

Public Summary SwissPAR du 11.06.2020

Luxturna® (principe actif : voretigène néparvovec)

Première autorisation en Suisse : 14.02.2020

Médicament de thérapie génique destiné au traitement des adultes et des enfants atteints de dystrophie rétinienne héréditaire

À propos du médicament

Luxturna est un médicament de thérapie génique dont le principe actif est le voretigène néparvovec. Il a été autorisé en Suisse le 14 février 2020 pour le traitement des adultes et des enfants qui présentent une perte de vision due à une dystrophie rétinienne héréditaire. La dystrophie rétinienne

est une malformation héréditaire rare de la rétine due à une modification (mutation) du gène RPE65. Cette mutation empêche l'organisme de produire une protéine nécessaire à la vision. Une diminution du taux de cette protéine entraîne une perte de vision et, finalement, une cécité.

Action

Le voretigène néparvovec, principe actif de Luxturna, est un virus modifié qui contient une copie du gène RPE65. Après l'injection de Luxturna dans la partie postérieure de l'œil, le virus transporte ce gène dans les cellules de la rétine. La rétine est une couche de cellules responsable de la perception de la

lumière. Le gène permet à la rétine de produire les protéines nécessaires à la vision.

Le virus qui transporte le gène dans les cellules n'entraîne aucune maladie chez l'être humain.

Administration

Luxturna ne peut être utilisé que chez des patients qui présentent encore suffisamment de cellules rétinienne fonctionnelles. Un traitement par Luxturna ne peut être envisagé que lorsqu'un test génétique a confirmé que la perte de vision est due à une modification du gène RPE65.

Luxturna, qui est injecté à l'aide d'une seringue sous la rétine, doit uniquement être

administré par un ophtalmologue expérimenté en chirurgie de l'œil, dans un hôpital universitaire disposant d'un centre de traitement qualifié. Le traitement est administré sous anesthésie. Chaque œil est traité séparément. Un délai d'au moins six jours doit être respecté après le traitement du premier œil. Un suivi approfondi à long terme par un ophtalmologue spécialisé est indispensable.

Effacité

L'efficacité de Luxturna a été évaluée chez 41 patientes et patients qui présentaient tous une dystrophie rétinienne héréditaire. Au total, 11 adultes (36 %) et 20 enfants de plus de 4 ans (64 %) ont participé à l'étude principale. L'âge moyen des patients était de 15 ans.

Pour prouver l'efficacité de Luxturna dans l'étude principale, on a mesuré la vision fonctionnelle, qui englobe l'acuité visuelle, le champ visuel et la perception et/ou la capacité visuelle sous une lumière faible. Pour que ces paramètres puissent être évalués, les participants à l'étude ont réalisé, dans différentes conditions de luminosité, un parcours

de mobilité pendant lequel ils devaient être le plus précis possible et progresser à une vitesse acceptable.

Après un an de traitement, la valeur enregistrée chez les patients sous Luxturna était supérieure à celle obtenue chez les patients qui n'avaient pas reçu ce médicament. Cela signifie que les patients traités par Luxturna ont été capables de faire le parcours avec plus de précision, une plus grande rapidité et une luminosité plus faible. Le traitement par Luxturna a donc permis d'améliorer la vision fonctionnelle. Cette amélioration a été conservée pendant au moins trois ans.

Précautions, effets indésirables et risques

Luxturna ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients ainsi qu'en cas d'infection ou d'inflammation oculaire ou périoculaire.

Les effets indésirables les plus fréquemment rapportés en lien avec le traitement par Luxturna sont une hyperémie conjonctivale (augmentation de l'irrigation sanguine de l'œil qui entraîne une rougeur oculaire), une cataracte (opacification du cristallin), une élévation de la pression intraoculaire, une déchirure rétinienne, la formation d'ulcères cornéens, une perforation maculaire, la formation de dépôts sous la rétine, une inflammation de l'œil, une irritation de l'œil, des

douleurs oculaires, une formation de plis à la surface maculaire, des céphalées et des nausées.

Une injection sous la rétine peut être suivie de troubles passagers de la vision.

Les infections oculaires peuvent entraîner une diminution irréversible de l'acuité visuelle.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information professionnelle et dans l'information destinée aux patients.

Justification de la décision d'autorisation

Se fondant sur les résultats disponibles de l'examen, Swissmedic a conclu que le médicament Luxturna, dont le principe actif est le voretigène néparvovec, offre un rapport bénéfices/risques positif. Le manque d'options thérapeutiques pour les patients atteints de dystrophie rétinienne héréditaire plaide en faveur d'une autorisation en Suisse. Prévenir la progression de la maladie, y compris chez les patients dont la maladie est avancée, est

aussi un bénéfice. On ignore encore si les effets de Luxturna perdureront pendant de nombreuses années et si une cécité pourra être prévenue à long terme. Un suivi sur 15 ans des 41 patients qui ont participé à l'étude menée en vue de l'obtention de l'autorisation de mise sur le marché est en cours. La réalisation d'une nouvelle étude vi-

sant à évaluer la sécurité d'emploi de Luxturna sur cinq ans est une condition à l'autorisation en Suisse.

Swissmedic a autorisé le médicament Luxturna, dont le principe actif est le voretigène néparvovec, en Suisse dans l'indication décrite en prenant en considération tous les points susmentionnés.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Luxturna®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [information destinée aux patients de Luxturna®](#)

La présente information a été mise à jour à la date susmentionnée. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le Public Summary SwissPAR.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité.

De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'action ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.