



# **Písomná informácia pre používateľa**

## **Informácia pre pacienta**

**PIL je súčasťou distribúcie Luxturna RMP EM ver. 1.5**

**RMP-Risk Management Plan/ Plán riadenia rizík,  
EM-Edukačný materiál,  
ŠÚKL - Štátny ústav pre kontrolu liečiv**

SK2201318169

# Písomná informácia pre používateľa

## Luxturna® 5 x 10<sup>12</sup> vektorových genómov/ml koncentrát a rozpúšťadlo na injekčný roztok voretigén neparvovek

▼ Tento liek je predmetom ďalšieho monitorovania. To umožní rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti. Môžete prispieť tým, že nahlásite akékoľvek vedľajšie účinky, ak sa u vás vyskytnú. Informácie o tom, ako hlásiť vedľajšie účinky, nájdete na konci časti 4.

**Pozorne si prečítajte celú písomnú informáciu predtým, ako vám podajú tento liek, pretože obsahuje pre vás dôležité informácie.**

- Túto písomnú informáciu si uschovajte. Možno bude potrebné, aby ste si ju znovu prečítali.
- Ak máte akékoľvek ďalšie otázky, obráťte sa na svojho lekára alebo zdravotnú sestru.
- Ak sa u vás vyskytne akýkoľvek vedľajší účinok, obráťte sa na svojho lekára alebo zdravotnú sestru. To sa týka aj akýchkoľvek vedľajších účinkov, ktoré nie sú uvedené v tejto písomnej informácii. Pozri časť 4.

### V tejto písomnej informácii sa dozviete:

1. Čo je Luxturna a na čo sa používa
2. Čo potrebujete vedieť predtým, ako vám podajú Luxturnu
3. Ako sa podáva Luxturna
4. Možné vedľajšie účinky
5. Ako uchovávať Luxturnu
6. Obsah balenia a ďalšie informácie

## 1. Čo je Luxturna a na čo sa používa

Luxturna je liek na génovú terapiu, ktorý obsahuje liečivo voretigén neparvovek.

Luxturna sa používa na liečbu dospelých a detí so stratou zraku, ako následkom vrodenej retinálnej dystrofie, spôsobenej mutáciami génu *RPE65*. Tieto mutácie bránia telu vytvárať bielkovinu potrebnú pre zrak, a tak vedú k strate zraku a prípadnej slepote.

Liečivo v Luxturne, voretigén neparvovek, je modifikovaný vírus, ktorý obsahuje kópiu génu *RPE65*. Po podaní injekcie doručí tento gén do buniek v sietnici, vrstvy v zadnej časti oka, ktorá detekuje svetlo. Toto umožňuje sietnici produkovať bielkoviny potrebné pre zrak. Vírus, ktorý dodáva tento gén, nespôsobuje u ľudí ochorenie.

Luxturnu dostanete iba vtedy, ak genetické vyšetrenie preukáže, že strata vášho zraku je spôsobená mutáciami v géne *RPE65*.

## 2. Čo potrebujete vedieť predtým, ako vám podajú Luxturnu Nepoužívajte Luxturnu

- ak ste alergický na voretigén neparvovek alebo na ktorúkoľvek z ďalších zložiek tohto lieku (uvedených v časti 6)
- ak máte očnú infekciu
- ak máte zápal oka

Ak sa vás čokoľvek z vyššie uvedeného týka alebo ak si nie ste istí niektorým z vyššie uvedených faktov, porozprávajte sa so svojim lekárom predtým ako vám podajú Luxturnu.

### Upozornenia a opatrenia

Predtým, ako vám podajú Luxturnu:

- Povedzte svojmu lekárovi, ak máte prejavy očnej infekcie alebo zápal v oku, napríklad ak máte začervenané oko, ste citlivý na svetlo, máte opuchnuté oko alebo bolesť v oku.
- Povedzte svojmu lekárovi, ak máte aktívnu infekciu akéhokoľvek druhu. Lekár môže vašu liečbu odložiť dovtedy, kým sa infekcia nevylieči, pretože tento liek môže liečbu infekcie sťažiť. Pozrite tiež časť 3.

