

EMA/831441/2018
EMA/H/C/004451

Luxturna (*voretigén neparvovec*)

A Luxturna nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Luxturna és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Luxturna-t olyan felnőttek és gyermekek kezelésére alkalmazzák, akiknél a retina (a szem hátsó részében található fényérzékeny hártya) ritka, genetikai rendellenessége, az örökletes retinadisztrófia látásvesztést okoz.

A Luxturna csak abban az esetben alkalmazható, ha a beteg retinájában még van elég működő sejt és a betegséget az *RPE65* gén mutációja (módosulása) okozza. Az *RPE65* gén felel a retinasejtek megfelelő működéséhez szükséges all-transz retinil-izomeráz nevű enzim előállításáért.

A Luxturna hatóanyagként voretigén neparvovecet tartalmaz, és a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „génterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszertípus azáltal fejti ki hatását, hogy géneket juttat a szervezetbe.

Mivel az örökletes retinadisztrófia „ritkának” minősül, ezért a Luxturna-t a betegség két formája tekintetében különböző időpontokban (retinitisz pigmentóza: 2015. július 28.; Leber-féle amaurozis: 2012. április 2.) „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Hogyan kell alkalmazni a Luxturna-t?

A Luxturna csak receptre kapható, és a kezelést szemműtétek végzésében tapasztalt sebésznek kell végrehajtania.

A Luxturna-t egyetlen injekcióban kell a szemek hátsó részébe, a retina alá beadni. A második szemet az első szem után legalább 6 nappal lehet kezelni. A Luxturna első szembe való befecskendezése előtt három nappal a betegnek immunszuppresszív gyógyszereket (a szervezet természetes védekező rendszere, az immunrendszer aktivitását csökkentő gyógyszerek) kell adni, és ezt a kezelést az injekció beadása után 14 napig kell folytatni a gyógyszer szervezet általi kilökésének kockázata csökkentése érdekében.



További információért a Luxturna alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejtí ki hatását a Luxturna?

A Luxturna az *RPE65* gén hibátlan másolatait hordozó vírust tartalmaz. A Luxturna szembe fecskendezésekor a vírus az *RPE65* gént a retinasejtekbe juttatja, így azok képesek lesznek a hiányzó enzim előállítására. Ezáltal a retina sejtjei jobban működnek, lelassítva a betegség előrehaladását.

A gyógyszerben alkalmazott vírustípus (adeno-asszociált vírus) nem okoz emberi megbetegedést.

Milyen előnyei voltak a Luxturna alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Luxturna-t egy fő vizsgálatban tanulmányozták, 31, *RPE65*-mutáció okozta örökletes retinadisztrófiában szenvedő beteg bevonásával. A fő hatékonysági mutató a betegek mobilitási teszten elért eredménye volt. A betegeknek egy kanyarokkal és akadályokkal nehezített, különböző mértékben megvilágított úton kellett végighaladniuk. A betegek akkor teljesítették a tesztet sikeresen, ha 3 percen belül végighaladtak az úton úgy, hogy háromnál több akadályba nem ütköztek bele.

Egy év kezelés után a Luxturna-val kezelt betegek pontszáma 1,8 ponttal, a Luxturna-t nem kapó betegek pontszáma pedig 0,2 ponttal nőtt, ami azt jelenti, hogy a Luxturna-val kezelt betegek jobban tudtak haladni az úton. Emellett a Luxturna-val kezelt 21 beteg közül 13 (62%) a legalacsonyabb megvilágítási szint, 1 lux (hasonló egy járda éjszakai gyenge megvilágításához) mellett teljesítette sikeresen a tesztet, míg ez a gyógyszerrel nem kezelt betegek egyikének sem sikerült. A betegek látásjavulása legalább három évig fennmaradt.

Milyen kockázatokkal jár a Luxturna alkalmazása?

A Luxturna leggyakoribb mellékhatásai (20 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a konjunktivális hiperémia (megnövekedett véráramlás a szembe, ami a szem vörösségét okozza), szürke hályog (a szemlencse elszürkülése) és a megnövekedett szembelnyomás. A Luxturna alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Luxturna nem alkalmazható szemfertőzés vagy szemgyulladás fennállása esetén. A korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Luxturna forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Luxturna bizonyítottan javította a betegek látását és az akadályok kikerülésének képességét, gyéren megvilágított körülmények között is, így várhatóan javítani fogja a betegek életminőségét. Ezt jelentős klinikai előnynek tekintették, figyelemmel ezen progresszív, degeneratív betegség engedélyezett kezeléseinek hiányára. A Luxturna biztonságosságát elfogadhatónak, mellékhatásait kezelhetőnek ítélték. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Luxturna alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Luxturna biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Luxturna-t forgalmazó vállalat a gyógyszert várhatóan alkalmazó, illetve kiadó orvosok és gyógyszerészek számára oktatóprogramot és oktatóanyagokat fog összeállítani a gyógyszer megfelelő alkalmazásának biztosítása, és a gyógyszerrel, valamint annak alkalmazásával összefüggő kockázatok minimalizálása érdekében. A Luxturna csak olyan központokban lesz elérhető, ahol az oktatóprogram

rendelkezésre áll. A betegek és gondozók számára tájékoztató csomagot fognak rendelkezésre bocsátani.

Emellett a vállalatnak a fő vizsgálatokban Luxturna-val kezelt betegek állapotát 15 évig figyelemmel kell kísérnie a gyógyszer hosszú távú hatékonyságának és biztonságosságának jellemzése, valamint egy olyan nyilvántartás létrehozása érdekében, amelyben a Luxturna-val kezelt betegek hosszú távú biztonságossági adatait gyűjti.

A Luxturna biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Luxturna alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Luxturna alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meg hozzák.

A Luxturna-val kapcsolatos egyéb információ

További információ a Luxturna gyógyszerről az Ügynökség honlapján található:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.