



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831430/2018
EMA/H/C/004451

Luxturna (*voretigen neparvovek*)

Sammanfattning av Luxturna och varför det är godkänt inom EU

Vad är Luxturna och vad används det för?

Luxturna är ett läkemedel som används för att behandla vuxna och barn med synförlust på grund av nedärvd retinaldystrofi, en sällsynt genetisk sjukdom i näthinnan (det ljuskänsliga membranet längst bak i ögat).

Luxturna kan endast användas om patienterna fortfarande har tillräckligt många fungerande näthinneceller kvar och när sjukdomen orsakas av mutationer (förändringar) i genen *RPE65*. *RPE65* ansvarar för produktionen av ett enzym som kallas all-trans-retinyl-isomeras, som är nödvändigt för normalt fungerande näthinneceller.

Luxturna innehåller den aktiva substansen voretigen neparvovek och är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "genterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel som verkar genom att gener förs in i kroppen.

Nedärvd retinaldystrofi är sällsynt och Luxturna klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för två olika former av sjukdomen vid olika tillfällen (retinitis pigmentosa: den 28 juli 2015; Lebers medfödda amauros: den 2 april 2012). Mer information om klassificeringen som sär-läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Hur används Luxturna?

Luxturna är receptbelagt och behandling ska ges av en kirurg med erfarenhet av att utföra ögonkirurgi.

Luxturna ges som en enda injektion under näthinnan i botten av varje öga. Det andra ögat ska behandlas minst sex dagar efter det första. Patienterna ska börja få immunsuppressiva läkemedel (läkemedel som minskar aktiviteten hos immunsystemet, kroppens naturliga försvar) tre dagar innan Luxturna injiceras i det första ögat för att minska risken att läkemedlet stöts bort av kroppen. Denna behandling ska fortsätta 14 dagar efter injektionen.

För att få mer information om hur du använder Luxturna, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.



Hur verkar Luxturna?

Luxturna består av ett virus som innehåller normala kopior av genen *RPE65*. När Luxturna injiceras i ögat för viruset in i genen *RPE65* i näthinnecellerna, som då kan producera det enzym som saknas. Detta gör att cellerna i näthinna fungerar bättre och på så sätt saktas sjukdomsförloppet ned.

Den typ av virus som används i läkemedlet (adenoassocierat virus) orsakar inte sjukdom hos människor.

Vilka fördelar med Luxturna har visats i studierna?

Luxturna undersöktes i en huvudstudie med 31 patienter med nedärvd retinaldystrofi beroende på *RPE65*-mutationer. Huvudeffektåtgärden var hur bra patienterna klarade ett rörlighetstest där de skulle navigera efter en rutt med svängar och hinder vid olika ljusförhållanden. Patienterna ansågs ha klarat av testet om de klarade ruten inom tre minuter och inte gick in i mer än tre hinder.

Efter ett års behandling förbättrade de patienter som behandlats med Luxturna sitt resultat med 1,8 poäng medan de patienter som inte fick Luxturna förbättrade sitt resultat med 0,2 poäng. Detta innebär att de patienter som behandlades med Luxturna kunde röra sig bättre längs ruten. 13 av 21 patienter (62 procent) som behandlats med Luxturna klarade dessutom rörlighetstestet vid den lägsta ljusnivån på 1 lux (motsvarar förhållandena vid en dåligt upplyst gångbana på kvällen). Bland patienterna som inte behandlades med läkemedlet klarade ingen detta. Förbättringen av patienternas syn bibehölls under minst tre år.

Vilka är riskerna med Luxturna?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Luxturna (kan uppträda hos fler än 1 av 20 personer) är konjunktival hyperemi (ökad blodtillförsel till ögat som leder till rodnad i ögat), katarakt (grå starr, grumling av linsen i ögat) och ökat tryck i ögat. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Luxturna finns i bipacksedeln.

Luxturna får inte ges till patienter med ögoninfektion eller ögoninflammation. En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför är Luxturna godkänt i EU?

Luxturna har visat sig förbättra patienternas syn och förmåga att röra sig runt hinder, särskilt i svagt ljus, vilket förväntas förbättra deras livskvalitet. Detta ansågs vara en viktig klinisk fördel med tanke på att det saknas en godkänd behandling av denna progressiva och degenerativa sjukdom. Säkerheten för Luxturna ansågs vara godtagbar och biverkningarna hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten fann därför att fördelarna med Luxturna är större än riskerna och att Luxturna kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Luxturna?

För att garantera att Luxturna används på ett korrekt sätt och för att minimera riskerna i samband med läkemedlet och administreringen av det kommer företaget som marknadsför Luxturna att inrätta ett utbildningsprogram och utarbeta utbildningsmaterial för läkare och apotekspersonal som förväntas använda och hantera Luxturna. Luxturna kommer endast att finnas vid center där utbildningsprogrammet inrättats. Ett informationspaket till patienter och deras vårdare kommer också att tas fram.

Företaget ska dessutom under 15 år följa upp samtliga patienter som fått Luxturna i huvudstudien för att karaktärisera läkemedlets långsiktiga effekt och säkerhet och inrätta ett register för att samla in säkerhetsuppgifter på lång sikt från patienter som behandlats med Luxturna.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Luxturna har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Luxturna kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Luxturna utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Luxturna

Mer information om Luxturna finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.