Po podaní Luxturny:

- Ak vám oko alebo oči sčervenajú, objaví sa bolesť, budete citliví na svetlo, budete v zornom poli vidieť záblesky či tmavé škvrny alebo ak spozorujete akékoľvek zhoršenie zraku alebo zahmlené videnie, okamžite sa obráťte na svojho lekára.
- Vyhýbajte sa cestovaniu lietadlom alebo iným druhom dopravy vo veľkých výškach dovtedy, kým vám to váš lekár neodporučí. Počas liečby týmto liekom, vám lekár do oka vstrečne vzduchovú bublinu, ktorú bude vaše telo pomaly absorbovať. Dovtedy, kým sa bublina úplne neabsorbuje, môže letecká doprava alebo iný druh dopravy vo veľkých výškach spôsobiť zväčšenie bubliny a viesť k poškodeniu oka, vrátane straty zraku. Pred cestovaním sa porozprávajte so svojim lekárom.
- Vyhýbajte sa plávaniu, kvôli zvýšenému riziku očnej infekcie. Ak sa po liečbe Luxturnou budete chystať plávať, porozprávajte sa predtým so svojim lekárom.
- Vyhýbajte sa namáhavej fyzickej aktivite, kvôli zvýšenému riziku poranenia oka. Predtým, ako po podaní Luxturny začnete vykonávať namáhavú fyzickú aktivitu, porozprávajte sa so svojim lekárom.
- U niektorých ľudí vznikne katarakta. Katarakta je zakalenie prirodzenej šošovky vo vnútri oka, čo môže viesť k postupnému zhoršovaniu zraku. Vznik alebo zhoršenie katarakty je známa komplikácia pri operácii oka, ktorú je nutné vykonať pred podaním Luxturny. Ďalším rizikom katarakty je poškodenie šošovky vo vnútri oka ihlou, použitou pri podaní injekcie lieku do zadnej časti oka.
- Môžete mať dočasné poruchy zraku, ako napríklad citlivosť na svetlo a zahmlené videnie. Informujte svojho lekára o akýchkoľvek poruchách videnia, ktoré sa u vás vyskytnú. Lekár vám môže pomôcť zmierniť vaše obtiaže, spôsobené týmito dočasnými poruchami.
- Malé množstvo lieku môže byť prítomné vo vašich slzách. Vy a váš/vaša opatrovatel/-ka musíte pred likvidáciou všetky použité obvazy a odpadový materiál so slzami a nosovými sekrétmi odkladať do hermeticky uzavretých vriec. Tieto preventívne opatrenia dodržiavajte 14 dní.
- Vy aj váš/vaša opatrovatel/-ka, hlavne ak je tehotná, dojčí alebo má oslabený imunitný systém, musíte počas výmeny obväzov a pri likvidácii obväzov a iného obväzového materiálu používať rukavice. Dodržiavajte tieto preventívne opatrenia počas 14 dní po liečbe.
- Po liečbe Luxturnou nebudete môcť darovať krv, orgány, tkanivá ani bunky na transplantáciu.

### **Deti a dospelajúci**

Luxturna nebola skúmaná u detí vo veku do štyroch rokov.

### **Iné lieky a Luxturna**

Ak teraz užívate alebo ste v poslednom čase užívali, či práve budete užívať ďalšie lieky, povedzte to svojmu lekárovi.

### **Tehotenstvo, dojčenie a plodnosť**

Ak ste tehotná alebo dojčíte, ak si myslíte, že ste tehotná alebo ak plánujete otehotnieť, poraďte sa so svojim lekárom alebo zdravotnou sestrou predtým, ako začnete byť liečená Luxturnou.

Účinky tohto lieku na tehotenstvo a ešte nenarodené dieťa nie sú doteraz známe. Ako preventívne opatrenie, Luxturna vám nesmie byť podaná, ak ste tehotná.

Luxturna nebola skúmaná u dojčiacich žien. Nie je známe, či prechádza do materského mlieka. Opýtajte sa svojho lekára, či máte prestať dojčiť po podaní Luxturny.

Nie sú dostupné žiadne informácie o účinku Luxturny na plodnosť mužov a žien.

