet in staat om het enzym (eiwit) NADH-dehydrogenase 4 (ND4) aan te maken.

---

**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



De werkzame stof in Lumevoq, lenadogene nolparvovec, is een virus dat het gen voor dit enzym bevat. Er wordt verwacht dat dit virus, na injectie van het geneesmiddel in het oog, het gen in de betrokken cellen zal afgeven zodat zij vervolgens het ND4-enzym kunnen aanmaken.

Het virus dat in dit geneesmiddel wordt gebruikt (adeno-geassocieerd virus), veroorzaakt bij de mens geen ziekte.

## **Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?**

Het bedrijf heeft de resultaten ingediend van twee hoofdstudies onder 76 patiënten met de ziekte van Leber als gevolg van m.11778G>A-mutatie. Bij de deelnemende patiënten werd in één oog Lumevoq geïnjecteerd; in het andere oog kregen zij een schijninjectie (waarbij de spuit tegen het oog wordt gedrukt maar er geen injectie plaatsvindt). In beide studies werd onderzocht hoe goed Lumevoq het gezichtsvermogen na 48 weken had verbeterd in vergelijking met de schijninjectie.

Voor een derde hoofdstudie werden patiënten uit de twee eerdere studies aan follow-up onderworpen om hun gezichtsvermogen drie jaar na de injecties te testen.

In het kader van een vierde hoofdstudie onder 98 patiënten met de ziekte van Leber als gevolg van m.11778G>A-mutatie werd de behandeling van beide ogen met Lumevoq vergeleken met de behandeling van één oog met Lumevoq en het andere oog met placebo (een schijnbehandeling).

## **In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?**

De aanvraag werd ingetrokken nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door het bedrijf verstrekte informatie had bestudeerd en vragen voor het bedrijf had opgesteld. Nadat het Geneesmiddelenbureau de antwoorden van het bedrijf op de laatste reeks vragen had beoordeeld, waren er toch nog onopgeloste punten.

## **Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?**

Het Geneesmiddelenbureau had op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was de voorlopige mening toegedaan dat Lumevoq niet kon worden goedgekeurd voor de behandeling van de ziekte van Leber als gevolg van m.11778G>A-mutatie.

Uit de resultaten van de studies bleek geen significant verschil in gezichtsvermogen tussen de ogen die met Lumevoq waren geïnjecteerd en de ogen die een schijninjectie of een injectie met placebo hadden gekregen. Bovendien leverden de studies onvoldoende gegevens op om aan te tonen dat patiënten baat zouden hebben bij toediening van Lumevoq in beide ogen.

Het Geneesmiddelenbureau had ook vragen over de laboratoriumstudies die met het geneesmiddel waren uitgevoerd, en over het productieproces en de locaties waar het commerciële product zou worden vervaardigd en getest. Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat de voordelen van Lumevoq niet opwogen tegen de risico's ervan.

## **Welke redenen gaf het bedrijf voor het intrekken van de aanvraag?**

In de [brief](#) waarin het Geneesmiddelenbureau op de hoogte wordt gebracht van de intrekking van de aanvraag, stelt het bedrijf dat de intrekking is gebaseerd op de overwegingen van het Comité voor

geavanceerde therapieën (CAT) van het Geneesmiddelenbureau met betrekking tot de voordelen van het geneesmiddel.

### **Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?**

Het bedrijf deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die reeds met het middel zijn behandeld en momenteel deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Het bedrijf is voornemens zijn programma's voor vroegtijdige toegang te hervatten wanneer het geneesmiddel beschikbaar is voor klinisch gebruik.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw arts.