



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831448/2018  
EMEA/H/C/004451

## Luxturna (*woretygeny neparwowe*)

Przegląd wiedzy na temat leku Luxturna i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Co to jest lek Luxturna i w jakim celu się go stosuje

Luxturna to lek stosowany w leczeniu osób dorosłych i dzieci z utratą wzroku spowodowaną dziedziczną dystrofią siatkówki – rzadkim zaburzeniem genetycznym siatkówki (wrażliwa na światło błona w tylnej części oka).

Lek Luxturna można jedynie stosować, jeśli u pacjentów jest nadal pozostaje wystarczająco funkcjonujących komórek w siatkówce i w przypadku gdy choroba wywołana jest mutacjami (zmianami) genu *RPE65*. Gen *RPE65* jest odpowiedzialny za wytwarzanie enzymu zwanego izomerazą all-trans-retinylową, konieczną do normalnego funkcjonowania komórek siatkówki.

Lek Luxturna zawiera substancję czynną woretygeny neparwowe i jest rodzajem leku do zaawansowanego leczenia zwanym produktem terapii genowej. Jest to rodzaj leku, którego działanie polega na dostarczaniu genów do organizmu.

Dziedziczna dystrofia siatkówki jest rzadką chorobą, a lek Luxturna uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) dla dwóch postaci choroby (retinopatia barwnikowa: 28 lipca 2015 r.; wrodzona ślepota Lebera: 2 kwietnia 2012 r.). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocemu można znaleźć na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations).

### Jak stosować lek Luxturna

Lek Luxturna jest wydawany wyłącznie na receptę, a leczenie powinien rozpocząć i nadzorować lekarz mający doświadczenie w chirurgii oka.

Lek Luxturna podaje się w pojedynczym wstrzyknięciu w tylną część oka, pod siatkówkę. Przed przystąpieniem do leczenia drugiego oka powinno upłynąć co najmniej sześć dni od zakończenia pierwszego. Pacjenci powinni otrzymywać środki immunosupresyjne (leki ograniczające aktywność układu odpornościowego – naturalnego mechanizmu obronnego organizmu) na 3 dni przed wstrzyknięciem leku Luxturna do pierwszego oka w celu obniżenia ryzyka odrzucenia leku przez organizm, a leczenie należy kontynuować 14 dni po wstrzyknięciu.



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Luxturna znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Luxturna**

Luxturna składa się z wirusa zawierającego normalne kopie genu *RPE65*. Po wstrzyknięciu leku Luxturna do oka wirus przenosi gen *RPE65* do komórek siatkówki i umożliwia im wytwarzanie brakującego enzymu. Pozwala to komórkom w siatkówce na lepsze funkcjonowanie i spowolnienie progresji choroby.

Rodzaj wirusa zastosowany w tym leku (wirus zależny od adenowirusów) nie wywołuje choroby u ludzi.

## **Korzyści ze stosowania leku Luxturna wykazane w badaniach**

Lek Luxturna poddano ocenie w jednym badaniu głównym z udziałem 31 pacjentów z dziedziczną dystrofią siatkówki wywołaną mutacjami genu *RPE65*. Głównym kryterium oceny skuteczności były wyniki testu mobilności pacjentów, w którym mieli oni za zadanie pokonać trasę z zakrętami i przeszkodami w różnych warunkach oświetlenia. Za zdanie testu uznano ukończenie trasy w czasie poniżej 3 minut i potrącenie nie więcej niż 3 przeszkód.

Po roku leczenia u pacjentów leczonych produktem Luxturna nastąpiła poprawa wyników o 1,8 punktu, podczas gdy u pacjentów nieleczonych lekiem Luxturna wyniki uległy poprawie o 0,2 punktu, co oznacza, że pacjenci leczeni produktem Luxturna mogli swobodniej poruszać się wzdłuż wyznaczonej trasy. Ponadto 13 z 21 pacjentów (62%) leczonych lekiem Luxturna zdało test mobilności w warunkach oświetlenia na poziomie 1 luksa (zbliżone warunki do słabo oświetlonego chodnika w nocy), podczas gdy pacjenci, którzy nie otrzymywali leku, nie byli w stanie tego dokonać. Poprawa widzenia u pacjentów utrzymywała się przez co najmniej 3 lata.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem produktu Luxturna**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Luxturna (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 20 pacjentów) to przekrwienie spojówkowe (zwiększony dopływ krwi do oka prowadzący do zaczerwienienia oka), zaćma (zmętnienie soczewki) oraz zwiększone ciśnienie wewnątrz oka. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Luxturna znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Luxturna nie wolno stosować u pacjentów z zakażeniem lub zapaleniem oka. Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Luxturna w UE**

Lek Luxturna przyczynił się do poprawy widzenia pacjentów i zdolności do poruszania się wokół przeszkód, w szczególności w przyćmionym świetle i można się spodziewać, że przyczyni się do poprawy ich jakości życia. Uznano to za ważną korzyść kliniczną, biorąc pod uwagę brak zatwierdzonych metod leczenia dla tej postępującej, degeneracyjnej choroby. Bezpieczeństwo leku Luxturna uznano za dopuszczalne, a działania niepożądane za możliwe do kontrolowania. Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Luxturna przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Luxturna**

Firma wprowadzająca lek Luxturna do obrotu opracuje program szkoleniowy wraz z materiałami skierowany do lekarzy i farmaceutów mogących mieć kontakt z lekiem, aby zapewnić prawidłowe stosowanie leku Luxturna oraz ograniczyć ryzyko związane z jego stosowaniem. Lek Luxturna będzie dostępny jedynie w ośrodkach, gdzie organizowany jest program szkoleniowy. Udostępniony zostanie również pakiet informacyjny dla pacjentów i ich opiekunów.

Ponadto firma podda obserwacji wszystkich pacjentów, którym przez 15 lat w badaniach głównych podawano lek Luxturna, aby opisać długoterminową skuteczność i bezpieczeństwo leku oraz ustanowić rejestr w celu zgromadzenia danych na temat długoterminowego bezpieczeństwa danych u pacjentów leczonych lekiem Luxturna.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Luxturna w Charakterystyce produktu leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane na temat stosowania leku Luxturna są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Luxturna są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Luxturna**

Dalsze informacje dotyczące leku Luxturna znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).