### **Vedenie vozidiel a obsluha strojov**

Po podaní Luxturny môžete mať dočasné poruchy videnia. Nevedzte vozidlá ani neobsluhujte ťažké stroje dovtedy, kým sa váš zrak nezlepší. Pred opakovaným vykonávaním týchto aktivít sa poraďte so svojim lekárom.

### **Luxturna obsahuje sodík**

Luxturna obsahuje menej ako 1 mmol sodíka (23 mg) v jednej dávke, t.j. v podstate zanedbateľné množstvo sodíka.

### 3. Ako sa podáva Luxturna

Luxturnu vám podá chirurg so skúsenosťami s vykonávaním operácií oka na operačnej sále.

Luxturna sa podáva s anestéziou. Lekár vám vysvetlí, čo je anestézia a ako vám bude podaná.

Váš lekár vykoná operáciu oka na odstránenie priehľadného gélu vo vnútri oka a potom vám podá injekciu s Luxturnou priamo pod sietnicu, tenkú svetlo-citlivú vrstvu v zadnej časti oka. Tento zákrok sa zopakuje aj na vašom druhom oku najmenej 6 dní po prvom zákroku. Niekoľko hodín po každom zákroku budete musieť zostať v nemocnici kvôli pooperačnému pozorovaniu, aby sa mohlo sledovať vaše zotavovanie a pozorovať všetky prípadné nežiaduce účinky súvisiace s operáciou alebo anestéziou.

Pred začatím liečby Luxturnou vám lekár môže predpísať liek, ktorý oslabí váš imunitný systém (obranný systém vášho tela) tak, že sa nebude pokúšať bojovať s Luxturnou, keď vám bude podaná. Je dôležité, aby ste tento liek užívali podľa poskytnutých pokynov. Neprestávajte užívať tento liek bez toho, aby ste sa najprv porozprávali so svojim lekárom.

#### Ak užijete viac Luxturny, ako máte

Keďže vám tento liek bude podávať lekár, je nepravdepodobné, že vám bude aplikované väčšie množstvo. Ak sa tak stane, lekár bude liečiť príznaky podľa potreby. Ak máte nejaké ťažkosti s videním, obráťte sa na svojho lekára alebo zdravotnú sestru.

Ak máte akékoľvek ďalšie otázky týkajúce sa použitia tohto lieku, opýtajte sa svojho lekára alebo zdravotnej sestry.

### 4. Možné vedľajšie účinky

Tak ako všetky lieky, aj tento liek môže spôsobovať vedľajšie účinky, hoci sa neprejavia u každého.

Pri podávaní Luxturny sa môžu objaviť tieto vedľajšie účinky:

#### Časté (môžu postihovať menej ako 1 z 10 osôb)

- usadeniny pod sietnicou

Nasledujúce vedľajšie účinky sa môžu objaviť pri podávaní injekcie:

#### Veľmi časté (môžu postihovať viac ako 1 z 10 osôb)

- začervenanie oka
- katarakta (zakalenie šošovky)
- zvýšený tlak v oku

#### Časté (môžu postihovať menej ako 1 z 10 osôb)

- trhlina v sietnici
- bolesť oka
- opuch oka
- odlúčenie sietnice
- nevoľnosť (pocit na vracanie), vracanie, bolesť brucha, bolesť pery
- zmena elektrickej aktivity srdca
- bolesť hlavy, závrat
- vyrážka, opuch tváre
- úzkosť
- ťažkosti súvisiace so zavedením dýchacej hadičky do priedušnice
- rozklad operačnej rany

#### Neznáme (z dostupných údajov)

- zakalenie gélovitej látky vo vnútri oka spôsobujúce škvrny v zornom poli (zákaly sklovca)
- (chorio)retinálna atrofia

Poškodenie tkanív oka môže byť sprevádzané krvácaním, opuchom a zvýšeným rizikom infekcie. V dňoch po operácii sa objavuje zhoršené videnie, ktoré sa obvykle zlepši; ak sa videnie neobnoví, povedzte to lekárovi.

