



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831438/2018
EMEA/H/C/004451

Luxturna (*voretigeenineparvovekki*)

Yleistiedot Luxturnasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Luxturna on ja mihin sitä käytetään?

Luxturna lääkevalmiste, jota käytetään perinnöllisestä verkkokalvorappeumasta johtuvan näön heikentymisen hoitoon. Kyseessä on harvinainen verkkokalvon (valoherkkä kalvo silmän takaosassa) geneettinen häiriö.

Luxturnaa voidaan käyttää vain, kun potilaalla on vielä riittävästi toimivia soluja verkkokalvossa ja kun sairaus johtuu mutaatioista (muutoksista) *RPE65*-geenissä. *RPE65* huolehtii entsyymien nimeltä "all trans" -retinyyli-isomeraasi tuotannosta, joka on välttämätön verkkokalvon solujen normaalille toiminnalle.

Luxturnan vaikuttava aine on voretigeenineparvovekki, ja lääkevalmiste on pitkälle kehittyneissä hoidoissa käytettävä ns. geeniterapia-ainemateriaali. Tällaiset lääkkeet vaikuttavat kuljettamalla geenejä elimistöön.

Perinnöllinen verkkokalvorappeuma on harvinainen, ja Luxturna nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoitoon käytettävä lääke) sairauden kahta muotoa varten eri ajankohtina (retinitis pigmentosa varten 28. heinäkuuta 2015 ja Leberin synnyntäistä amauroosia varten 2. huhtikuuta 2012). Lisää tietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivustolla ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Miten Luxturnaa käytetään?

Luxturnaa saa ainoastaan lääkemääräyksestä, ja hoitoa saa antaa vain silmäkirurgiaan perehtynyt kirurgi.

Luxturna annetaan yhtenä injektiona kumpaankin silmänpohjaan verkkokalvon alle. Toinen silmä on käsiteltävä vähintään 6 päivän kuluttua ensimmäisen silmän käsittelyn jälkeen. Potilaan on saatava immunosuppressoreja (lääkkeitä, jotka heikentävät elimistön immuunijärjestelmän eli elimistön luonnollisen puolustusjärjestelmän toimintaa) kolme vuorokautta ennen Luxturnan injektointia ensimmäiseen silmään. Näin vähennetään riskiä, että elimistö hylkii lääkettä. Tätä hoitoa on jatkettava 14 vuorokautta injektion jälkeen.

Lisätietoja Luxturnan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



Miten Luxturna vaikuttaa?

Luxturna muodostuu viruksesta, jossa on normaaleja *RPE65*-geenin kopioita. Kun Luxturna injektoidaan silmään, virus vie *RPE65*-geenin verkkokalvon soluihin, jolloin niiden on mahdollista tuottaa puuttuvaa entsyymiä. Tämä auttaa verkkokalvon soluja toimimaan paremmin ja hidastaa sairauden etenemistä.

Lääkevalmisteessa käytetty virustyyppi (AA-virus) ei aiheuta sairautta ihmisessä.

Mitä hyötyä Luxturnasta on havaittu tutkimuksissa?

Luxturnaa tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 31 potilasta, joilla oli *RPE65*-mutaatioista johtuva perinnöllinen verkkokalvorappeuma. Tehon pääasiallinen mitta oli se, miten hyvin potilaat suoriutuivat liikkumiskokeesta. Siinä heidän piti kulkea vaihtelevissa valaistusoloissa reitti, jossa oli mutkia ja esteitä. Potilaiden katsottiin läpäisseen testin, jos he suoriutuivat reitistä kolmessa minuutissa törmäämättä enempään kuin kolmeen esteeseen.

Vuoden kuluttua hoidosta Luxturnaa saaneiden potilaiden suoritus parani 1,8 pistettä; potilaat, joille ei annettu Luxturnaa, paransivat suoritustaan 0,2 pistettä. Tämä merkitsee sitä, että Luxturnaa saaneet potilaat kykenivät suoriutumaan reitistä paremmin. Lisäksi 13 potilasta 21:stä Luxturnaa saaneesta potilaasta (62 %) suoriutui liikkumiskokeesta alhaisimmalla, 1 luksin tasolla (vastaa huonosti valaistua jalkakäytävää yöllä). Siitä ei suoriutunut yksikään niistä potilaista, jotka eivät saaneet Luxturnaa. Parannus potilaiden näössä säilyi vähintään kolmen vuoden ajan.

Mitä riskejä Luxturnaan liittyy?

Luxturnan yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä 20 potilaasta) ovat sidekalvon verekyys (lisääntynyt verentulo silmään ja siitä aiheutuva silmän punaisuus), kaihi (silmän linssin samentuminen) ja kasvanut paine silmän sisällä. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Luxturnan sivuvaikutuksista.

Luxturnaa ei saa antaa potilaille, joiden silmässä on infektiot tai tulehdus. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista rajoituksista.

Miksi Luxturna on hyväksytty EU:ssa?

Luxturnan on osoitettu parantavan potilaiden näköä ja kykyä liikkua esteitä kiertäen, etenkin hämärässä valaistuksessa, ja sen odotetaan parantavan heidän elämänlaatuaan. Tämän katsottiin olevan tärkeä kliininen hyöty, kun otetaan huomioon hyväksytyjen hoitojen puuttuminen tähän etenevään ja rappeuttavaan sairauteen. Luxturnan turvallisuutta pidettiin hyväksyttävänä ja sivuvaikutuksia hallittavina. Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Luxturnan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Luxturnan turvallinen ja tehokas käyttö?

Luxturnaa markkinoiva yhtiö laatii perehdytysohjelman ja perehdytysmateriaalia lääkäreille ja farmaseuteille, joiden odotetaan käyttävän ja käsittelevän Luxturnaa, jotta varmistettaisiin lääkevalmisteen asianmukainen käyttö sekä lääkkeeseen ja sen antamiseen liittyvien riskien minimoiminen. Luxturnaa saa vain hoitolaitoksista, joissa koulutusohjelma on käytössä. Potilaille ja heidän hoitajilleen toimitetaan myös tietopaketti.

Lisäksi lääkeyhtiön on seurattava kaikkia Luxturnaa päätutkimuksissa saaneita potilaita 15 vuoden ajan lääkevalmisteen pitkäaikaisen tehon ja turvallisuuden kuvaamiseksi ja perustettava rekisteri pitkäaikaista turvallisuutta koskevien tietojen keräämiseksi Luxturnalla hoidetuista potilaista.

Suosituksiset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Luxturnan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Luxturnan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Luxturnasta ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Luxturnasta

Lisää tietoa Luxturnasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.