

Robíte Vaším pacientom genetické vyšetrenie?



Dedičné retinálne dystrofie sú skupinou vzácnych ochorení sietnice, ktoré sú spojené s mutáciami vo viac ako 260 génoch.^{2,3}

SKRÁTENÁ INFORMÁCIA O LIEKU

Luxturna 5 x 10¹² vektorových genómov/ml koncentrát a rozpúšťadlo na injekčný roztok

▼ Tento liek je predmetom ďalšieho monitorovania.

PREZENTÁCIA: Voretigén neparvovek je vektor na prenos génu, ktorý využíva kapsid adeno-asociovaného vírusového vektora sérotypu 2 (AAV2) ako nosič cDNA kódujúcej ľudský 65 kDa proteín (hRPE65) retinálneho pigmentového epitelu do sietnice. Každý ml koncentráta obsahuje 5 x 10¹² vektorových genómov (vg).

Každá jednorazová injekčná liekovačka s 2 ml dávkou Luxturny obsahuje 0,5 ml extrahovateľného koncentráta, ktorý pred podaním vyžaduje riedenie v pomere 1:10. Po zriedení každá dávka Luxturny obsahuje 1,5 x 10¹¹ vg v podávanom objeme 0,3 ml. **TERAPEUTICKÉ INDIKÁCIE:** Luxturna je indikovaná na liečbu dospelým a deťom so stratou zraku v dôsledku dedičnej retinálnej dystrofie spôsobenej potvrdenými bielelickými mutáciami *RPE65*, u ktorých sa nachádzajú dostatočne životaschopné retinálne bunky.

DÁVKOVANIE A SPÔSOB PODÁVANIA: **Spôsob podávania:** Subretinálne použitie. Luxturna je sterilný roztok koncentráta na subretinálnu injekciu, ktorý pred podaním vyžaduje rozmrazenie a riedenie. Luxturna je jednorazová injekčná liekovačka, iba na jedno podanie a do jedného oka. Liek sa podáva po vitrektómii ako subretinálna injekcia do každého oka. Tento liek obsahuje geneticky modifikované organizmy. Počas prípravy alebo podávania voretigén neparvoveku je potrebné používať osobné ochranné prostriedky. Je potrebné dodržiavať pokyny na prípravu, opatrenia pri náhodnej expozícii a likvidácii lieku. **Dávkovanie:** Liečbu má začať a podávať retinálny chirurg so skúsenosťami s operáciami makuly. Pacientom bude podaná jedna dávka 1,5 x 10¹¹ vg voretigén neparvoveku do každého oka. Každá dávka bude podaná do subretinálneho priestoru v celkovom objeme 0,3 ml. Liek sa podáva do každého oka samostatne v rôznych dňoch v krátkom intervale, nie kratšom ako 6 dní. Odporúča sa, aby sa 3 dni pred podaním Luxturny začalo s imunomodulačnou liečbou podľa harmonogramu v SPC. Úprava dávkovania u starších pacientov však nie je potrebná. U pacientov s poruchou funkcie pečene a obličiek a u pediatrických pacientov nie je potrebná žiadna úprava dávkovania. **KONTRAINDIKÁCIE:** Precitlivosť na liečivo alebo na ktorúkoľvek z pomocných látok, očná alebo perikulárna infekcia a aktívny vnútročný zápal.

