



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831442/2018
EMA/H/C/004451

Luxturna (*voretigene neparvovec*)

Sintesi di Luxturna e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Luxturna e per cosa si usa?

Luxturna è un medicinale utilizzato per il trattamento di adulti e bambini con perdita della vista dovuta a distrofia ereditaria della retina, una rara patologia genetica della retina (la membrana sensibile alla luce situata nella parte posteriore dell'occhio).

Luxturna può essere utilizzato solo se i pazienti dispongono ancora di un numero sufficiente di cellule funzionali nella retina e quando la malattia è causata da mutazioni (cambiamenti) nel gene *RPE65*. Il gene *RPE65* è responsabile della produzione di un enzima denominato isomerasi all-trans-retinoica necessario per il normale funzionamento delle cellule retiniche.

Luxturna, che contiene il principio attivo voretigene neparvoec, è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato «prodotto di terapia genica», ossia un tipo di medicinale che agisce introducendo geni nell'organismo.

La distrofia ereditaria della retina è rara e Luxturna è stato definito come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per due forme della malattia in diverse date (retinite pigmentosa: 28 luglio 2015; amaurosi congenita di Leber: 2 aprile 2012). Maggiori informazioni sulla definizione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

Come si usa Luxturna?

Luxturna può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere erogato da un chirurgo esperto di operazioni agli occhi.

Luxturna è somministrato come un'unica iniezione nella parte posteriore di entrambi gli occhi, sotto la retina. Gli occhi devono essere trattati ad almeno 6 giorni di distanza l'uno dall'altro. I pazienti dovrebbero iniziare ad assumere medicinali immunosoppressivi (che riducono l'attività del sistema immunitario, ossia le difese naturali dell'organismo) 3 giorni prima dell'iniezione di Luxturna nel primo occhio, per ridurre il rischio di rigetto del medicinale da parte dell'organismo. Il trattamento deve continuare per 14 giorni dopo l'iniezione.



Per maggiori informazioni sull'uso di Luxturna, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Luxturna?

Luxturna è costituito da un virus che contiene copie normali del gene *RPE65*. Quando è iniettato nell'occhio, il virus conduce il gene *RPE65* nelle cellule della retina, rendendole in grado di produrre l'enzima mancante. Tale azione contribuisce a un migliore funzionamento delle cellule della retina, rallentando la progressione della malattia.

Il tipo di virus utilizzato nel medicinale (virus adeno-associato) non provoca malattie nell'uomo.

Quali benefici di Luxturna sono stati evidenziati negli studi?

Luxturna è stato esaminato in uno studio principale condotto su 31 pazienti affetti da distrofia ereditaria della retina dovuta alle mutazioni del gene *RPE65*. La principale misura dell'efficacia si basava sui risultati di un test di mobilità, nel quale i pazienti dovevano effettuare un percorso con curve e ostacoli in diverse condizioni di luce. La prova si riteneva superata se i pazienti completavano il percorso entro 3 minuti urtando non più di 3 ostacoli.

Dopo un anno di trattamento, i pazienti trattati con Luxturna avevano migliorato i propri risultati di 1.8 punti, mentre quelli che non avevano ricevuto Luxturna li avevano migliorati di 0.2 punti: tale dato indica che i pazienti trattati con Luxturna erano in grado di muoversi meglio lungo il percorso. Inoltre, 13 dei 21 pazienti (62 %) trattati con Luxturna hanno superato la prova di mobilità al livello di luminosità più basso, pari a 1 lux (simile alle condizioni di un marciapiede scarsamente illuminato, di notte), cosa che nessuno dei pazienti che non erano stati trattati con il medicinale era stato in grado di fare. Il miglioramento della vista dei pazienti è rimasto invariato per almeno tre anni.

Quali sono i rischi associati a Luxturna?

Gli effetti indesiderati più comuni di Luxturna (che possono riguardare più di 1 persona su 20) sono iperemia congiuntivale (aumento dell'afflusso di sangue all'occhio, con relativo arrossamento), cataratta (offuscamento del cristallino) e aumento della pressione all'interno dell'occhio. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Luxturna, vedere il foglio illustrativo.

Luxturna non deve essere utilizzato nei pazienti affetti da infezione o infiammazione oculare. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Luxturna è autorizzato nell'UE?

Essendosi dimostrato efficace nel migliorare la vista dei pazienti e la loro capacità di evitare gli ostacoli, soprattutto con poca luce, Luxturna dovrebbe migliorare la qualità di vita degli stessi. Tale azione è stata considerata un importante beneficio clinico, tenuto conto della mancanza di trattamenti autorizzati per questa patologia progressiva e degenerativa. La sicurezza di Luxturna è stata considerata accettabile e gli effetti indesiderati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Luxturna sono superiori ai rischi e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Luxturna?

La ditta che commercializza Luxturna istituirà un programma informativo e preparerà materiale didattico destinato ai medici e ai farmacisti che si prevede utilizzino e manipolino Luxturna, al fine di garantirne l'uso corretto e ridurre al minimo i rischi associati al medicinale e alla sua somministrazione. Luxturna sarà disponibile solo presso i centri in cui è disponibile il programma didattico. Sarà inoltre fornito un pacchetto informativo destinato ai pazienti e alle persone che li assistono.

Inoltre, la ditta dovrà seguire per 15 anni tutti i pazienti ai quali è stato somministrato Luxturna negli studi principali, al fine di caratterizzare l'efficacia e la sicurezza a lungo termine del medicinale e istituire un registro per raccogliere dati sulla sicurezza a lungo termine nei pazienti trattati con Luxturna.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Luxturna sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Luxturna sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Luxturna sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Luxturna

Ulteriori informazioni su Luxturna sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.