

Public Summary SwissPAR del 11.06.2020

Luxturna® (principio attivo: voretigene neparvovec)

Prima omologazione in Svizzera: 14.02.2020

Medicamento di terapia genica per il trattamento di adulti e bambini con una distrofia retinica ereditaria

Informazioni sul medicamento

Luxturna è un medicamento di terapia genica che contiene il principio attivo voretigene neparvovec. È stato omologato in Svizzera il 14 febbraio 2020 per il trattamento di adulti e bambini con perdita della vista dovuta a distrofia retinica ereditaria. La distrofia retinica è una rara malformazione

ereditaria della retina causata da una mutazione nel gene RPE65. Questa mutazione genetica impedisce all'organismo di produrre una proteina necessaria per la vista. La riduzione di questa proteina porta alla perdita della vista e conseguente cecità.

Effetti

Il principio attivo contenuto in Luxturna, voretigene neparvovec, è un virus modificato che contiene una copia del gene RPE65. Dopo l'iniezione di Luxturna (tramite siringa) nella parte posteriore dell'occhio, il virus rilascia questo gene nelle cellule della

retina. La retina è lo strato di cellule che percepisce la luce. Il gene consente alla retina di produrre le proteine necessarie per vedere.

Il virus utilizzato per rilasciare il gene non causa malattie nell'uomo.

Impiego

Luxturna può essere utilizzato solo se i pazienti dispongono ancora di un numero sufficiente di cellule funzionali nella retina. Il trattamento con Luxturna è possibile solo se un test genetico conferma che la perdita della vista è causata da una mutazione nel gene RPE65.

Luxturna viene iniettato sotto la retina con una siringa e deve essere somministrato da un oculista esperto in operazioni agli occhi

solamente presso un ospedale universitario dotato di un centro di trattamento qualificato. Il trattamento si svolge in anestesia e avviene separatamente per ogni occhio. Gli occhi devono essere trattati ad almeno 6 giorni di distanza l'uno dall'altro.

È essenziale effettuare delle visite di controllo accurate e a lungo termine da un oculista esperto.

Efficacia

L'efficacia di Luxturna è stata valutata su un totale di 41 pazienti affetti da distrofia retinica ereditaria. Lo studio principale ha coinvolto 11 adulti (36%) e 20 bambini di età superiore ai 4 anni (64%). L'età media era di 15 anni.

La cosiddetta visione funzionale è stata misurata nello studio principale per dimostrare l'efficacia di Luxturna. Questa è composta dall'acuità visiva, dal campo visivo e dalla capacità di percepire e/o vedere in penombra. È stata misurata inoltre la capacità dei parte-

cipanti di compiere un percorso con precisione e ad un ritmo ragionevole a diversi livelli di illuminazione ambientale.

Dopo un anno di trattamento, i pazienti trattati con Luxturna hanno raggiunto un punteggio più alto rispetto a quelli che non avevano ricevuto Luxturna. Questo dato indica che i pazienti trattati con Luxturna sono stati in grado di completare il percorso in modo più preciso, veloce e in condizioni di scarsa illuminazione. Pertanto, il trattamento con Luxturna ha migliorato la visione funzionale. Questo miglioramento è rimasto invariato per almeno tre anni.

Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

Luxturna non può essere somministrato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi delle sostanze ausiliarie o in caso di infezione o infiammazione intraoculare o perioculare.

Gli effetti indesiderati più comuni correlati al trattamento con Luxturna sono iperemia congiuntivale (aumento dell'afflusso di sangue all'occhio, con relativo arrossamento), cataratta (offuscamento del cristallino), aumento della pressione intraoculare, lacerazione retinica, dellen corneale, forame maculare, depositi sottoretinici, infiamma-

zione oculare, irritazione oculare, dolore oculare, corrugamento sulla superficie della macula, mal di testa, nausea.

Dopo un'iniezione sottoretinica (tramite siringa) possono verificarsi disturbi della vista transitori.

Le infezioni oculari possono portare a una diminuzione permanente dell'acuità visiva.

Tutte le precauzioni, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione professionale e nell'informazione destinata ai pazienti.

Motivazione della decisione di omologazione

Sulla base dei risultati degli esami, Swissmedic ha concluso che il profilo rischio-benefici del medicamento Luxturna contenente il principio attivo voretigene neparvovec è positivo. La mancanza di trattamenti per i pazienti affetti da distrofia retinica ereditaria fa propendere per l'omologazione in Svizzera. Un altro vantaggio è che il medicamento può impedire la progressione della malattia, anche in pazienti con malattia avanzata. Resta da vedere se l'efficacia di Luxturna possa essere mantenuta per molti anni e se la cecità possa essere prevenuta a

lungo termine. Sono in corso delle visite di follow-up, che avverranno per 15 anni, dei 41 pazienti che hanno partecipato allo studio per l'omologazione. Un altro studio di 5 anni sulla sicurezza di Luxturna è una condizione per l'omologazione in Svizzera.

Alla luce di tutti i punti menzionati, Swissmedic ha omologato il medicamento Luxturna contenente il principio attivo voretigene neparvovec per l'indicazione descritta per la Svizzera.

Maggiori informazioni sul medicamento

Informazione per gli operatori sanitari:

[Informazione professionale Luxturna®](#)

Informazione destinata ai pazienti

(foglietto illustrativo): [Informazione destinata ai pazienti Luxturna®](#)

Lo stato di queste informazioni corrisponde alla data summenzionata. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Public Summary SwissPAR.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie.

Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita che possa compromettere la qualità, l'effetto o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.