#### Hlásenie vedľajších účinkov

Ak sa u vás vyskytne akýkoľvek vedľajší účinok, obráťte sa na svojho lekára alebo zdravotnú sestru. To sa týka aj akýchkoľvek vedľajších účinkov, ktoré nie sú uvedené v tejto písomnej informácii. Vedľajšie účinky môžete hlásiť aj priamo na Štátny ústav pre kontrolu liečiv, Sekcia klinického skúšania liekov a farmakovigilancie, Kvetná ul. 11, SK-825 08 Bratislava 26, Tel: + 421 2 507 01 206, e-mail: [neziaduce.ucinky@sukl.sk](mailto:neziaduce.ucinky@sukl.sk). Tlačivo na hlásenie nežiaduceho účinku je na webovej stránke [www.sukl.sk](http://www.sukl.sk) v časti Bezpečnosť liekov/Hlásenie o nežiaducich účinkoch. Formulár na elektronické podávanie hlásení: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>. Hlásením vedľajších účinkov môžete prispieť k získaniu ďalších informácií o bezpečnosti tohto lieku.

## 5. Ako uchovávať Luxturnu

Luxturna bude uchovávaná u lekára vo vašom zdravotníckom zariadení. Koncentrát a rozpúšťadlo sa musia uchovávať a prepravovať v mraze pri teplote  $\leq -65^{\circ}\text{C}$ . Po rozmrazení sa liek nemá opakovane zmraziť a má sa nechať pri izbovej teplote (neprevyšujúcej  $25^{\circ}\text{C}$ ). Neužívajte tento liek po dátume expirácie, ktorý je uvedený na označení obalu a škatuli po EXP.

## 6. Obsah balenia a ďalšie informácie

### Čo Luxturna obsahuje

- Liečivo je voretigén neparvovek. Každý ml koncentrátu obsahuje  $5 \times 10^{12}$  vektorových genómov (vg). Koncentrát (0,5 ml extrahovateľného objemu v 2 ml injekčnej liekovke na jednorazovú dávku) vyžaduje pred podaním riedenie v pomere 1:10.
- Každá dávka zriedeného roztoku obsahuje  $1,5 \times 10^{11}$  vektorových genómov voretigén neparvoveku v podávanom objeme 0,3 ml.
- Ďalšie zložky koncentrátu sú chlorid sodný (pozri záver časti 2), monohydrát dihydrogénfosforečnanu sodného (na úpravu pH), dihydrát hydrogénfosforečnanu sodného (na úpravu pH), poloxamér 188 a voda na injekcie.
- Rozpúšťadlo obsahuje chlorid sodný (pozri záver časti 2), monohydrát dihydrogénfosforečnanu sodného (na úpravu pH), dihydrát hydrogénfosforečnanu sodného (na úpravu pH), poloxamér 188 a vodu na injekcie.

### Ako vyzerá Luxturna a obsah balenia

Luxturna je číry, bezfarebný koncentrát na roztok na subretinálnu injekciu, dodávaný v priehľadnej plastovej injekčnej liekovke. Rozpúšťadlo je číra, bezfarebná tekutina dodávaná v priehľadnej plastovej injekčnej liekovke.

V každom hliníkovom váčiku sa nachádza škatuľa obsahujúca 1 injekčnú liekovku koncentrátu a 2 injekčné liekovky rozpúšťadla.

### Držiteľ rozhodnutia o registrácii

Novartis Europharm Limited  
Vista Building  
Elm Park, Merrion Road  
Dublin 4  
Írsko

### Výrobca

Novartis Pharma GmbH  
Roonstrasse 25  
90429 Norimberg  
Nemecko

Ak potrebujete akúkoľvek informáciu o tomto lieku, kontaktujte miestneho zástupcu držiteľa rozhodnutia o registrácii:

### Slovenská republika

Novartis Slovakia s.r.o.  
Tel: +421 2 5542 5439

**Táto písomná informácia bola naposledy aktualizovaná v novembri 2021.**

### Ďalšie zdroje informácií

Táto písomná informácia je dostupná ako zvukový záznam a aj vo formáte s veľkým písmom na webových stránkach: <http://www.voretigeneparvovec.support>.

Podrobné informácie o tomto lieku sú dostupné na internetovej stránke Európskej agentúry pre lieky <http://www.ema.europa.eu>.



