

EMA/831439/2018  
EMEA/H/C/004451

## **Luxturna (*voretigene neparvovec*)**

Aperçu de Luxturna et pourquoi il est autorisé dans l'UE

### **Qu'est-ce que Luxturna et dans quel cas est-il utilisé?**

Luxturna est un médicament utilisé pour traiter les adultes et les enfants présentant une perte visuelle due à une dystrophie rétinienne héréditaire, un trouble génétique rare de la rétine (la membrane sensible à la lumière située à l'arrière de l'œil).

Luxturna ne peut être utilisé que si les patients présentent encore suffisamment de cellules fonctionnelles dans la rétine et lorsque la maladie est causée par des mutations (changements) dans le gène *RPE65*. Le gène *RPE65* est responsable de la production d'une enzyme appelée all-trans-rétinyl isomérase, qui est nécessaire au fonctionnement normal des cellules rétiniennes.

Luxturna contient la substance active *voretigene neparvovec* et est un type de médicament de thérapie innovante dénommé «produit de thérapie génique». Il s'agit d'un type de médicament qui agit en apportant des gènes dans l'organisme.

La dystrophie rétinienne héréditaire est rare et a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) pour deux formes de la maladie à différentes dates (pour la retinitis pigmentosa: le 28 juillet 2015; pour l'amaurose congénital de Leiber: le 2 avril 2012). De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées sur le site web de l'Agence européenne des médicaments: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations).

### **Comment Luxturna est-il utilisé?**

Luxturna n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être administré par un chirurgien expérimenté en chirurgie oculaire.

Luxturna est administré en une seule injection à l'arrière de l'œil, sous la rétine. Le deuxième œil doit être traité au moins 6 jours après le premier. Les patients devraient commencer à recevoir des médicaments immunosupresseurs (médicaments qui réduisent l'activité du système immunitaire, les défenses naturelles du corps) 3 jours avant que Luxturna soit injecté dans le premier œil, afin de réduire le risque de rejet du médicament par le corps, et ce traitement devrait se poursuivre pendant 14 jours après l'injection.



Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Luxturna, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

## **Comment Luxturna agit-il?**

Luxturna se compose d'un virus qui contient des copies normales du gène *RPE65*. Lorsque Luxturna est injecté dans l'œil, le virus transporte le gène *RPE65* dans les cellules rétiniennes et leur permet de produire l'enzyme manquante. Cela aide les cellules de la rétine à mieux fonctionner, ce qui ralentit la progression de la maladie.

Le type de virus utilisé dans ce médicament (virus adéno-associé) ne provoque pas de maladie chez l'homme.

## **Quels sont les bénéfices de Luxturna démontrés au cours des études?**

Luxturna a été étudié dans le cadre d'une étude principale portant sur 31 patients atteints de dystrophie rétinienne héréditaire due à des mutations *RPE65*. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le degré de réussite des patients à un test de mobilité, au cours duquel ils devaient suivre un itinéraire comportant des virages et des obstacles sous différentes conditions de luminosité. Il a été considéré que les patients avaient réussi l'épreuve s'ils terminaient le parcours dans les 3 minutes et s'ils ne se heurtaient pas à plus de 3 obstacles.

Après un an de traitement, les patients traités par Luxturna ont amélioré leurs notes de 1,8 point, tandis que les patients n'ayant pas reçu Luxturna ont amélioré leurs notes de 0,2 point, ce qui signifie que les patients traités avec Luxturna ont fait preuve d'une meilleure mobilité tout au long du parcours. En outre, 13 des 21 patients (62 %) traités par Luxturna ont réussi l'essai de mobilité au niveau de luminosité le plus bas de 1 lux (correspondant aux conditions d'un trottoir mal éclairé la nuit), alors qu'aucun des patients auxquels le médicament n'a pas été administré n'a été en mesure de le faire. L'amélioration de la vision des patients a été maintenue pendant au moins trois ans.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Luxturna?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Luxturna (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 20) sont l'hyperémie conjonctivale (augmentation de l'irrigation sanguine de l'œil entraînant une rougeur de l'œil), la cataracte (opacification du cristallin de l'œil) et une augmentation de la pression à l'intérieur de l'œil. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Luxturna, voir la notice.

Luxturna ne doit pas être utilisé chez les patients atteints d'infection ou d'inflammation oculaires. Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

## **Pourquoi Luxturna est-il autorisé dans l'UE?**

Il a été démontré que Luxturna améliore la vision et la capacité des patients à contourner des obstacles, en particulier sous un faible éclairage, et l'on s'attend à ce qu'il améliore leur qualité de vie. Il a été considéré qu'il s'agissait d'un bénéfice clinique important, compte tenu de l'absence de traitements autorisés pour cette affection évolutive et dégénérative. La sécurité de Luxturna a été jugée acceptable et ses effets indésirables gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Luxturna sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Luxturna?**

La société qui commercialise Luxturna mettra en place un programme éducatif et élaborera du matériel pédagogique destiné aux médecins et aux pharmaciens appelés à utiliser et à manipuler Luxturna, afin de garantir une utilisation correcte du médicament et de minimiser les risques associés au médicament et à son administration. Luxturna ne sera disponible que dans les centres où le programme pédagogique est en place. Un dossier d'information destiné aux patients et à leurs soignants sera également fourni.

En outre, la société devra assurer le suivi de tous les patients qui ont reçu Luxturna dans les études principales pendant 15 ans, afin de caractériser l'efficacité et la sécurité à long terme du médicament, et établir un registre pour collecter des données de sécurité à long terme chez les patients traités avec Luxturna.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Luxturna ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Luxturna sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Luxturna sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Luxturna:**

De plus amples informations sur Luxturna sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna).