



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831428/2018  
EMA/H/C/004451

## Luxturna (*voretigén neparvovek*)

Všeobecný prehľad o lieku Luxturna a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Luxturna a na čo sa používa?

Luxturna je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých a detí so stratou zraku v dôsledku dedičnej retinálnej dystrofie, čo je zriedkavá dedičná porucha sietnice (svetlocitlivej vrstvy v zadnej časti oka).

Liek Luxturna sa môže používať iba u tých pacientov, ktorí ešte majú dostatočný počet fungujúcich buniek v sietnici a ak je ich ochorenie vyvolané mutáciou (zmenou) génu RPE65. RPE65 zodpovedá za produkciu enzýmu, ktorý sa nazýva all-trans-retinyl izomeráza a je potrebný na normálne fungovanie buniek sietnice.

Liek Luxturna obsahuje liečivo voretigén neparvovek a je to druh lieku na inovatívnu liečbu označený ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

Vrodená retinálna dystrofia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Luxturna označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“) k dvom rôznym dátumom pre dve formy ochorenia (retinis pigmentosa: 28. júla 2015 a Leberova vrodená amauroza: 2. apríla 2012). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť na webovej stránke Európskej agentúry pre lieky .

### Ako sa liek Luxturna používa?

Výdaj lieku Luxturna je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať chirurg, ktorý má skúsenosti s chirurgickými zákrokmi v oku.

Liek Luxturna sa podáva ako jedna injekcia do zadnej časti oka pod sietnicu. Injekcia do druhého oka sa má podať najskôr po 6 dňoch od podania do prvého oka. Tri dni pred podaním injekcie lieku Luxturna do prvého oka majú pacienti začať imunosupresívnu liečbu (liekmi na zníženie činnosti imunitného systému, prirodzenej obrany tela), aby sa znížilo riziko odvrhnutia lieku telom a táto má pokračovať 14 dní po podaní injekcie.

Viac informácií o používaní lieku Luxturna si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.



## **Akým spôsobom liek Luxturna účinkuje?**

V lieku Luxturna sa nachádza vírus, ktorý obsahuje kópie normálneho génu RPE65. Po injekčnom podaní lieku Luxturna do oka prenesie tento vírus gén RPE65 do buniek sietnice a umožní im produkovať chýbajúci enzým. Tým sa zlepší funkcia sietnice a spomalí sa progresia ochorenia.

Druh vírusu v tomto lieku (adeno-asociovaný vírus) nespôsobuje ochorenie u ľudí.

## **Aké prínosy lieku Luxturna boli preukázané v štúdiách?**

Liek Luxturna sa skúmal v jednej hlavnej štúdii s 31 pacientmi s vrodenu retinálnou dystrofiou v dôsledku mutácie RPE65. Hlavným meradlom účinnosti bola skúška mobility pacientov, keď sa mali pohybovať po trase so zákrutami a prekážkami pri rôznych svetelných pomeroch. Ak pacienti dokázali prejsť trasu za 3 minúty a nevráziť viac ako do 3 prekážok, skúška sa považovala za úspešnú.

Po jednom roku liečby sa skóre u pacientov liečených liekom Luxturna zlepšilo o 1,8 bodu, pričom pacienti, ktorí nedostali liek Luxturna, si polepšili o 0,2 bodu, čo znamená, že pacienti liečení liekom Luxturna vedeli lepšie a rýchlejšie prejsť trasu. Okrem toho 62 % pacientov (13 z 21) liečených liekom Luxturna dokázalo absolvovať skúšku mobility aj pri najnižšom osvetlení 1 lux (podobnom ako pri slabom osvetlenom chodníku v noci), čo sa nepodarilo ani jednému z pacientov, ktorí liek nedostali. Zlepšenie zraku pacientov sa udržalo minimálne počas troch rokov.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Luxturna?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Luxturna (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 20) sú hyperémia spojovky (zvýšený prívod krvi do oka vedúci k začervenaniu), katarakta (zakalenie šošovky) a zvýšený vnútroočný tlak. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Luxturna sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Luxturna sa nesmie používať u pacientov s očnou infekciou alebo zápalom. Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Luxturna povolený v EÚ?**

Preukázalo sa, že liek Luxturna zlepšuje zrak pacienta a jeho schopnosť pohybu medzi prekážkami, najmä pri tlmenom svetle, a preto sa očakáva, že zlepší kvalitu života. Považuje sa to za dôležitý klinický prínos vzhľadom na to, že neexistuje dostatok povolených liekov na toto progresívne degeneratívne ochorenie. Bezpečnosť lieku Luxturna sa považuje za prijateľnú a vedľajšie účinky za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Luxturna sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Luxturna?**

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Luxturna na trh, pripraví vzdelávací program a vypracuje vzdelávací materiál pre lekárov a lekárnikov o tom, ako používať tento liek a ako s ním zaobchádzať, aby sa zabezpečilo správne používanie tohto lieku a aby sa znížilo riziko spojené s liekom a jeho podávaním. Liek Luxturna bude k dispozícii iba vo vybraných centrách so zavedených vzdelávacím programom. K dispozícii bude aj informačný balík pre pacientov a ich opatrovateľov.

Spoločnosť bude navyše sledovať všetkých pacientov, ktorým bude podaný liek Luxturna v hlavných štúdiách trvajúcich 15 rokov, aby sa zhodnotila dlhodobá účinnosť a bezpečnosť lieku a aby sa vytvoril zoznam na zhromažďovanie dlhodobých údajov o bezpečnosti pacientov liečených liekom Luxturna.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Luxturna boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Luxturna sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Luxturna sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Luxturna**

Ďalšie informácie o lieku Luxturna sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).