



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. april 2023  
EMA/251185/2023  
EMA/H/C/005047

## Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Lumevoq (lenadogen nolparvovek)

Podjetje Gensight Biologics SA je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Lumevoq za zdravljenje izgube vida zaradi očesne bolezni, znane kot Leberjeva dedna optična nevropatija.

Podjetje je vlogo umaknilo 20. aprila 2023.

### Kaj je zdravilo Lumevoq in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Lumevoq je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje izgube vida pri bolnikih z Leberjevo dedno optično nevropatijo, tj. boleznijo, ki prizadene živec v zadnjem delu očesa.

Uporabljalo naj bi se pri bolnikih, starejših od 15 let, ki imajo posebno mutacijo (spremembo) v genu, znanem kot m.11778G>A.

Zdravilo Lumevoq vsebuje učinkovino lenadogen nolparvovek in naj bi bilo na voljo v obliki suspenzije za injiciranje v očesi.

Zdravilo Lumevoq je bilo 13. maja 2011 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje Leberjeve dedne optične nevropatije. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860).

### Kako zdravilo Lumevoq deluje?

Bolniki z Leberjevo dedno optično nevropatijo imajo genske mutacije, ki vplivajo na komponente živčnih celic, ki proizvajajo energijo v očeh. Zaradi teh mutacij celice ne morejo proizvajati encima (beljakovine), znanega kot NADH dehidrogenaza 4 (ND4).

Učinkovina v zdravilu Lumevoq, lenadogen nolparvovek, je sestavljena iz virusa, ki vsebuje gen za ta encim. Ko se zdravilo injicira v oko, naj bi virus prenesel gen v celice, kar jim bo omogočilo tvorjenje encima ND4.

Virus, ki se uporablja v tem zdravilu (adenoasociacijski virus), ne povzroča bolezni pri ljudeh.

---

**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



## **Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?**

Podjetje je predstavilo rezultate dveh glavnih študij, v katerih je sodelovalo 76 bolnikov z Leberjevo dedno optično nevropatijo, ki jo je povzročila mutacija gena m.11778G>A. Bolnikom so v teh študijah zdravilo Lumevoq injicirali v eno oko, medtem ko so v drugo oko prejeli navidezno injekcijo (pri čemer se brizga prisloni k očesu, do injiciranja pa ne pride). V obeh študijah so proučevali, kako dobro je zdravilo Lumevoq po 48 tednih izboljšalo vid v primerjavi z navideznim injiciranjem.

V tretji glavni študiji so bolnike iz obeh študij spremljali in tri leta po injiciranju testirali vid.

V četrti glavni študiji, v katero je bilo vključenih 98 bolnikov z Leberjevo dedno optično nevropatijo, ki jo je povzročila mutacija gena m.11778G>A, so zdravljenje obeh oči z zdravilom Lumevoq primerjali z zdravljenjem samo enega očesa z zdravilom Lumevoq, drugega pa z injiciranjem placeba (zdravila brez učinkovine).

## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Potem ko je agencija ocenila odgovore podjetja na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?**

Ob umiku vloge je imela agencija nekaj pomislekov in je začasno menila, da zdravilo Lumevoq ni mogoče odobriti za zdravljenje Leberjeve dedne optične nevropatije, ki jo povzroča mutacija gena m.11778G>A.

Rezultati študij niso pokazali večje razlike v vidu očesa, v katero je bilo injicirano zdravilo Lumevoq, in tistega, ki je prejelo navidezno injekcijo ali injekcijo placeba. Poleg tega študije niso zagotovile zadostnih dokazov, da bi dajanje zdravila Lumevoq v obe očesi bolnikom koristilo.

Agencija je imela tudi nekaj vprašanj o laboratorijskih študijah, izvedenih z zdravilom, ter o proizvodnem postopku in obratih za izdelavo in testiranje komercialnega zdravila. Zato je ob umiku vloge menila, da koristi zdravila Lumevoq ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

## **Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?**

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da umik vloge temelji na pomislekih Odbora za napredno zdravljenje (CAT) pri agenciji glede koristi zdravila.

## **Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?**

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik nima posledic za bolnike, ki se že zdravijo in so trenutno vključeni v klinična preizkušanja ali programe sočutne uporabe.

Prav tako namerava nadaljevati svoje programe za zgodnji dostop do zdravila, ko bo to na voljo za klinično uporabo.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika.