



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/831436/2018
EMEA/H/C/004451

Luxturna (*voretigene neparvovec*)

Información general sobre Luxturna y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Luxturna y para qué se utiliza?

Luxturna es un medicamento empleado para tratar a niños y adultos con pérdida de visión debido a una distrofia hereditaria de retina, una enfermedad genética rara de la retina (la membrana sensible a la luz en la parte posterior del ojo).

Luxturna solo puede utilizarse mientras los pacientes disponen de suficientes células retinianas funcionales y cuando la enfermedad está provocada por mutaciones (cambios) del gen *RPE65*. *RPE65* es responsable de la producción de una enzima denominada todo-trans-retinol isomerasa, necesaria para el normal funcionamiento de las células retinianas.

Luxturna contiene el principio activo voretigene neparvovec y es un medicamento de terapia avanzada denominado «producto de terapia génica». Se trata de un tipo de medicamento que actúa introduciendo genes en el organismo.

La distrofia hereditaria de retina es una enfermedad rara, y Luxturna fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) para dos formas de la enfermedad en varias fechas (retinitis pigmentosa: 28 de julio de 2015; amaurosis congénita de Leber: 2 de abril de 2012). Puede encontrar información adicional sobre las designaciones de medicamentos huérfanos en la página web de la Agencia Europea de Medicamentos ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations.

¿Cómo se usa Luxturna?

Luxturna solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarlo un cirujano experimentado en cirugía ocular.

Luxturna se administra en forma de inyección única en la parte posterior del ojo, bajo la retina. El segundo ojo debe ser tratado al menos 6 días después del primero. Los pacientes deben empezar a recibir medicamentos inmunosupresores (medicamentos que reducen la actividad del sistema inmunitario, las defensas naturales del organismo) 3 días antes de que se inyecte Luxturna en el



primer ojo, a fin de reducir el riesgo de rechazo del medicamento por el organismo, y este tratamiento debe continuar durante 14 días después de la inyección.

Para mayor información sobre el uso de Luxturna, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Luxturna?

Luxturna se compone de un virus que contiene copias normales del gen *RPE65*. Cuando se inyecta Luxturna en el ojo, el virus transporta el gen *RPE65* a las células retinianas y las habilita para producir la enzima que falta. Esto contribuye a mejorar el funcionamiento de las células de la retina, ralentizando la progresión de la enfermedad.

El tipo de virus utilizado en este medicamento (el virus adeno-asociado) no causa enfermedad en los seres humanos.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Luxturna en los estudios realizados?

Luxturna se investigó en un estudio principal en el que participaron 31 pacientes con distrofia hereditaria de retina debido a mutaciones de *RPE65*. El criterio principal de valoración de la eficacia fue el grado de rendimiento de los pacientes en una prueba de movilidad, en el que estaban obligados a navegar por una ruta con virajes y obstáculos en diferentes contextos lumínicos. Se consideró que los pacientes habían superado el ensayo si completaban la ruta en tres minutos y tropezaban en menos de tres obstáculos.

Al cabo de un año de tratamiento, los pacientes tratados con Luxturna mejoraron sus puntuaciones en 1.8 puntos, mientras que los pacientes a los que no se administró Luxturna mejoraron sus puntuaciones en 0.2 puntos, lo que significa que los pacientes tratados con Luxturna pudieron moverse mejor a lo largo de la ruta. Además, 13 de los 21 pacientes (62 %) tratados con Luxturna superaron la prueba de movilidad al nivel más lumínico más bajo de 1 lux (similar a las de una acera mal iluminada en condiciones nocturnas), mientras que ninguno de los pacientes a los que no se administró el medicamento pudo hacerlo. La mejora de la visión de los pacientes se mantuvo durante al menos tres años.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Luxturna?

Los efectos adversos más frecuentes de Luxturna (que pueden afectar a más de 1 de cada 20 personas) son la hiperemia conjuntival (aumento del aporte de sangre al ojo, lo que provoca el enrojecimiento), cataratas (opacidad del cristalino) y una presión creciente en el interior del ojo. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados con Luxturna, consultar el prospecto.

Luxturna no debe utilizarse en pacientes con infección o inflamación ocular. La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Luxturna en la UE?

Se ha demostrado que Luxturna mejora la visión y la capacidad de los pacientes para vadear obstáculos, especialmente en situaciones de penumbra, y se espera que mejore su calidad de vida. Esto se consideró un beneficio clínico importante, teniendo en cuenta la falta de tratamientos autorizados para esta enfermedad progresiva y degenerativa. La seguridad de Luxturna se consideró aceptable y los efectos secundarios controlables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Luxturna son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Luxturna?

La compañía que comercializa Luxturna establecerá un programa educativo y elaborará material educativo dirigido a médicos y farmacéuticos que vayan a utilizar y manejar Luxturna, con el fin de garantizar el uso correcto del medicamento y minimizar los riesgos asociados con el medicamento y su administración. Luxturna solo estará disponible en los centros donde esté implantado el programa educativo. También se facilitará un paquete informativo para los pacientes y sus cuidadores.

Además, la empresa tendrá que efectuar el seguimiento de todos los pacientes a los que se hubiera administrado Luxturna en los estudios principales durante 15 años, con el fin de caracterizar la eficacia y la seguridad a largo plazo del medicamento, y establecer un registro para recoger datos de seguridad a largo plazo en pacientes tratados con Luxturna.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Luxturna se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Luxturna se controlan permanentemente. Los efectos adversos notificados con Luxturna se evalúan cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otras informaciones sobre Luxturna:

Puede encontrar información adicional sobre Luxturna en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/luxturna.