OSOBITNÉ UPOZORNENIA A OPATRENIA PRI POUŽÍVANÍ: Na prípravu a podávanie Luxturny sa majú vždy použiť vhodné aseptické postupy. Pacientov je potrebné poučiť, aby bezodkladne hlásili akékoľvek symptómy pripomínajúce endoftalmitídu alebo odlúčenie sietnice a má im byť podaná vhodná liečba. Vnútročný tlak sa má sledovať pred aj po podaní lieku a má sa vhodne liečiť. Pacienti majú byť poučení, aby sa vyhýbali cestovaniu lietadlom alebo inému cestovaniu vo výškach dovtedy, kým sa vzduchová bublina, ktorá sa vytvorila ako následok podania Luxturny, úplne z oka vytratí. Rýchly nárast výšky v čase, keď je ešte vzduchová bublina prítomná, môže spôsobiť zvýšenie očného tlaku a nezvratnú stratu videnia. V priebehu týždňov po liečbe sa môžu vyskytnúť dočasné poruchy videnia, ako napríklad rozmazané videnie a fotofóbia. Pacienti majú byť poučení, aby sa v prípade pretrvávania zrakových porúch obrátili na svojho lekára. Pacienti sa majú vyhýbať plávaniu kvôli zvýšenému riziku infekcie v oku a tiež namáhavej fyzickej aktivite kvôli zvýšenému riziku poranenia oka. **Vylučovanie vektora (shedding):** V slzách pacienta sa môže vyskytnúť prechodné vylučovanie nízkej hladiny vektora. Pacienti/opatrovatelia majú byť poučení o správnej manipulácii s odpadovým materiálom. Preventívne opatrenia na manipuláciu sa majú dodržiavať 14 dní po podaní. Pacienti liečení Luxturnou nesmú darovať krv, orgány, tkanivá ani bunky na transplantáciu. **Imunogenita:** Na zníženie možnej imunogenity sa majú pacientom podať systémové kortikosteroidy pred a po subretinálnej injekcii voretigén neparvoveku do každého oka. Tento liek obsahuje menej ako 1 mmol sodíka (23 mg) v jednej dávke. Ako preventívne opatrenie je vhodnejšie vyhnúť sa používaniu voretigén neparvoveka počas gravidity. Rozhodnutie, či ukončiť dočinenie alebo ukončiť/prerušiť liečbu voretigén neparvovekom sa má urobiť po zvážení prínosu dočinenia pre dieťa a prínosu liečby pre ženu. Voretigén neparvovek mal malý vplyv na schopnosť viesť vozidlá a obsluhovať stroje. U pacientov sa po podaní subretinálnej injekcie Luxturny môžu vyskytnúť dočasné poruchy videnia. **INTERAKCIE:** Nie sú známe žiadne klinicky významné interakcie. Neuskutočnili sa žiadne interakčné štúdie. **NEŽIADUCÉ ÚČINKY:** Veľmi časté: hyperémia spojovky, katarakta, zvýšený vnútročný tlak. Časté: retinálne usadeniny, úzkosť, bolesť hlavy, závrat, trhlina v sietnici, stenčenie rohovky dellen, makulárna diera, zápal oka, podráždenie oka, bolesť oka, makulopatia, choroidálne krvácanie, spojovková cysta, porucha oka, opuch oka, pocit cudzieho telesa v očiach, degenerácia makuly, endoftalmitída, odlúčenie sietnice, porucha sietnice, retinálne krvácanie, nauzea, vracanie, bolesť v hornej časti brucha, bolesť pery, vyrážka, opuch tváre, inverzia T vlny EKG, komplikácie pri endotracheálnej intubácii, dehiscencia rany. Pre úplné informácie o bezpečnostnom profile si preštudujte SPC. **VEĽKOSŤ BALENIA:** hliníkový váčik v ktorom sa nachádza škatuľa obsahujúca 1 injekčnú liekovačku koncentráta a 2 injekčné liekovačky rozpúšťadla. **REGISTRAČNÉ ČÍSLO:** EU/1/18/1331/001 **DÁTUM REVÍZIE TEXTU:** 12/2020

POZNÁMKA: Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Pred predpísaním lieku si prečítajte súhrn charakteristických vlastností lieku, ktorý získate na doleuvedenej adrese: Novartis Slovakia s.r.o., Žižkova 22B, 811 02 Bratislava, Tel.: +421 2 5070 6111, www.novartis.sk