

COMUNICAT DE PRESĂ

Agencia Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale prezintă în cele ce urmează traducerea în limba română a comunicatului de presă al Agenției Europene a Medicamentului (European Medicines Agency = EMA) referitor la emiterea recomandării de autorizare a medicamentului Luxturna, o nouă terapie genică pentru tratarea unei tulburări rare care produce pierderea vederii, medicament de primă opțiune în cazul distrofiei ereditare de retină cu mutații ale genei RPE65

EMA, 21 septembrie 2018

Comunicat de presă EMA referitor la emiterea recomandării de autorizare a medicamentului Luxturna, o nouă terapie genică pentru tratarea unei tulburări rare care produce pierderea vederii, medicament de primă opțiune în cazul distrofiei retiniene ereditare cu mutații ale genei RPE65

Comitetul pentru medicamente de uz uman (Committee for Medicinal Products for Human Use =CHMP) al Agenției Europene a Medicamentului recomandă autorizarea pentru punere pe piață a medicamentului Luxturna (voretigene neparvovec) pentru terapie genică, indicat în tratarea pacienților adulți, adolescenți și copii diagnosticați cu distrofie retiniană ereditară cu mutații ale genei RPE65, o tulburare genetică rară, care produce pierderi de vedere și determină, de obicei, apariția orbirii.

Mutațiile genei RPE65, care codifică una dintre enzimele implicate în biochimia captării luminii la nivelul celulelor retinei, afectează capacitatea pacientului de detectare a luminii. Aceasta este o boală severă și debilitantă, caracterizată de pierderea progresivă a vederii, majoritatea pacienților urmând să orbească în primii ani de maturitate. În prezent, pentru această boală nu există tratament, iar sprijinul pentru pacienți se limitează la măsuri de abordare terapeutică a bolii, precum dispozitive ajutătoare pentru acuitate vizuală scăzută.

Medicamentul Luxturna este indicat pacienților cu mutații bialelice confirmate ale genei RPE65 (pacienți care au moștenit mutația de la ambii părinți) și care dispun de suficiente celule retiniene viabile. Aceasta este prima terapie a unei boli retiniene, recomandată spre autorizare. Acțiunea medicamentului Luxturna constă din administrarea unei gene funcționale RPE65 în celulele retinei, prin intermediul unei singure injecții retiniene, restabilindu-se astfel calea de producere a enzimei necesare, ca urmare îmbunătățindu-se capacitatea pacientului de detectare a luminii.

Medicamentul Luxturna a fost evaluat la 41 de pacienți, în cadrul studiului clinic principal efectuat pentru susținerea autorizării, pacienții tratați prezentând după un an o îmbunătățire semnificativă a vederii pe timp de noapte, a cărei afectare este unul dintre simptomele tipice ale bolii, în timp ce la grupul martor nu s-a înregistrat nicio îmbunătățire. Cele mai frecvente reacții adverse au fost hiperemia conjunctivală (înroșirea ochiului), cataracta și creșterea presiunii intraoculare.

Având în vedere noutatea tratamentului și numărul limitat de pacienți tratați, CHMP solicită companiei să asigure monitorizarea pe termen lung a pacienților, astfel încât eficacitatea și siguranța medicamentului Luxturna să poată fi în continuare confirmate. S-a convenit desfășurarea unor studii de urmărire, inclusiv a unui studiu de siguranță post-autorizare (PASS) bazat pe un registru al bolii la pacienții cu pierderi de vedere determinate de distrofia retiniană ereditară cauzată de mutații bialelice confirmate ale genei RPE65, și a unui program de urmărire pe o perioadă de 15 ani a rezultatelor în domeniul eficacității și siguranței la toți pacienții tratați în programul clinic.

Opinia CHMP se bazează pe evaluarea efectuată de experții din cadrul Comitetului EMA pentru terapii avansate (Committee for Advanced Therapies =CAT). Medicamentul Luxturna a fost desemnat medicament orfan și medicament pentru terapie avansată, în timpul dezvoltării medicamentului solicitantul beneficiind de asistența EMA în materie de protocol.

Opinia adoptată de CHMP privitoare la medicamentul Luxturna constituie o etapă intermediară în procesul de punere a acestuia la dispoziția pacientului. În momentul de față, această opinie urmează a fi trimisă către Comisia Europeană în vederea adoptării unei decizii privind acordarea autorizației de punere pe piață valabile în întreaga UE. Odată acordată această autorizație, la nivelul fiecărui stat membru se vor lua deciziile privind prețul și rambursarea, pe baza rolului potențial/utilizării medicamentului în contextul sistemului național de sănătate al țării respective.

Note:

Solicitantul de autorizare pentru punerea pe piață a medicamentului Luxturna este compania Spark Therapeutics Ireland Ltd.

Conform procedurii la momentul aprobării, Comitetul EMA pentru medicamente orfane (Committee for Orphan Medicinal Products =COMP) își va re-analiza decizia de desemnare a acestui medicament ca orfan, stabilind astfel dacă informațiile de până acum permit menținerea statutului de orfan al medicamentului Luxturna și acordarea perioadei de 10 ani de exclusivitate pe piață pentru acest medicament.