



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831431/2018
EMA/H/C/004451

Luxturna (*voretigene neparvovec*)

Общ преглед на Luxturna и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Luxturna и за какво се използва?

Luxturna е лекарствен продукт, който се използва за лечение на възрастни и деца със загуба на зрението поради вродена дистрофия на ретината, рядко генетично заболяване на ретината (светлочувствителната мембрана в задната част на окото).

Luxturna може да се използва само при пациенти, които все още имат достатъчно функциониращи клетки в ретината и когато болестта е причинена от мутации (изменения) в *RPE65* гена. *RPE65* е отговорен за производството на ензим, наречен all-транс-ретинил изомераза, който е необходим за нормалното функциониране на клетките на ретината.

Luxturna съдържа активното вещество воретиген непарвовек (*voretigene neparvovec*) и представлява вид лекарство за модерна терапия, наречено „продукт за генна терапия“. Този вид лекарство действа чрез въвеждане на гени в организма.

Вродената дистрофия на ретината е рядко заболяване и Luxturna е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) за две форми на заболяването на различни дати (за ретинитис пигментоза на 28 юли 2015 г.; и за вродена Леберова амавроза на 2 април 2012 г.). Допълнителна информация за „лекарства сираци“ можете да намерите на уебсайта на Европейската агенция по лекарствата ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Как се използва Luxturna?

Luxturna се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да започне от хирург с опит в извършването на очни операции.

Luxturna се прилага като еднократна инжекция в задната част на окото, под ретината. Инжекцията във второто око се прилага след интервал от поне 6 дни. Пациентите трябва да започнат да приемат имunosупресивни лекарства (лекарства, които намаляват активността на имунната система, естествената защита на организма) 3 дни преди инжектирането на Luxturna в първото око, за да се намали рискът лекарствата да бъде отхвърлено от организма, като приемането на тези лекарства трябва да продължи 14 дни след инжектирането.



За повече информация относно употребата на Luxturna вижте листовката или се свържете с Вашия лекар или фармацевт.

Как действа Luxturna?

Luxturna се състои от вирус, който съдържа нормални копия на *RPE65* гена. След инжектиране на Luxturna в окото вирусът пренася *RPE65* гена в клетките на ретината и им помага да произведат липсващия ензим. Това помага на клетките в ретината да функционират по-добре, с което се забавя прогресията на заболяването.

Използваният в този лекарствен продукт вирус (аденоасоцииран вирус) не причинява заболявания при хора.

Какви ползи от Luxturna са установени в проучванията?

Luxturna е проучен в едно основно проучване при 31 пациенти с вродената дистрофия на ретината, причинена от мутации на *RPE65*. Основната мярка за ефективност е оценката на пациентите, подложени на тест за мобилност, при който те трябва да изминат маршрут със завои и препятствия в среда с различна осветеност. Счита се, че пациентите са издържали теста, ако изминат маршрута за 3 минути, без да се спънат в повече от 3 препятствия.

След едногодишно лечение пациентите, лекувани с Luxturna, подобряват оценката си с 1,8 точки, а пациентите, които не получават Luxturna, подобряват оценката си с 0,2 точки, което означава, че пациентите, лекувани с Luxturna, се придвижват по-добре по маршрута. Освен това 13 от 21 пациенти (62 %), лекувани с Luxturna, преминават теста за мобилност при най-ниско ниво на осветеност от 1 lux (при условия, близки до тези на лошо осветен тротоар през нощта), а нито един от пациентите, които не получават лекарството, не успява да направи това. Подобренieto на зрението на пациентите се запазва най-малко за три години.

Какви са рисковете, свързани с Luxturna?

Най-честите нежелани реакции при Luxturna (които може да засегнат повече от 1 на 20 души) са хиперемия на конюнктивата (повишено кръвоснабдяване на окото, водещо до зачервяване на окото), катаракт (замъгляване на лещата на окото) и повишено вътреочно налягане. За пълния списък на всички нежелани реакции при Luxturna вижте листовката.

Luxturna не трябва да се използва при пациенти с инфекция или възпаление на очите. За пълния списък на ограниченията вижте листовката.

Защо Luxturna е разрешен за употреба в ЕС?

Доказано е, че Luxturna подобрява зрението на пациентите и способността им да се придвижват около препятствия, особено на слаба светлина, и се очаква да подобри качеството им на живот. Това се счита за важно клинична полза, като се има предвид липсата на разрешени лечения за това прогресивно дегенеративно заболяване. Безопасността на Luxturna се счита за приемлива, а нежеланите реакции — за управляеми. Затова Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Luxturna са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Luxturna?

Фирмата, която предлага Luxturna, ще разработи обучителна програма и ще подготви обучителни материали за лекари и фармацевти, които се очаква да използват и да боравят с Luxturna, за да се гарантира правилната употреба на лекарството и да се сведат до минимум рисковете, свързани с лекарството и неговото прилагане. Luxturna ще бъде наличен само в центрове, където е въведена обучителната програма. Ще бъде осигурен и информационен пакет за пациентите и лицата, полагащи грижи за тях.

Освен това фирмата ще трябва да проследява всички пациенти, получили Luxturna в основните проучвания, в продължение на 15 години, за да определи дългосрочната ефективност и безопасност на лекарството и да създаде регистър за събиране на данни за дългосрочната безопасност за пациентите, лекувани с Luxturna.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Luxturna, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени и в кратката характеристика на продукта, и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Luxturna непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Luxturna, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Luxturna:

Допълнителна информация за Luxturna може да се намери на уебсайта на Агенцията:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.