



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 april 2023
EMA/251186/2023
EMA/H/C/005047

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Lumevoq (lenadogen-nolparvovek)

Gensight Biologics SA återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning av Lumevoq för behandling av synförlust orsakad av ögonsjukdomen Lebers hereditära optikusneuropati.

Företaget återkallade sin ansökan den 20 april 2023.

Vad är Lumevoq och vad skulle det användas för?

Lumevoq utvecklades som ett läkemedel för behandling av synförlust hos patienter med Lebers hereditära optikusneuropati, en sjukdom som påverkar nerven i ögats bakre del.

Det var avsett för patienter från 15 års ålder som har den särskilda mutationen (förändringen) m.11778G>A i en gen.

Lumevoq innehåller den aktiva substansen lenadogen-nolparvovek och skulle finnas som en suspension för injektion i båda ögonen.

Lumevoq klassificerades den 13 maj 2011 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid Lebers hereditära optikusneuropati. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu311860.

Hur verkar Lumevoq?

Patienter med Lebers hereditära optikusneuropati har genetiska mutationer som påverkar de energiproducerande komponenterna i nervcellerna i ögonen. Till följd av dessa mutationer kan cellerna inte producera ett enzym (protein) som kallas NADH-dehydrogenas 4 (ND4).

Den aktiva substansen i Lumevoq, lenadogen-nolparvovek, består av ett virus som innehåller genen för detta enzym. När läkemedlet injiceras i ögat förväntas viruset föra in genen i cellerna så att de kan producera ND4-enzymet.

Viruset som används i detta läkemedel (adenoassocierat virus) orsakar inte sjukdom hos människor.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lade fram resultat från två huvudstudier som omfattade 76 patienter med Lebers hereditära optikusneuropati orsakad av mutationen m.11778G>A. Patienterna i dessa studier fick en injektion med Lumevoq i ett öga, medan de i det andra ögat fick en simulerad injektion (där sprutan trycks mot ögat men ingen injektion ges). I båda studierna undersöktes hur väl Lumevoq förbättrade synförmågan jämfört med en simulerad injektion efter 48 veckor.

En tredje huvudstudie följde patienterna från de två studierna och testade deras syn tre år efter injektionerna.

I en fjärde huvudstudie på 98 patienter med Lebers hereditära optikusneuropati orsakad av mutationen m.11778G>A jämfördes behandlingen av båda ögonen med Lumevoq med behandlingen av det ena ögat med Lumevoq och det andra med en placeboinjektion (overksam injektion).

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat dokumentationen från företaget och sammanställt en frågelista. Vissa frågetecken kvarstod när myndigheten hade utvärderat företagets svar på den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Vid tidpunkten för återkallandet hyste myndigheten vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Lumevoq inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av Lebers hereditära optikusneuropati orsakad av mutationen m.11778G>A.

Resultaten av studierna visade inte någon betydande skillnad i synen hos ögon som injicerades med Lumevoq och dem som fick en simulerad injektion eller placeboinjektion. Dessutom gav inte studierna tillräckliga belägg för att det skulle vara till nytta för patienterna att ge Lumevoq i båda ögonen.

Myndigheten hade också vissa frågor om laboratoriestudier som utförts med läkemedlet samt om tillverkningsprocessen och de anläggningar där den kommersiella produkten skulle tillverkas och testas. Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att nyttan med Lumevoq inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att återkallandet bygger på de överväganden som gjorts av EMA:s kommitté för avancerade terapier (CAT) avseende nyttan med läkemedlet.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att beslutet inte får några följder för patienter som redan behandlas och för närvarande deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program.

Företaget avser att återuppta sina program för tidig tillgång när läkemedlet är tillgängligt för klinisk användning.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta din läkare.