



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831437/2018
EMA/H/C/004451

Luxturna (voretigeen-neparvovek)

Ülevaade ravimist Luxturna ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Luxturna ja milleks seda kasutatakse?

Luxturna on ravim, mida kasutatakse täiskasvanutel ja lastel, kellel on tekkinud nägemislangus päriliku võrkkestadüstroofia tõttu, mis on võrkkesta (valgustundlik membraan silma tagaosas) harvaesinev geneetiline häire.

Luxturnat tohib kasutada üksnes ajal, kui patsiendi võrkkestas on järel veel piisavalt toimivaid rakke ja kui haigust põhjustavad mutatsioonid (muutused) *RPE65* geenis. *RPE65* on vajalik ensüümi *all-trans-retinüülisomeraasi* tekkeks ning seda ensüümi on vaja võrkkesta rakkude normaalseks talitluseks.

Luxturna sisaldab toimeainena voretigeen-neparvovekki ja on geeniteraapiaravimite hulka kuuluv uudne ravim. Need on ravimid, mille toime avaldub geenide viimisel organismi.

Pärilik võrkkestadüstroofia esineb harva ja Luxturna nimetati harvikravimiks kahe haigusvormi jaoks eri kuupäevadel (pigmentretiniit: 28. juulil 2015; Leberi kaasasündinud pimedus: 2. aprillil 2012).

Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav Euroopa Raviameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Kuidas Luxturnat kasutatakse?

Luxturna on retseptiravim ja ravi peab alustama silmakirurgias kogenud kirurg.

Luxturnat manustatakse ühekordse süstena mõlema silma tagaossa võrkkesta alla. Teise silma süstitakse ravimit vähemalt 6 päeva pärast esimesse silma süstimist. Patsiendid peavad alustama ravi immunosuppressantidega (ravimid, mis vähendavad immuunsüsteemi – organismi looduslike kaitsemehhanismide – aktiivsust) 3 päeva enne Luxturna süstimist esimesse silma, et vähendada ravimi äratõuke riski organismis, ning ravi tuleb jätkata 14 päeva pärast süstimist.

Lisateavet Luxturna kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.



Kuidas Luxturna toimib?

Luxturna sisaldab viirust, milles on *RPE65* geeni normaalsed koopiad. Kui Luxturnat süstitakse silma, kannab viirus *RPE65* geeni võrkkesta rakkudesse, mis võimaldab neil toota puuduvat ensüümi. See soodustab võrkkesta rakkude paremat toimimist ning aeglustab haiguse progresseerumist.

Ravimis kasutatav viirustüüp (adenoviirusega seotud viirus) ei põhjusta inimese haigestumist.

Milles seisneb uuringute põhjal Luxturna kasulikkus?

Luxturnat uuriti põhiuuringus, milles osales 31 patsienti, kellel oli *RPE65* mutatsioonide põhjustatud päriilik võrkkestadüstroofia. Efektiivsuse põhinäitaja oli see, kui hästi sooritasid patsiendid liikumiskatse, milles neil paluti liikuda pöörete ja takistustega teel mitmesugustes valgustingimustes. Patsiendid loeti katse läbinuks, kui nad läbisid katseraja 3 minutiga pörkamata kokku üle kolme takistusega.

Pärast üht raviaastat suurenes Luxturnaga ravitud patsientide skoor 1,8 punkti võrra ja Luxturnaga ravimata patsientide skoor paranes 0,2 punkti võrra. See tähendab, et Luxturnaga ravitud patsiendid suutsid katserada paremini läbida. Lisaks läbisid 13 Luxturnaga ravitud patsienti 21st (62%) liikumiskatse kõige väiksema valgustatusega – valgustihedusel 1 luks (ligikaudu sama kui hämar tee öösel). Samas ei suutnud seda teha ükski patsientidest, kes seda ravimit ei saanud. Patsientidel säilis paranenud nägemine vähemalt 3 aastat.

Mis riskid Luxturnaga kaasnevad?

Luxturna kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 20st) on sidekesta hüperemia (silma suurenenud verevarustus, mis põhjustab silma punetust), kae (silmaläätse hägustumine) ja silma suurenenud siserõhk. Luxturna kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Luxturnat ei tohi kasutada patsientidel, kellel esineb silmainfektsioon või silmapõletik. Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Luxturnale väljastatud müügiloa põhjendus

On tõendatud, et Luxturna parandab patsientide nägemist ja suutlikkust mööduda takistustest, eriti hämaras. Eeldatakse, et see parandab patsientide elukvaliteeti. Seda peetakse oluliseks kliiniliseks eeliseks, arvestades selle progresseeruva degeneratiivse seisundi raviks heakskiidetud ravimeetodite puudumist. Luxturna ohutust peeti vastuvõetavaks ja kõrvalnähte hallatavateks. Seetõttu otsustas Euroopa Raviamet, et Luxturna kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Luxturna ohutu ja efektiivne kasutamine?

Luxturna turustaja koostab koolitusprogrammi ning koostab koolitusmaterjalid arstidele ja apteekritele, kes eeldatavasti kasutavad ja käsitsevad Luxturnat, et tagada ravimi õige kasutamine ja minimeerida ravimi ja selle manustamisega seotud riske. Luxturnat tohib kasutada üksnes keskustes, kus see koolitusprogramm on kasutusel. Samuti antakse teabepakett patsientidele ja nende hooldajatele.

Lisaks peab turustaja jälgima 15 aastat põhiuuringus kõiki Luxturnat saanud patsiente, et kirjeldada ravimi pikaajalist efektiivsust ja ohutust, ning koostama patsiendiregistri, et koguda Luxturnaga ravitud patsientide pikaajalise ohutuse andmeid.

Luxturna ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Luxturna kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Luxturna kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Luxturna kohta

Lisateave Luxturna kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.