



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831429/2018
EMEA/H/C/004451

Luxturna (*voretigen neparvovek*)

Pregled zdravila Luxturna in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Luxturna in za kaj se uporablja?

Luxturna je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje odraslih in otrok z izgubo vida zaradi dedne mrežnične distrofije, tj. redke genetske okvare mrežnice (na svetlobo občutljive membrane na očesnem ozadju).

Zdravilo Luxturna se lahko uporablja samo, če imajo bolniki še vedno dovolj delujočih celic v mrežnici in če so bolezen povzročile mutacije (spremembe) gena *RPE65*. Gen *RPE65* je odgovoren za tvorjenje encima, imenovanega vse-trans-retinil izomeraza, ki je potreben za normalno delovanje celic mrežnice.

Zdravilo Luxturna vsebuje učinkovino voretigen neparvovek in je vrsta zdravila za napredno zdravljenje, imenovano „zdravilo za gensko zdravljenje“. Gre za skupino zdravil, ki delujejo tako, da prenesejo gene v telo.

Dedna mrežnična distrofija je redka, zato je bilo zdravilo Luxturna določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih boleznih) za dve obliki bolezni na dva različna datuma (za retinitis pigmentoso: 28. julija 2015 in za Leberjevo kongenitalno amavrozo: 2. aprila 2012). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete na spletni strani Evropske agencije za zdravila ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Kako se zdravilo Luxturna uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Luxturna je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti kirurg z izkušnjami z izvajanjem operativnih posegov na očeh.

Zdravilo Luxturna se daje kot enkratna injekcija v zadnji del vsakega očesa pod mrežnico. V drugo oko se injicira najmanj 6 dni po injiciranju v prvo. Bolniki morajo začeti prejemati imunosupresivna zdravila (zdravila, ki zavirajo delovanje imunskega sistema, naravnega obrambnega mehanizma telesa) tri dni preden se zdravilo Luxturna injicira v prvo oko, da se zmanjša tveganje, da telo zavrne zdravilo. S tem zdravljenjem je treba nadaljevati še 14 dni po injiciranju.

Za več informacij glede uporabe zdravila Luxturna glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Luxturna deluje?

Zdravilo Luxturna sestoji iz virusa, ki vsebuje normalne kopije gena *RPE65*. Ko se zdravilo Luxturna injicira v oko, virus prenese gen *RPE65* v celice mrežnice in jim omogoči tvorjenje manjkajočega encima. To pripomore k boljšemu delovanju celic v mrežnici, kar upočasnjuje napredovanje bolezni.

Vrsta virusa, uporabljenega v tem zdravilu (adeno-povezan virus), ne povzroča bolezni pri ljudeh.

Kakšne koristi je zdravilo Luxturna izkazalo v študijah?

Zdravilo Luxturna je bilo raziskano v eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 31 bolnikov z dedno mrežnično distrofijo zaradi mutacij gena *RPE65*. Glavno merilo učinkovitosti je bilo, kako dobro so bolniki opravili preskus mobilnosti, pri katerem so morali krmariti po poti z zavoji in ovirami pri različnih nastavitvah svetlobe. Bolniki so preskus opravili, če so pot končali v treh minutah in se niso zaleteli v več kot tri ovire.

Po enem letu zdravljenja so bolniki, zdravljeni z zdravilom Luxturna, izboljšali svoje rezultate za 1,8 točke, medtem ko so bolniki, ki tega zdravila niso prejeli, svoj rezultat izboljšali za 0,2 točke. To pomeni, da so se bolniki, zdravljeni z zdravilom Luxturna, po poti boljše premikali. Poleg tega je 13 od 21 (62 %) bolnikov, zdravljenjih z zdravilom Luxturna, uspešno opravilo preskus mobilnosti na najnižji stopnji osvetljenosti en luks (podobno kot pri slabo osvetljenem pločniku ponoči), medtem ko nobeden od bolnikov, ki niso prejeli tega zdravila, tega ni mogel storiti. Izboljšanje vida bolnikov se je ohranilo vsaj tri leta.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Luxturna?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Luxturna (ki lahko prizadenejo več kot 1 osebo od 20) so veznična hiperemija (povečana oskrba očesa s krvjo, ki povzroča pordelost očesa), katarakta (zamegljenost očesne leče) in povečan pritisk znotraj očesa. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Luxturna, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Luxturna ne sme uporabljati pri bolnikih z očesno okužbo ali vnetjem očesa. Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je zdravilo Luxturna odobreno v EU?

Za zdravilo Luxturna je bilo dokazano, da izboljšuje vid bolnikov in njihovo sposobnost, da se premikajo okoli ovir, zlasti pri šibki svetlobi, in se pričakuje, da bo izboljšalo njihovo kakovost življenja. To je bilo ocenjeno kot pomembna klinična korist, pri čemer se je upoštevalo pomanjkanje odobrenih zdravljenj za to napredujoče degenerativno stanje. Varnost zdravila Luxturna je bila ocenjena kot sprejemljiva, neželeni učinki pa obvladljivi. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Luxturna večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Luxturna?

Družba, ki trži zdravilo Luxturna, bo za zagotovitev njegove pravilne uporabe in zmanjšanje tveganja, povezanega s tem zdravilom in njegovo uporabo, vzpostavila izobraževalni program in pripravila izobraževalno gradivo za zdravnike in farmacevte, za katere se pričakuje, da bodo uporabljali zdravilo Luxturna in rokovali z njim. Zdravilo Luxturna bo na voljo samo v centrih, kjer se izvaja izobraževalni program. Na voljo bo tudi informacijsko gradivo za bolnike in njihove negovalce.

Poleg tega bo morala družba spremljati vse bolnike, ki so v glavnih študijah prejeli zdravilo Luxturna 15 let, da bi opredelila dolgoročno učinkovitost in varnost zdravila ter vzpostavila register za zbiranje dolgoročnih podatkov o varnosti pri bolnikih, ki so bili zdravljeni z zdravilom Luxturna.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Luxturna upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Luxturna stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Luxturna, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Luxturna

Nadaljnje informacije o zdravilu Luxturna so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.