



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831446/2018  
EMA/H/C/004451

## Luxturna (*voretigene neparvovec*)

Een overzicht van Luxturna en waarom het is geregistreerd in de EU

### Wat is Luxturna en wanneer wordt het voorgeschreven?

Luxturna is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen en kinderen die aan verlies van het gezichtsvermogen lijden als gevolg van erfelijke netvliesdystrofie, een zeldzame genetische aandoening van het netvlies (het lichtgevoelige membraan aan de achterkant van het oog).

Luxturna mag alleen worden gebruikt wanneer de patiënten nog voldoende werkende cellen in het netvlies hebben en wanneer de ziekte wordt veroorzaakt door mutaties (veranderingen) in het *RPE65*-gen. *RPE65* is verantwoordelijk voor het aanmaken van het enzym all-trans-retinylisomerase, dat noodzakelijk is voor de normale werking van netvliescellen.

Luxturna bevat de werkzame stof voretigene neparvovec en is een geneesmiddel voor geavanceerde behandeling dat 'gentherapieproduct' wordt genoemd. Dit is een type geneesmiddel dat werkt door genen aan het lichaam toe te dienen.

Erfelijke netvliesdystrofie is zeldzaam, en Luxturna werd op twee verschillende data aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen) voor twee vormen van de ziekte (retinitis pigmentosa: 28 juli 2015; congenitale amaurose van Leber: 2 april 2012). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations).

### Hoe wordt Luxturna gebruikt?

Luxturna is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden toegediend door een chirurg die ervaring heeft met het uitvoeren van oogoperaties.

Luxturna wordt toegediend als één enkele injectie in de achterkant van het oog, onder het netvlies. Het tweede oog moet ten minste zes dagen na het eerste worden behandeld. Drie dagen voordat Luxturna in het eerste oog wordt geïnjecteerd, moet de patiënt immunosuppressiva beginnen krijgen (geneesmiddelen die de activiteit van het immuunsysteem, de natuurlijke afweer van het lichaam, onderdrukken) om het risico tegen te gaan dat het lichaam het geneesmiddel zal afstoten. Deze behandeling moet tot 14 dagen na de injectie worden voortgezet.



Zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Luxturna.

## Hoe werkt Luxturna?

Luxturna bestaat uit een virus dat normale kopieën van het *RPE65*-gen bevat. Als Luxturna in het oog wordt geïnjecteerd, geeft het virus het *RPE65*-gen af in de cellen van het netvlies zodat deze het ontbrekende enzym kunnen aanmaken. Dit helpt de cellen in het netvlies beter te functioneren, wat de voortgang van de ziekte vertraagt.

Het virus dat in dit geneesmiddel wordt gebruikt (adeno-geassocieerd virus), veroorzaakt bij de mens geen ziekte.

## Welke voordelen bleek Luxturna tijdens de studies te hebben?

Luxturna is onderzocht in het kader van één hoofdstudie onder 31 patiënten met erfelijke netvliesdystrofie als gevolg van *RPE65*-mutaties. De belangrijkste maatstaf voor de werkzaamheid was hoe goed patiënten presteerden tijdens een mobiliteitstest, waarbij ze bij verschillende lichtsterkten een parcours met bochten en obstakels moesten afleggen. Patiënten werden geacht de test te hebben doorstaan als zij het parcours binnen de drie minuten hadden afgelegd en tegen niet meer dan drie obstakels waren aangelopen.

Na één jaar behandeling verbeterden patiënten die met Luxturna werden behandeld hun score met 1,8 punten, terwijl patiënten die geen Luxturna kregen hun score met 0,2 punten verbeterden, wat betekent dat patiënten die met Luxturna werden behandeld het parcours beter konden afleggen. Bovendien slaagden 13 van de 21 patiënten (62%) die met Luxturna werden behandeld voor de mobiliteitstest bij het laagste lichtniveau van 1 lux (vergelijkbaar met een slecht verlichte stoep 's nachts), terwijl bij de patiënten die het geneesmiddel niet kregen niemand hiertoe in staat was. De verbetering van het gezichtsvermogen van de patiënten bleef minstens drie jaar duren.

## Welke risico's houdt het gebruik van Luxturna in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Luxturna (die bij meer dan 1 op de 20 personen kunnen optreden) zijn conjunctivale hyperaemie (verhoogde bloedtoevoer naar het oog, wat leidt tot roodheid van het oog), cataract ( vertroebeling van de ooglens) en verhoogde druk in het oog. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van Luxturna.

Luxturna mag niet worden gebruikt bij patiënten met oogontsteking. Zie de bijsluiter voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

## Waarom is Luxturna geregistreerd in de EU?

Er is aangetoond dat Luxturna een verbetering met zich meebrengt van het gezichtsvermogen van patiënten en van hun vermogen om obstakels uit de weg te gaan, met name bij weinig licht, en naar verwachting zal dit de kwaliteit van hun leven verbeteren. Dit werd beschouwd als een belangrijk klinisch voordeel, rekening houdend met het gebrek aan goedgekeurde behandelingen voor deze progressieve, degeneratieve aandoening. De veiligheid van Luxturna werd aanvaardbaar en de bijwerkingen beheersbaar geacht. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Luxturna groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

## **Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Luxturna te waarborgen?**

Het bedrijf dat Luxturna op de markt brengt, zal een voorlichtingsprogramma in het leven roepen en voorlichtingsmateriaal maken voor artsen en apothekers die Luxturna naar verwachting zullen gebruiken, om een correct gebruik van het geneesmiddel te garanderen en de risico's verbonden aan het geneesmiddel en aan de toediening ervan zoveel mogelijk te beperken. Luxturna zal alleen beschikbaar zijn in centra waar het voorlichtingsprogramma voorhanden is. Er zal ook een voorlichtingspakket voor patiënten en hun verzorgers worden verstrekt.

Bovendien zal het bedrijf alle patiënten die Luxturna in het kader van het hoofdonderzoek hebben gekregen, gedurende 15 jaar moeten volgen om de werkzaamheid en veiligheid van het geneesmiddel in kaart te brengen, en het zal een register aanmaken waarin de langetermijnveiligheidsgegevens van patiënten die met Luxturna zijn behandeld worden bijgehouden.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Luxturna, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Luxturna continu gemonitord. Bijwerkingen waargenomen voor Luxturna worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

## **Overige informatie over Luxturna**

Meer informatie over Luxturna is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).