



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831432/2018
EMA/H/C/004451

Luxturna (*voretigenum neparvovecum*)

Přehled pro přípravek Luxturna a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Luxturna a k čemu se používá?

Přípravek Luxturna je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dospělých a dětí se ztrátou zraku v důsledku dědičné retinální dystrofie, což je vzácná genetická porucha sítnice (membrány citlivé na světlo v zadní části oka).

Může se používat pouze u pacientů, kteří mají dostatek funkčních buněk v sítnici, a za předpokladu, že onemocnění je způsobeno mutacemi (změnami) genu *RPE65*. Gen *RPE65* je odpovědný za produkci enzymu zvaného all-trans-retinyl izomeráza, který je nezbytný pro běžné fungování buněk sítnice.

Přípravek Luxturna obsahuje léčivou látku voretigen neparvovec a je to druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro genovou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku, který působí tak, že do těla dodává geny.

Dědičná retinální dystrofie je vzácné onemocnění a přípravek Luxturna byl stanoven jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ pro dvě formy tohoto onemocnění ke dvěma různým datům (*retinitis pigmentosa*: 28. července 2015; Leberova kongenitální amauroza: 2. dubna 2012). Více informací o postupu stanovení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Jak se přípravek Luxturna používá?

Výdej přípravku Luxturna je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl provádět pouze chirurg se zkušenostmi v provádění operací oka.

Přípravek Luxturna se podává formou jednorázové injekce do zadní části každého oka, pod sítnici. Druhé oko by mělo být ošetřeno nejdříve 6 dní po prvním. Pacienti by měli začít užívat imunosupresiva (léčivé přípravky, které omezují činnost imunitního systému, což je přirozená obranyschopnost těla) 3 dny před injekčním podáním přípravku Luxturna do prvního oka za účelem zmírnění rizika, že tělo léčivo odmítne. Léčba imunosupresivy by měla pokračovat po dobu 14 dní po podání injekce.

Více informací o používání přípravku Luxturna naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Luxturna působí?

Přípravek Luxturna sestává z viru, který obsahuje normální kopie genu *RPE65*. Jakmile je podána injekce přípravku Luxturna do oka, tento vir přenesení gen *RPE65* do buněk sítnice a umožní jim produkovat chybějící enzym. To pomáhá buňkám sítnice lépe fungovat, což zpomaluje zhoršování onemocnění.

Typ viru používaný v tomto léčivém přípravku (adeno-asociovaný virus) u lidí nevyvolává onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Luxturna byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Luxturna byl zkoumán v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 31 pacientů s dědičnou retinální dystrofií způsobenou mutacemi genu *RPE65*. Hlavním měřítkem účinnosti bylo, jak si pacienti vedli při testu pohybu, při němž se po nich požadovalo, aby prošli dráhu se zatáčkami a překážkami za různých světelných podmínek. Za úspěšné splnění testu se u pacientů považovalo, když byli schopni dráhu projít během 3 minut, aniž by narazili do více než 3 překážek.

Po jednom roce léčby se skóre u pacientů léčených přípravkem Luxturna zlepšilo o 1,8 bodu, zatímco u pacientů, kterým přípravek Luxturna podáván nebyl, došlo ke zlepšení skóre o 0,2 bodu. To znamená, že pacienti léčení přípravkem Luxturna byli schopni se po dráze lépe pohybovat. 13 z 21 (62 %) pacientů léčených přípravkem Luxturna navíc uspělo při testu pohybu za nejnižší úroveň osvětlení o hodnotě 1 lux (podobné podmínkám odpovídajícím slabě osvětlenému chodníku v noci), což se nepovedlo žádnému z pacientů, kteří přípravek neužívali. Zlepšení zraku pacientů přetrvávalo po dobu nejméně tří let.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Luxturna?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Luxturna (které mohou postihnout více než 1 osobu z 20) jsou hyperemie spojivky (zvýšený přítok krve do oka, který vede k jeho zarudnutí), katarakta (zákal oční čočky) a zvýšený nitrooční tlak. Úplný seznam nežádoucích účinků přípravku Luxturna je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Luxturna nesmí být podáván pacientům s oční infekcí nebo zánětem oka. Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Luxturna registrován v EU?

Bylo prokázáno, že přípravek Luxturna zlepšuje zrak pacientů a jejich schopnost vyhýbat se překážkám, zejména za šera, a měl by zlepšovat kvalitu jejich života. To bylo s ohledem na nedostatek schválených možností léčby pro toto progresivní degenerativní onemocnění považováno za významný klinický přínos. Bezpečnost přípravku Luxturna byla považována za přijatelnou a jeho nežádoucí účinky za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky tudíž rozhodla, že přínosy přípravku Luxturna převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Luxturna?

Společnost, která přípravek Luxturna dodává na trh, sestaví vzdělávací program a vypracuje vzdělávací materiál určený lékařům a lékárníkům, u nichž se očekává, že budou přípravek Luxturna používat a manipulovat s ním, a to s cílem zajistit správné používání tohoto přípravku a minimalizovat rizika související s tímto léčivým přípravkem a jeho podáváním. Přípravek Luxturna bude dostupný výhradně

ve střediscích se zavedeným vzdělávacím programem. Poskytnut bude rovněž informační balíček pro pacienty a jejich ošetřovatele.

Společnost bude navíc muset po dobu 15 let sledovat všechny pacienty, kterým byl podán přípravek Luxturna v hlavních studiích, s cílem charakterizovat dlouhodobou účinnost a bezpečnost léčivého přípravku a sestavit registr shromažďující údaje o dlouhodobé bezpečnosti u pacientů léčených přípravkem Luxturna.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Luxturna, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Luxturna průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Luxturna jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Luxturna

Další informace k přípravku Luxturna jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.