



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831433/2018  
EMA/H/C/004451

## Luxturna (*voretigen neparvovec*)

En oversigt over Luxturna, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Luxturna, og hvad anvendes det til?

Luxturna er et lægemiddel, der anvendes til behandling af voksne og børn med synstab som følge af nedarvet retinal dystrofi, en sjælden genetisk sygdom i nethinden (den lysfølsomme hinde bagest i øjet).

Luxturna kan udelukkende anvendes, når patienterne stadig har nok fungerende celler tilbage i nethinden, og når sygdommen skyldes ændringer (mutationer) i genet RPE65. RPE65 er ansvarligt for produktionen af et enzym kaldet all-trans-retinol-isomerase, som er nødvendigt for, at cellerne i nethinden kan fungere normalt.

Luxturna indeholder det aktive stof voretigen neparvovec og er et lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "genterapiprodukt". Denne type lægemiddel virker ved at levere gener til kroppen.

Nedarvet retinal dystrofi er sjældent, og Luxturna blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" for to former af sygdommen på forskellige datoer (retinitis pigmentosa: 28. juli 2015; Lebers kongenitte amaurose: 2. april 2012). Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes på Det Europæiske Lægemiddelagenturs websted under: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations).

### Hvordan anvendes Luxturna?

Luxturna udleveres kun efter recept, og behandlingen bør udføres af en kirurg med erfaring i at foretage øjenoperationer.

Luxturna gives som en enkelt indsprøjtning bagest i hvert øje under nethinden. Det andet øje bør behandles mindst seks dage efter det første. Patienterne bør begynde at tage lægemidler, der undertrykker immunforsvaret (kroppens naturlige forsvar), tre dage før Luxturna indsprøjtes i det første øje, for at mindske risikoen for, at kroppen afviser lægemidlet, og denne behandling bør fortsætte i 14 dage efter indsprøjtning.

For mere information om brug af Luxturna, se indlægssedlen eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.



## Hvordan virker Luxturna?

Luxturna består af et virus, som indeholder normale kopier af genet RPE65. Når Luxturna indsprøjtes i øjet, overfører virusset genet RPE65 ind i cellerne i nethinden, hvilket gør det muligt for cellerne at danne det manglende enzym. Dette hjælper cellerne i nethinden med at fungere bedre og sinker sygdommens udvikling.

Den type virus, der anvendes i dette lægemiddel (adeno-associeret virus), medfører ikke sygdom hos mennesker.

## Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Luxturna?

Luxturna blev undersøgt i et hovedstudie, som omfattede 31 patienter med nedarvet retinal dystrofi forårsaget af RPE65-mutationer. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på, hvor godt patienterne klarede sig i en mobilitetstest, hvor de skulle navigere en rute med sving og forhindringer under forskellige lysforhold. Patienterne bestod testen, hvis de gennemførte ruten inden for tre minutter og ikke stødte ind i mere end tre forhindringer.

Efter et års behandling forbedrede de patienter, der blev behandlet med Luxturna, deres resultater med 1,8 point, mens de patienter, som ikke fik Luxturna, forbedrede deres resultater med 0,2 point, hvilket viste, at de patienter, der blev behandlet med Luxturna, bedre kunne navigere ruten. Endvidere bestod 13 ud af de 21 patienter (62 %), der blev behandlet med Luxturna, mobilitetstesten ved de dårligste lysforhold på 1 lux (svarende til et fortov med ringe belysning om aftenen), mens dette ikke var tilfældet for nogen af de patienter, der ikke blev behandlet med lægemidlet. Forbedringen i patienternes syn blev opretholdt i mindst tre år.

## Hvilke risici er der forbundet med Luxturna?

De hyppigste bivirkninger ved Luxturna (som optræder hos mere end 1 ud af 20 patienter) er konjunktival hyperæmi (øget blodforsyning til øjnene, som medfører røde øjne), grå stær (sløring af linsen i øjet) og forhøjet tryk i øjet. Den fuldstændige liste over bivirkninger ved Luxturna fremgår af indlægssedlen.

Luxturna må ikke anvendes hos patienter med øjeninfektion eller øjenbetændelse. Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

## Hvorfor blev Luxturna godkendt i EU?

Det er blevet påvist, at Luxturna forbedrer patienternes syn og evne til at undgå forhindringer, særlig ved lav belysning, og lægemidlet forventes at øge patienternes livskvalitet. Dette blev betragtet som en stor klinisk fordel i betragtning af manglen på godkendte behandlinger for denne progressive, degenerative sygdom. Sikkerheden ved Luxturna blev anset for acceptabel, og bivirkningerne håndterbare. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Luxturna opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

## Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Luxturna?

Virksomheden, der markedsfører Luxturna vil iværksætte et uddannelsesprogram og udarbejde undervisningsmateriale til læger og farmaceuter, som forventes at anvende Luxturna, for at sikre, at lægemidlet anvendes korrekt, og mindske risiciene i forbindelse med lægemidlet og indgivelsen heraf.

Luxturna vil kun være tilgængeligt på centre, hvor uddannelsesprogrammet er implementeret. Patienter og deres omsorgspersoner vil også modtage en patientinformationspakke.

Endvidere vil virksomheden skulle følge op på alle patienter, som fik Luxturna i hovedstudiet, i 15 år for at fastlægge langtidseffekten og sikkerheden af lægemidlet, og den skal føre et register for at indsamle data om langtidssikkerheden hos patienter, som er blevet behandlet med Luxturna.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Luxturna.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brug af Luxturna løbende overvåget. Bivirkninger rapporteret for Luxturna vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## **Andre oplysninger om Luxturna**

Yderligere information om Luxturna findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).