



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831445/2018  
EMA/H/C/004451

## Luxturna (*voretigene neparvovec*)

Ħarsa ġenerali lejn Luxturna u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Luxturna u għal xiex jintuża?

Luxturna huwa mediċina li tintuża għall-kura ta' adulti u tfal b'telf tal-vista minħabba distrofija retinali li ntirtet, disturb ġenetiku rari tar-retina (il-membrana sensitiva għad-dawl fuq wara tal-għajn).

Luxturna jista' jintuża biss meta l-pazjenti jkun għad fadlilhom biżżejjed ċelloli li jiffunzjonaw fir-retina u meta l-marda tkun ikkawżata minn mutazzjonijiet (bidliet) fil-ġene *RPE65*. *RPE65* hija responsabbli mill-produzzjoni ta' enzima msejha isomerażi tar-retinil all-trans (all-trans retinyl isomerase), li hija meħtieġa għall-funzjonament normali taċ-ċelloli retinali.

Luxturna fih is-sustanza attiva voretigene neparvovec u huwa tip ta' mediċina terapewtika avvanzata msejha 'prodott ta' terapija tal-ġeni'. Din hija tip ta' mediċina li taħdem billi twassal il-ġeni fil-ġisem.

Id-distrofija retinali li ntirtet hija rari, u Luxturna ġie denominat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) għal żewġ forom tal-marda f'diversi dati (retinitis pigmentosa: 28 ta' Lulju 2015; amaurosis konġenitali ta' Leber: 2 ta' April 2012. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab fuq is-sit elettroniku tal-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations).

### Kif jintuża Luxturna?

Luxturna jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tingħata minn kirurgu li jkollu esperjenza fil-kirurgija tal-għajnejn.

Luxturna jingħata bħala injezzjoni unika fuq wara ta' kull għajn, taħt ir-retina. It-tieni għajn għandha tiġi kkurata mill-inqas 6 ijiem wara l-ewwel waħda. Il-pazjenti għandhom jibdew jirċievu mediċini immunosuppressanti (mediċini li jnaqqsu l-attività tas-sistema immunitarja, id-difiżi naturali tal-ġisem) 3 ijiem qabel Luxturna jiġi injettat fl-ewwel għajn, biex jitnaqqas ir-riskju li l-mediċina tkun rifjutata mill-ġisem, u din il-kura għandha titkompla għal 14-il jum wara l-injezzjoni

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Luxturna, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.



## **Kif jaħdem Luxturna?**

Luxturna jikkonsisti minn virus li fih kopji normali tal-gene *RPE65*. Meta Luxturna jiġi injettat fl-għajnejn il-virus iġorr il-gene *RPE65* fiċ-ċelloli retinali u jippermettilhom jipproduċu l-enzima nieqsa. Dan jgħin liċ-ċelloli fir-retina biex jiffunzjonaw aħjar, billi jnaqqsu l-progressjoni tal-marda.

It-tip ta' virus użat f'din il-medicina (virus assoċjat mal-adeno) ma jikkawżax mard fil-bnedmin.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Luxturna li ħarġu mill-istudji?**

Luxturna kien investigat fi studju ewlieni wieħed li kien jinvolvi 31 pazjent li jbatu minn distrofija retinali li ntirret minhabba l-mutazzjonijiet *RPE65*. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien kemm kienet tajba l-prestazzjoni tal-pazjenti f'test tal-mobbiltà, fejn huma kienu meħtieġa jinnavigaw rotta b'tidwir u ostakli taħt diversi kundizzjonijiet ta' dawl. Il-pazjenti ġew ikkunsidrati li għaddew mit-test jekk spiċċaw ir-rotta fi 3 minuti u laqtu mhux aktar minn 3 ostakli.

Wara sena ta' kura, il-pazjenti kkurati b'Luxturna tejbu l-punteġġi tagħhom b'1.8 punti, filwaqt li l-pazjenti li ma ngħatawx Luxturna tejbu l-punteġġi tagħhom b'0.2 punti, u dan ifisser li l-pazjenti kkurati b'Luxturna kienu kapaċi jimxu aħjar tul ir-rotta. Barra minn hekk, 13 mill-21 pazjent (62 %) ikkurati b'Luxturna għaddew mit-test tal-mobbiltà fil-livell ta' dawl l-aktar baxx ta' 1 lux (simili għall-kondizzjonijiet ta' bankina mdawla b'dawl baxx ħafna bil-lejl), filwaqt li l-ebda wieħed mill-pazjenti li ma ngħatawx il-medicina ma seta' jagħmel dan. It-titjib fil-viżjoni tal-pazjenti nżamm għal mill-inqas tliet snin.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Luxturna?**

L-effetti sekondarji l-iktar komuni b'Luxturna (li jistgħu jaffetwaw iktar minn persuna 1 minn 20) huma iperimija kongunktivali (żieda ta' iktar demm fl-għajnejn, li jwassal għall-ħmura tal-għajnejn) katarretti (tiċpir tal-lenti tal-għajnejn) u żieda fil-pressjoni fuq ġewwa tal-għajnejn. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji ta' Luxturna, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Luxturna m'għandux jintuża f'pazjenti b'infjezzjoni jew b'infjammazzjoni fl-għajnejn. Għal-lista sħiħa tar-restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex Luxturna huwa awtorizzat fl-UE?**

Luxturna ntwerha li jtejjeb il-viżjoni tal-pazjenti u l-abbiltà tagħhom li jevitaw l-ostakli, b'mod partikolari f'dawl baxx, u huwa mistenni li jtejjeb il-kwalità tal-ħajja tagħhom. Dan kien ikkunsidrat bħala benefiċċju kliniku importanti, meta jitqies in-nuqqas ta' kuri awtorizzati għal din il-kondizzjoni deġenerattiva u progressiva. Is-sigurtà ta' Luxturna kienet ikkunsidrata aċċettabbli u l-effetti sekondarji kienu maniġġabbli. Għaldaqstant, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ddecidiet li l-benefiċċji ta' Luxturna huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Luxturna?**

Il-kumpanija li tqiegħed Luxturna fis-suq ser tistabbilixxi programm edukattiv u ser tfejji materjal edukattiv li għandu fil-mira lit-tobba u lill-ispjazzari li huma mistenni li jużaw u jimmaniġġaw Luxturna, sabiex jiġi żgurat l-użu korrett tal-medicina u jiġu minimizzati r-riskji assoċjati mal-medicina u l-għoti tagħha. Luxturna ser ikun disponibbli biss minn ċentri fejn ikun stabbilit il-programm edukattiv. Ser jiġi pprovdut ukoll pakkett ta' informazzjoni għall-pazjenti u għal dawk li jieħdu ħsiebhom.

Barra minn hekk, il-kumpanija ser ikollha ssegwi lill-pazjenti kollha li rċevew Luxturna fl-istudji ewlenin għal 15-il sena, sabiex tikkarakterizza l-effikaċja u s-sigurtà fit-tul tal-medicina, u tistabbilixxi registru biex tiġbor data dwar is-sigurtà fit-tul f'pazjenti kkurati b'Luxturna.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inkluzi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Luxturna.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-data dwar l-użu ta' Luxturna hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati b'Luxturna huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

## **Informazzjoni oħra dwar Luxturna**

Aktar informazzjoni dwar Luxturna tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).