



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. apríla 2023
EMA/251184/2023
EMA/H/C/005047

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Lumevoq (lenadogene nolparvovec)

Spoločnosť Gensight Biologics SA stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Lumevoq na trh, ktorý bol určený na liečbu straty zraku v dôsledku ochorenia oka známeho ako Leberova hereditárna optická neuropatia.

Spoločnosť stiahla žiadosť 20. apríla 2023.

Čo je liek Lumevoq a na čo sa mal používať?

Liek Lumevoq bol vyvinutý ako liek na liečbu straty zraku u pacientov s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou, čo je ochorenie, ktoré postihuje nerv na zadnej strane oka.

Liek bol určený pre pacientov vo veku od 15 rokov, ktorí majú konkrétnu mutáciu (zmenu) v géne známom ako m.11778G>A.

Liek Lumevoq obsahuje liečivo lenadogene nolparvovec a mal byť dostupný vo forme injekčnej suspenzie na podanie do oboch očí.

Liek Lumevoq bol 13. mája 2011 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu Leberovej hereditárnej optickej neuropatie. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Akým spôsobom liek Lumevoq účinkuje?

Pacienti s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou majú genetické mutácie, ktoré ovplyvňujú zložky nervových buniek vytvárajúce energiu v očiach. V dôsledku týchto mutácií bunky nie sú schopné produkovať enzým (proteín) známy ako NADH dehydrogenáza 4 (ND4).

Liečivo lieku Lumevoq, lenadogene nolparvovec, pozostáva z vírusu, ktorý obsahuje gén tohto enzýmu. Po injekčnom podaní lieku do oka sa predpokladá, že vírus dodá gén do buniek, čo im umožní produkovať enzým ND4.

Vírus použitý v tomto lieku (adeno-asociovaný vírus) nespôsobuje ochorenie u ľudí.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z dvoch hlavných štúdií, na ktorých sa zúčastnilo 76 pacientov s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou spôsobenou mutáciou m.11778G>A. Pacienti v týchto štúdiách dostali injekciu lieku Lumevoq do jedného oka, zatiaľ čo do druhého oka dostali simulovanú injekciu (pri ktorej sa injekčná striekačka priloží k oku, ale sa injekcia nepodá). V oboch štúdiách sa skúmalo, do akej miery liek Lumevoq po 48 týždňoch zlepšil zrak v porovnaní so simulovanou injekciou.

V tretej hlavnej štúdii sa sledovali pacienti z týchto dvoch štúdií a po troch rokoch od podania injekcií sa testoval ich zrak.

Vo štvrtej hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 98 pacientov s Leberovou hereditárnou optickou neuropatiou spôsobenou mutáciou m.11778G>A, sa porovnávala liečba oboch očí liekom Lumevoq s liečbou jedného oka liekom Lumevoq a druhého oka s injekciou placebo (zdanlivého lieku).

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila a vypracovala zoznam otázok pre spoločnosť. Potom ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na poslednú sériu otázok, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

V čase stiahnutia žiadosti mala agentúra určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Lumevoq nemôže byť povolený na liečbu Leberovej hereditárnej optickej neuropatie spôsobenej mutáciou m.11778G>A.

Výsledky štúdií nepreukázali významný rozdiel vo videní v očiach, do ktorých bol podaný liek Lumevoq a do ktorých bola podaná simulovaná injekcia alebo injekcia s placebo. Okrem toho štúdie neposkytli dostatočné dôkazy na preukázanie toho, že podanie lieku Lumevoq do oboch očí by bolo pre pacientov prínosom.

Agentúra mala tiež niekoľko otázok týkajúcich sa laboratórnych štúdií vykonaných s týmto liekom, ako aj výrobných postupov a miest, na ktorých sa bude komerčný liek vyrábať a testovať. Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že prínosy lieku Lumevoq neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že stiahnutie žiadosti vychádza z úvah Výboru agentúry EMA pre inovatívnu liečbu (CAT) týkajúcich sa prínosov lieku.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaní alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí už sú liečení a v súčasnosti sa zúčastňujú na klinických skúšaní alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Spoločnosť má v úmysle obnoviť svoje programy včasného prístupu, keď je liek k dispozícii na klinické použitie.

Ak sa zúčastňuje na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.