



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831444/2018  
EMA/H/C/004451

## Luxturna (*voretigēna neparvoveks*)

*Luxturna* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Luxturna* un kāpēc tās lieto?

*Luxturna* ir zāles, ko lieto pieaugušo un bērnu ārstēšanai, kuriem ir redzes zudums iedzimtas tīklenes distrofijas — retas ģenētiskas tīklenes (pret gaismu jutīgas membrānas acs aizmugurē) slimības — dēļ.

*Luxturna* var lietot tikai tad, ja pacientiem joprojām ir pietiekami daudz funkcionējošu šūnu tīklenē un ja slimību ir izraisījušas mutācijas (izmaiņas) *RPE65* gēnā. *RPE65* gēns atbild par enzīma *all-trans-retinilizomerāzes* ražošanu, kas ir nepieciešams normālai tīklenes šūnu darbībai.

*Luxturna* satur aktīvo vielu voretigēna neparvoveku, un tās ir uzlabotu terapijas zāļu veids, ko dēvē par "gēnu terapijas līdzekli". Tas ir zāļu veids, kas darbojas, piegādājot organismam gēnus.

Iedzimtā tīklenes distrofija ir reta slimība, un *Luxturna* dažādos datumos tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai, kas paredzētas divu veidu slimībām (*retinitis pigmentosa* — 2015. gada 28. jūlijā; Lēbera pārmantotajai amaurozei — 2012. gada 2. aprīlī). Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodamā Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations).

### Kā lieto *Luxturna*?

*Luxturna* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāveic ķirurgam ar pieredzi acu operāciju veikšanā.

*Luxturna* lieto kā vienu subretinālu injekciju acs aizmugurē. Otra acs jāārstē vismaz sešas dienas pēc pirmās acs ārstēšanas. Pacientiem jāsaņem imūnsupresīvu līdzekļu (zāļu, kas mazina imūnsistēmas — organisma dabiskās aizsardzības — aktivitāti) lietošana 3 dienas pirms *Luxturna* injicēšanas pirmajā acī, lai mazinātu risku, ka organisms zāles atgrūds, un šī terapija jāturpina 14 dienas pēc injicēšanas.

Papildu informāciju par *Luxturna* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.



## **Kā Luxturna darbojas?**

*Luxturna* sastāvā ir vīruss, kas satur normālas *RPE65* gēna kopijas. Kad *Luxturna* injicē acī, vīruss ienes *RPE65* gēnu tīklenes šūnās, un tādējādi tās sāk ražot trūkstošo enzīmu. Tas uzlabo tīklenes šūnu darbību, palēninot slimības progresēšanu.

Šajās zālēs lietotais vīruss (adenoasociētais vīruss) neizraisa cilvēku saslimšanu.

## **Kādi Luxturna ieguvumi atklāti pētījumos?**

*Luxturna* tika pētīta vienā pamatpētījumā, iesaistot 31 pacientu ar iedzimtu tīklenes distrofiju *RPE65* gēna mutāciju dēļ. Galvenais efektivitātes rādītājs bija pacientu rezultāti mobilitātes testā, kur viņiem bija jāpārvietojas pa maršrutu ar pagriezieniem un šķēršļiem dažādos apgaismojumos. Tika uzskatīts, ka pacienti ir izturējuši testu, ja viņi nonāca galā trīs minūšu laikā un ieskrēja ne vairāk kā trīs šķēršļos.

Pēc vienu gadu ilgas ārstēšanas pacientiem, kuri lietoja *Luxturna*, rezultāts uzlabojās par 1,8 punktiem, savukārt pacientiem, kuri nelietoja *Luxturna*, rezultāts uzlabojās par 0,2 punktiem, proti, ar *Luxturna* ārstētie pacienti spēja sekmīgāk pārvietoties pa maršrutu. Turklāt 13 no 21 pacienta (62 %), kuri tika ārstēti ar *Luxturna*, izturēja mobilitātes testu ar zemāko gaismas līmeni 1 luksu (pielīdzināms vāji apgaismotai ietvei naktī), savukārt no pacientiem, kuri nelietoja *Luxturna*, neviens šādu testu neizturēja. Pacientu redzes uzlabojumi saglabājās vismaz trīs gadus.

## **Kāds risks pastāv, lietojot Luxturna?**

Visbiežākās *Luxturna* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 20 cilvēkiem) ir konjunktīvas hiperēmija (paaugstināta acs asinsapgāde, kā rezultātā rodas acs apsārtums), katarakta (acs lēcas apduļķošanās) un paaugstināts intraokulārais spiediens. Pilnu visu blakusparādību sarakstu, lietojot *Luxturna*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

*Luxturna* nedrīkst lietot pacienti, kuriem ir acu infekcija vai iekaisums. Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kāpēc Luxturna tika reģistrētas ES?**

Ir konstatēts, ka *Luxturna* uzlabo pacientu redzi un spēju pārvietoties vidē ar šķēršļiem, jo īpaši samazinātā apgaismojumā, un paredzams, ka šīs zāles uzlabo pacientu dzīves kvalitāti. Tika uzskatīts, ka tas ir būtisks klīniskais ieguvums, ņemot vērā, ka šai progresējošajai, deģeneratīvajai slimībai trūkst reģistrētu zāļu. Tiek uzskatīts, ka *Luxturna* drošība ir pieņemama un blakusparādības ir kontrolējamas. Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Luxturna*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

## **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu Luxturna lietošanu?**

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Luxturna*, izveidos izglītojošu programmu un sagatavos izglītojošus materiālus ārstiem un farmaceitiem, kuri parakstīs *Luxturna* un rīkosies ar tām, lai nodrošinātu zāļu pareizu lietošanu un mazinātu ar zālēm un to ievadīšanu saistītos riskus. *Luxturna* būs pieejamas tikai centros, kur ir ieviesta izglītojošā programma. Tiks nodrošināts arī informācijas kopums pacientiem un viņu aprūpētājiem.

Turklāt uzņēmumam 15 gadus būs jāapseko visi pacienti, kuri saņēma *Luxturna* pamatpētījumos, lai raksturotu šo zāļu ilgtermiņa efektivitāti un drošumu, un jāizveido reģistrs, lai vāktu ilgtermiņa datus par drošumu no pacientiem, kuri ārstēti ar *Luxturna*.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Luxturna* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Luxturna* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Luxturna* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

### **Cita informācija par *Luxturna***

Sīkāka informācija par *Luxturna* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).