



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831426/2018
EMEA/H/C/004451

Luxturna (*voretigene neparvovec*)

Um resumo sobre Luxturna e porque está autorizado na UE

O que é Luxturna e para que é utilizado?

Luxturna é um medicamento utilizado no tratamento de adultos e crianças com perda de visão devido a distrofia da retina hereditária, uma doença genética rara da retina (a membrana sensível à luz no fundo do olho).

Luxturna só pode ser utilizado enquanto os doentes ainda disponham de células funcionais suficientes na retina e quando a doença é causada por mutações (alterações) no gene *RPE65*. O gene *RPE65* é responsável pela produção de uma enzima denominada isomerase retinol all-trans, que é necessária para o funcionamento normal das células da retina.

Luxturna contém a substância ativa voretigene neparvovec e é um tipo de medicamento de terapia avançada denominado medicamento de terapia genética. Trata-se de um tipo de medicamento com um mecanismo de ação que consiste em transferir genes para o organismo.

A distrofia da retina hereditária é rara, e Luxturna foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) para duas formas da doença em várias datas (retinite pigmentosa: 28 de julho de 2015; amaurose congénita de Leber: 2 de abril de 2012). Mais informações sobre designações órfãs podem ser encontradas no sítio da internet da Agência Europeia de Medicamentos ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Como se utiliza Luxturna?

Luxturna só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um cirurgião com experiência na realização da cirurgia ocular.

Luxturna é administrado como injeção única no fundo do olho, sob a retina. O segundo olho deve ser tratado pelo menos 6 dias após o primeiro. Os doentes devem começar a receber medicamentos imunossupressores (medicamentos que reduzem a atividade do sistema imunitário, as defesas naturais do organismo) 3 dias antes da injeção de Luxturna no primeiro olho, para reduzir o risco de rejeição do medicamento pelo organismo, e este tratamento deve ser mantido durante 14 dias após a injeção.

Para mais informações sobre a utilização de Luxturna, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.



Como funciona Luxturna?

Luxturna consiste num vírus que contém cópias normais do gene *RPE65*. Quando Luxturna é injetado no olho, o vírus transporta o gene *RPE65* para as células da retina e permite-lhes produzir a enzima em falta. Isto ajuda as células da retina a funcionarem melhor e abrandam a progressão da doença.

O tipo de vírus utilizado neste medicamento (vírus adeno-associado) não causa doença nos seres humanos.

Quais os benefícios demonstrados por Luxturna durante os estudos?

Luxturna foi investigado num estudo principal que incluiu 31 doentes com distrofia da retina hereditária devido a mutações no gene *RPE65*. O principal parâmetro de eficácia foi o desempenho dos doentes num teste de mobilidade, onde era necessário percorrer um trajeto com curvas e obstáculos sob várias definições de luz. Considerou-se que os doentes passavam o teste quando concluíam o trajeto e não colidiam com mais de 3 obstáculos.

Após um ano de tratamento, os doentes tratados com Luxturna melhoraram a sua pontuação em 1,8 pontos, ao passo que os doentes que não receberam Luxturna melhoraram a sua pontuação em 0,2 pontos, o que significa que os doentes tratados com Luxturna conseguiram movimentar-se melhor ao longo do trajeto. Além disso, 13 dos 21 doentes (62 %) tratados com Luxturna passaram o teste de mobilidade ao nível de luz (1 lux) mais baixo (semelhante às condições de um pavimento pouco iluminado à noite), ao passo que nenhum dos doentes que não receberam o medicamento foi capaz de o fazer. A melhoria da visão dos doentes manteve-se durante, pelo menos, três anos.

Quais são os riscos associados ao Luxturna?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Luxturna (que podem afetar mais de 1 em cada 20 pessoas) são hiperemia conjuntival (aumento do fornecimento de sangue para o olho, o que provoca vermelhidão no olho), cataratas (turvação do cristalino do olho) e aumento da pressão no interior do olho. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente a Luxturna, consulte o Folheto Informativo.

O uso de Luxturna é contraindicado em doentes com infeção ou inflamação no olho. Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Luxturna autorizado na UE?

Luxturna demonstrou melhorar a visão e a capacidade dos doentes para contornar obstáculos, nomeadamente com pouca iluminação, e espera-se que melhore a sua qualidade de vida. Este foi considerado um importante benefício clínico, tendo em conta a falta de tratamentos autorizados para esta doença progressiva ou degenerativa. A segurança de Luxturna foi considerada aceitável e os efeitos secundários controláveis. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Luxturna são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Luxturna?

A empresa que comercializa Luxturna implementará um programa educacional e preparará material educacional destinado a médicos e farmacêuticos que se espera venham a utilizar e manusear Luxturna, a fim de assegurar a correta utilização do medicamento e minimizar os riscos associados ao

medicamento e à sua administração. Luxturna só estará disponível nos centros onde o programa educacional está implementado. Será igualmente fornecido um pacote informativo destinado aos doentes e respetivos prestadores de cuidados.

Além disso, a empresa terá de acompanhar todos os doentes que receberam Luxturna nos estudos principais durante 15 anos, a fim de caracterizar a eficácia e a segurança de longo prazo do medicamento, e criar um registo para recolher dados de segurança de longo prazo em doentes tratados com Luxturna.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Luxturna.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Luxturna são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Luxturna são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Luxturna

Mais informações sobre Luxturna podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.