



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831427/2018
EMA/H/C/004451

Luxturna (*voretigene neparvovec*)

O prezentare generală a Luxturna și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Luxturna și pentru ce se utilizează?

Luxturna este un medicament care se utilizează pentru tratarea adulților, copiilor și adolescenților care și-au pierdut vederea din cauza distrofiei retiniene ereditare, o tulburare genetică rară a retinei (membrana fotosensibilă din spatele ochiului).

Luxturna se poate utiliza doar dacă pacienții mai au suficiente celule viabile în retină și dacă boala este cauzată de mutații (modificări) ale genei *RPE65*. Gena *RPE65* este responsabilă pentru producerea unei enzime numite izomerază all-trans-retinyl, necesară pentru funcționarea normală a celulelor retiniene.

Luxturna conține substanța activă voretigene neparvovec și este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „medicament pentru terapie genică”. Acesta este un tip de medicament care acționează eliberând gene în organism.

Distrofia retiniană ereditară este rară și Luxturna a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) pentru două forme ale bolii la diferite date (retinita pigmentară: 28 iulie 2015; amauroza congenitală Leber: 2 aprilie 2012). Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite pe site-ul Agenției Europene pentru Medicamente ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Cum se utilizează Luxturna?

Luxturna se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie administrat de un medic chirurg cu experiență în operații oftalmologice.

Luxturna se administrează sub formă de injecție unică în partea posterioară a fiecărui ochi, sub retină. Al doilea ochi trebuie tratat la cel puțin 6 zile după primul. Pacienții trebuie să înceapă să primească medicamente imunosupresoare (medicamente care reduc activitatea sistemului imunitar, mecanismul natural de apărare al organismului) cu 3 zile înainte de injecția cu Luxturna în primul ochi, pentru a diminua riscul de respingere a medicamentului de către organism, iar acest tratament trebuie continuat 14 zile după injecție.



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Luxturna, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Luxturna?

Luxturna constă dintr-un virus care conține copii normale ale genei *RPE65*. Când se injectează Luxturna în ochi, virusul transportă gena *RPE65* în celulele retiniene, permițându-le să producă enzima care lipsește. Celulele din retină sunt ajutate astfel să funcționeze mai bine, încetinind evoluția bolii.

Tipul de virus utilizat în acest medicament (virusul adeno-asociat) nu cauzează boli la om.

Ce beneficii a prezentat Luxturna pe parcursul studiilor?

Luxturna a fost analizat într-un studiu principal care a cuprins 31 de pacienți cu distrofie retiniană ereditară cauzată de mutații ale genei *RPE65*. Principala măsură a eficacității a fost modul în care pacienții au efectuat un test de mobilitate, unde li s-a cerut să se deplaseze pe un traseu cu viraje și obstacole în diverse condiții de luminozitate. S-a considerat că pacienții au trecut testul dacă au parcurs traseul în 3 minute și nu s-au lovit de mai mult de 3 obstacole.

După un an de tratament, pacienții tratați cu Luxturna au avut o îmbunătățire de 1,8 puncte, în timp ce pacienții care nu au primit Luxturna au avut o îmbunătățire de 0,2 puncte, ceea ce înseamnă că pacienții tratați cu Luxturna au putut să se deplaseze mai bine de-a lungul traseului. În plus, 13 din cei 21 de pacienți (62 %) tratați cu Luxturna au trecut testul de mobilitate la cel mai mic nivel de lumină de 1 lux (similar condițiilor unui trotuar slab luminat pe timp de noapte), în timp ce niciunul dintre pacienții care nu au primit medicamentul nu a putut să facă acest lucru. Îmbunătățirea vederii pacienților s-a menținut cel puțin trei ani.

Care sunt riscurile asociate cu Luxturna?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Luxturna (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 20) sunt hiperemie conjunctivală (creșterea aportului de sânge la nivelul ochiului, care duce la înroșirea ochiului), cataractă (opacifierea cristalinului) și tensiune crescută în interiorul ochiului. Pentru lista completă a reacțiilor adverse asociate cu Luxturna, citiți prospectul.

Luxturna este contraindicat la pacienții cu infecție sau inflamație oculară. Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Luxturna în UE?

S-a demonstrat că Luxturna îmbunătățește vederea pacienților și capacitatea lor de a se deplasa printre obstacole, în special în zone slab luminate, și se preconizează că le va îmbunătăți calitatea vieții. Acest beneficiu a fost considerat un beneficiu clinic important, ținând seama de lipsa de tratamente autorizate pentru această afecțiune degenerativă progresivă. Siguranța Luxturna a fost considerată acceptabilă, iar reacțiile adverse au fost considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Luxturna sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Luxturna?

Compania care comercializează Luxturna va pune în aplicare un program educațional și va pregăti materiale educaționale destinate medicilor și farmaciștilor care urmează să administreze și să manipuleze Luxturna, pentru a asigura utilizarea corectă a medicamentului și a reduce la minimum

riscurile asociate medicamentului și administrării sale. Luxturna va fi disponibil doar în centrele unde se pune în aplicare programul educațional. Se va furniza, de asemenea, un pachet informativ destinat pacienților și îngrijitorilor lor.

În plus, compania va trebui să monitorizeze timp de 15 ani toți pacienții care au primit Luxturna în studiile principale, pentru a caracteriza eficacitatea și siguranța medicamentului pe termen lung și a crea un registru care să adune date despre siguranța pe termen lung la pacienții tratați cu Luxturna.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Luxturna, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Luxturna sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Luxturna sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Luxturna

Informații suplimentare cu privire la Luxturna sunt disponibile pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.