



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831440/2018  
EMA/H/C/004451

## Luxturna (*voretigen neparvovek*)

Pregled informacija o lijeku Luxturna i zašto je odobren u EU-u

### Što je Luxturna i za što se primjenjuje?

Luxturna je lijek koji se primjenjuje za liječenje odraslih osoba i djece s gubitkom vida uzrokovanim nasljednom retinalnom distrofijom, rijetkim genetskim poremećajem mrežnice (opne osjetljive na svjetlost koja se nalazi u stražnjem dijelu oka).

Lijek Luxturna smije se primjenjivati samo u bolesnika koji još uvijek imaju dovoljno funkcionalnih stanica u mrežnici te kad je bolest uzrokovana mutacijama (promjenama) u genu *RPE65*. Gen *RPE65* odgovoran je za proizvodnju enzima sav-trans-retinil izomeraze, koji je neophodan za normalno funkcioniranje stanica mrežnice.

Lijek Luxturna sadržava djelatnu tvar voretigen neparvovek i vrsta je lijeka za naprednu terapiju koji se naziva „lijek za gensku terapiju“. Riječ je o vrsti lijeka koja djeluje unosom gena u tijelo.

Nasljedna retinalna distrofija rijetka je bolest, a lijek Luxturna dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ za dva oblika bolesti na različite datume (za pigmentozni retinitis: 28. srpnja 2015.; za Leberovu kongenitalnu amaurozu: 2. travnja 2012.). Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest nalazi se na internetskim stranicama Europske agencije za lijekove [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations).

### Kako se Luxturna primjenjuje?

Lijek Luxturna izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje mora započeti kirurg iskusan u izvođenju operacije oka.

Lijek Luxturna primjenjuje se subretinalno, kao jedna injekcija u stražnji dio svakog oka. Postupak treba primijeniti na drugo oko u razmaku od barem šest dana od primjene na prvom oku. Bolesnici trebaju započeti primati imunosupresivne lijekove (lijekove koji smanjuju aktivnost imunskog sustava, prirodne obrane tijela) tri dana prije ubrizgavanja lijeka Luxturna u prvo oko, kako bi se smanjio rizik da će tijelo odbaciti lijek, a s tim postupkom treba nastaviti tijekom 14 dana nakon davanja injekcije.

Više informacija o primjeni lijeka Luxturna pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.



## Kako djeluje Luxturna?

Lijek Luxturna sastoji se od virusa koji sadržava ispravne kopije gena *RPE65*. Kada se lijek Luxturna ubrizga u oko, virus prenosi gen *RPE65* u stanice mrežnice i omogućuje im da proizvode enzim koji nedostaje. Time se stanicama u mrežnici pomaže da bolje funkcioniraju te se usporava napredovanje bolesti.

Vrsta virusa koja je upotrijebljena u ovom lijeku (adeno-pridruženi virus) ne uzrokuje bolest u ljudi.

## Koje su koristi od lijeka Luxturna utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Luxturna ispitivan je u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 31 bolesnika s nasljednom retinalnom distrofijom uzrokovanom mutacijama gena *RPE65*. Glavna mjera učinkovitosti bila je uspješnost bolesnika na testu mobilnosti gdje se od njih tražilo da se kreću određenom rutom na kojoj je bilo zavoja i prepreka, pri različitim razinama osvjetljenja okoline. Smatralo se da su bolesnici prošli na testu ako su prešli rutu u roku od tri minute i ako se nisu sudarili s više od tri prepreke.

Nakon godinu dana liječenja, bolesnici koji su primali lijek Luxturna poboljšali su svoj rezultat za 1,8 bodova, dok su bolesnici koji nisu primali lijek Luxturna poboljšali svoj rezultat za 0,2 boda. To znači da su se bolesnici liječeni lijekom Luxturna mogli bolje kretati po ruti. Nadalje, 13 od 21 bolesnika (62 %) liječenih lijekom Luxturna prošlo je na testu mobilnosti pri najnižoj razini osvjetljenja od 1 luksa (što je slično uvjetima slabo osvjetljenog pločnika noću), dok nijedan bolesnik koji nije primao lijek to nije mogao napraviti. Poboljšanje vida bolesnika zadržalo se u razdoblju od najmanje tri godine.

## Koji su rizici povezani s lijekom Luxturna?

Najčešće nuspojave lijeka Luxturna (koje se mogu javiti u više od 1 na 20 osoba) jesu hiperemija konjunktive (povećani dotok krvi u oko, što uzrokuje crvenilo oka), katarakta (zamućenje leća oka) i povišeni tlak unutar oka. Potpuni popis nuspojava zabilježenih prilikom primjene lijeka Luxturna potražite u uputi o lijeku.

Lijek Luxturna ne smije se primjenjivati u bolesnika s infekcijom ili upalom oka. Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

## Zašto je lijek Luxturna odobren u EU-u?

Utvrđeno je da lijek Luxturna poboljšava vid u bolesnika, kao i njihovu sposobnost kretanja oko prepreka, posebno pri prigušenom svjetlu, te se očekuje da će poboljšati kvalitetu njihova života. To se smatralo važnom kliničkom koristi, uzimajući u obzir nedostatak odobrenih načina liječenja tog progresivnog, degenerativnog stanja. Smatra se da je sigurnost primjene lijeka Luxturna prihvatljiva te da se nuspojave mogu kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Luxturna nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

## Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Luxturna?

Tvrtka koja stavlja lijek Luxturna u promet uspostaviti će edukacijski program i pripremiti materijal za obuku namijenjen liječnicima i ljekarnicima od kojih se očekuje da će upotrebljavati i rukovati lijekom Luxturna kako bi se osigurala ispravna uporaba lijeka i smanjili rizici povezani s primjenom i davanjem

lijeka. Lijek Luxturna bit će dostupan samo u centrima gdje postoji edukacijski program. Isto tako, osigurat će se informativni paket za bolesnike i njihove njegovatelje.

Osim toga, tvrtka će morati nastaviti pratiti sve bolesnike koji su primili lijek Luxturna u okviru glavnih ispitivanja tijekom 15 godina kako bi se odredila dugoročna učinkovitost i sigurnost primjene lijeka te uspostavio registar za prikupljanje podataka o dugoročnoj sigurnosti primjene u bolesnika liječenih lijekom Luxturna.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Luxturna nalaze se također u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Luxturna kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Luxturna pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## **Ostale informacije o lijeku Luxturna**

Više informacija o lijeku Luxturna nalazi se na internetskim stranicama

Agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).