

Public Summary SwissPAR vom 11.06.2020

Luxturna® (Wirkstoff: Voretigen Neparvovec)

Erstzulassung in der Schweiz: 14.02.2020

Gentherapeutisches Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern mit einer erblichen Netzhautdystrophie

Über das Arzneimittel

Luxturna ist ein gentherapeutisches Arzneimittel, das den Wirkstoff Voretigen Neparvovec enthält. Es wurde in der Schweiz am 14. Februar 2020 für die Behandlung von Erwachsenen und Kindern mit Sehverlust aufgrund einer erblichen Netzhautdystrophie zugelassen. Netzhautdystrophie ist eine seltene erblich bedingte Fehlbildung der

Netzhaut, die durch eine Veränderung des Gens RPE65 verursacht wird. Diese Genveränderung verhindert, dass der Körper ein Protein bildet, das für die Sehkraft notwendig ist. Die Verminderung dieses Proteins führt zum Verlust des Sehvermögens und letztendlich zur Erblindung.

Wirkung

Der Wirkstoff von Luxturna, Voretigen Neparvovec, ist ein modifiziertes Virus, das eine Kopie des RPE65-Gens enthält. Nach der Injektion von Luxturna (Spritze) in den hinteren Teil des Auges, transportiert das Virus dieses Gen in die Zellen der Netzhaut. Die Netzhaut ist die Zellschicht, die für die Licht-

erfassung zuständig ist. Das Gen ermöglicht der Netzhaut die Proteine zu bilden, die für das Sehen benötigt werden.

Das Virus, welches das Gen in die Zellen transportiert, verursacht beim Menschen keine Erkrankungen.

Anwendung

Luxturna kann nur angewendet werden, wenn in der Netzhaut der Patientinnen und Patienten noch genügend funktionsfähige Zellen vorhanden sind. Eine Behandlung mit Luxturna kommt nur dann in Frage, wenn ein Gentest bestätigt, dass der Sehverlust durch eine Veränderung des Gens RPE65 verursacht wird.

Luxturna wird mittels einer Spritze unter die Netzhaut verabreicht und darf nur an einer Universitätsklinik mit einem qualifizierten Behandlungszentrum von einem Augenarzt bzw. einer Augenärztin mit Erfahrung in der Durchführung von Augenoperationen durchgeführt werden. Die Behandlung er-

folgt unter Betäubung. Jedes Auge wird einzeln behandelt. Dazwischen muss ein Abstand von mindestens 6 Tagen liegen.

Eine langfristige, gründliche Nachuntersuchung durch spezialisierte Augenärzte bzw. Augenärztinnen ist unerlässlich.

Wirksamkeit

Die Wirksamkeit von Luxturna wurde insgesamt an 41 Patientinnen und Patienten untersucht, die alle an erblicher Netzhautdystrophie erkrankt sind. In der Hauptstudie nahmen 11 Erwachsene (36 %) und 20 Kinder über 4 Jahre (64 %) teil. Das Durchschnittsalter betrug 15 Jahre.

Um die Wirksamkeit von Luxturna in der Hauptstudie zu belegen, wurde das sogenannte funktionale Sehen gemessen. Dieses setzt sich aus der Sehschärfe, dem Gesichtsfeld sowie der Wahrnehmung und/oder Sehfähigkeit bei schwachem Licht zusammen. Für die Bewertung absolvierten die Studienteilnehmerinnen und -teilnehmer einen Mobilitätsparcours möglichst präzise

und in akzeptabler Geschwindigkeit mit unterschiedlichen Lichtverhältnissen.

Nach einjähriger Behandlung erzielten die mit Luxturna behandelten Patientinnen und Patienten einen höheren Wert als diejenigen, die Luxturna nicht erhielten. Das bedeutet, dass mit Luxturna behandelte Patientinnen und Patienten in der Lage waren, den Parcours präziser, schneller und bei geringeren Lichtverhältnissen zu absolvieren. Somit wurde mit der Behandlung von Luxturna eine Verbesserung des funktionalen Sehens erreicht. Diese Verbesserung wurde über einen Zeitraum von mindestens drei Jahren aufrechterhalten.

Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

Luxturna darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe sowie bei einer Infektion oder Entzündung im oder ums Auge nicht angewendet werden.

Die häufigsten unerwünschten Wirkungen im Zusammenhang mit der Behandlung mit Luxturna sind Bindehauthyperämie (erhöhte Versorgung des Auges mit Blut, die zu Augenrötungen führt), Katarakt (Trübung der Linse des Auges), erhöhter Augeninnendruck, Netzhaut einriss, Hornhautdellen, Makulaloch (Makulaforamen), Ablagerungen unterhalb der Netzhaut, Augenentzündung,

Augenreizung, Augenschmerz, Faltenbildung auf der Makulaoberfläche, Kopfschmerzen, Übelkeit.

Nach einer Injektion (Spritze) unter die Netzhaut können vorübergehend Sehstörungen auftreten.

Augeninfektionen können zu einem dauerhaften Rückgang der Sehschärfe führen.

Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Fachinformation sowie Patientinnen- und Patienteninformation aufgelistet.

Begründung des Zulassungsentscheids

Swissmedic kam aufgrund der verfügbaren Prüfungsergebnisse zum Schluss, dass das Nutzen-Risiko-Profil für das Arzneimittel Luxturna mit dem Wirkstoff Voretigen Neparvovec positiv ist. Der Mangel an Behandlungsmöglichkeiten für Patientinnen

und Patienten, die an erblicher Netzhautdystrophie erkrankt sind, spricht für eine Zulassung in der Schweiz. Auch die Verhinderung des Fortschreitens der Krankheit, selbst bei Patientinnen und Patienten mit fortgeschrittener Erkrankung, ist ein Vorteil.

Ob die Wirkung von Luxturna über viele Jahre aufrechterhalten und Blindheit langfristig verhindert werden kann, bleibt offen. Eine 15-jährige Nachbeobachtung der 41 Patientinnen und Patienten, die an der Studie für die Zulassung teilgenommen haben, ist im Gange. Eine weitere 5-jährige Studie zur

Sicherheit von Luxturna ist eine Bedingung für die Zulassung in der Schweiz.

Unter Berücksichtigung aller erwähnten Punkte hat Swissmedic das Arzneimittel Luxturna mit dem Wirkstoff Voretigen Neparvovec für die beschriebene Indikation für die Schweiz zugelassen.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal: [Fachinformation Luxturna®](#)

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patienteninformation Luxturna®](#)

Der Stand dieser Information entspricht dem oben erwähnten Datum. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Public Summary SwissPAR ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein.

Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirkung oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.