



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831443/2018
EMEA/H/C/004451

Luxturna (*voretigenas neparvovekas*)

Luxturna apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje

Kas yra Luxturna ir kam jis vartojamas?

Luxturna – tai vaistas, skirtas gydyti suaugusiuosius ir vaikus, kuriems pasireiškia regos susilpnėjimas dėl paveldimosios tinklainės distrofijos, reto genetinio tinklainės (šviesai jautraus vidinio akies obuolio sluoksnio) sutrikimo.

Luxturna gali būti vartojamas tik tada, kai paciento tinklainėje yra išlikę pakankamai gyvybingų ląstelių ir kai ligą sukelia geno *RPE65* mutacijos (pokyčiai). *RPE65* yra atsakingas už fermento, vadinamo „visų-trans(padėčių)-retinil-izomeraze“, kuris būtinas normaliam tinklainės ląstelių veikimui, gamybą.

Luxturna sudėtyje yra veikliosios medžiagos voretigeno neparvoveko ir jis yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis „genų terapijos vaistas“. Tai vaistas, pernešantis genus į organizmą.

Paveldimoji tinklainės distrofija yra laikoma reta liga, todėl Luxturna buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai dėl dviejų ligos formų skirtingomis datomis (pigmentinio retinito: 2015 m. liepos 28 d.; įgimtos Leberio amaurozės: 2012 m. balandžio 2 d.).

Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite Agentūros tinklalapyje adresu ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Kaip vartoti Luxturna?

Luxturna galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu gali pradėti tik patyręs akių chirurgas.

Skiriama vienkartinė Luxturna injekcija į vidinį akies obuolio sluoksnį po tinklainę. Antroji akis turėtų būti gydoma praėjus ne mažiau kaip 6 paroms nuo pirmosios akies gydymo. Likus 3 dienoms iki Luxturna suleidimo į pirmąją akį, pacientams skiriama imunomoduliuojančių (imuninės sistemos, natūralios organizmo apsaugos sistemos, veiklą silpninančių) vaistų, kad būtų sumažinta vaisto atmetimo reakcija, ir gydymas turėtų būti tęsiamas 14 dienų po injekcijos.

Daugiau informacijos apie Luxturna vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.



Kaip veikia Luxturna?

Luxturna sudėtyje yra viruso, kuriame yra įprastinių *RPE65* geno kopijų. Kai Luxturna suleidžiamas į akį, virusas perneša *RPE65* geną į tinklainės ląsteles ir dėl to jos gali gaminti trūkstamą fermentą. Tai padeda tinklainės ląstelėms geriau veikti ir sulėtina ligos progresavimą.

Šio vaisto sudėtyje naudojamo tipo virusas (adeno-asocijuotas virusas) žmonėms ligos nesukelia.

Kokia Luxturna nauda nustatyta tyrimų metu?

Luxturna poveikis buvo tiriamas atliekant vieną pagrindinį tyrimą su 31 pacientu, sergančiu paveldima tinklainės distrofija, kurią sukėlė *RPE65* geno mutacijos. Pagrindinis vaisto veiksmingumo rodiklis buvo pacientų mobilumo testo, per kurį jie turėjo judėti reikiama kryptimi su posūkais ir kliūtimis esant skirtingam aplinkos apšvietimui, rezultatai. Laikyta, kad pacientai išlaikė testą, jei įveikė maršrutą per 3 minutes ir atsitrenkė į ne daugiau kaip 3 kliūtis.

Praėjus vieneriems gydymo metams, Luxturna gydytų pacientų rezultatai pagerėjo 1,8 punkto, o pacientų, kuriems Luxturna nebuvo skirtas – 0,2 punkto; tai reiškia, kad Luxturna gydyti pacientai galėjo geriau judėti reikiama kryptimi. Be to, 13 iš 21 (62 proc.) Luxturna gydytų pacientų mobilumo testą išlaikė esant žemiausiam 1 liukso apšvietimo lygiui (panašiai kaip prastai apšviesto kelio naktį sąlygomis), o šio vaisto nevartoję pacientai to padaryti negalėjo. Pacientų rega gerėjo ne mažiau kaip trejus metus.

Kokia rizika susijusi su Luxturna vartojimu?

Dažniausi Luxturna šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 20) yra junginės hiperemija (padidėjęs kraujo antplūdis į akį, lemiantis akių paraudimą), katarakta (lęšiuko sudrumstėjimas) ir padidėjęs spaudimas akies viduje. Išsamų visų Luxturna šalutinio poveikio reiškinų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Luxturna negalima vartoti pacientams, sergantiems akių infekcija arba uždegimu. Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

Kodėl Luxturna buvo patvirtintas ES?

Nustatyta, kad Luxturna pagerina pacientų regėjimą ir gebėjimą judėti aplink kliūtis, ypač esant silpnam apšvietimui, ir tikėtina dėl to pagerės jų gyvenimo kokybė. Tai buvo laikoma svarbia klinikoje nauda, atsižvelgiant į tai, kad nėra patvirtintų šių progresuojančių, degeneracinių ligų gydymo būdų. Luxturna saugumas buvo laikomas priimtiniu, o jo sukeltus šalutinius reiškinus galima kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Luxturna nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Luxturna vartojimą?

Luxturna prekiaujanti bendrovė parengs mokomąją programą ir medžiagą gydytojams ir vaistininkams, kurie skirs ir tvarkys Luxturna, kad užtikrintų tinkamą šio vaisto vartojimą ir sumažintų su vaistu ir jo skyrimu susijusią riziką. Luxturna bus platinamas tik centruose, kur parengta mokomoji programa. Pacientams ir jų globėjams taip pat bus pateiktas informacinis paketas.

Be to, bendrovė turės 15 metų stebėti visus pagrindiniuose tyrimuose Luxturna vartojusius pacientus, kad būtų galima apibūdinti ilgalaikį vaisto veiksmingumą ir saugumą, ir sukurti registrą, kuriame būtų kaupiami ilgalaikiai Luxturna gydomų pacientų saugumo duomenys.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Luxturna vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Luxturna vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Luxturna šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Luxturna

Daugiau informacijos apie Luxturna rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.