

Písomná informácia pre používateľa

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

ŠÚKL schválil dňa: 24. 1. 2024

Písomná informácia pre používateľa
Luxturna 5 × 10¹² 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 bude podaný 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 bude podaná Luxturna
3. Ako sa Luxturna podáva
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 vrodennej 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 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 bude podaná Luxturna

Luxturna vám nesmie byť podaná

- 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 začervenanie oka, 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.
- Vyhybajte 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 vstrekuje 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.
- Vyhybajte sa plávaniu, kvôli zvýšenému riziku očnej infekcie. Ak sa po liečbe Luxturnou budete chystať plávať, porozprávajte sa predtým so svojim lekárom.
- Vyhybajte sa namáhavej fyzickej aktivite, kvôli zvýšenému riziku poranenia oka. Predtým, ako po podaní Luxturny začnete vykonávať namáhavú fyzickú aktivitu, porozprávajte sa so svojim lekárom.

- 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 ťažšie, spôsobené týmito dočasnými poruchami.
- Liečivo v Luxturne sa môže dočasne vylučovať slzami. Vy a váš/vaša opatrovateľ/-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.
- Po liečbe Luxturnou možno nebudete môcť darovať krv, orgány, tkanivá ani bunky na transplantáciu.

Deti a dospievajúci

Luxturna nebola skúmaná u detí vo veku menej ako 4 roky. Údaje sú obmedzené.

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. Povedzte svojmu lekárovi, ak dojčíte alebo plánujete dojčiť. Váš lekár vám potom pomôže rozhodnúť sa, či prestanete dojčiť alebo nedostanete Luxturnu, vzhľadom na prínos dojčenia pre vaše dieťa a prínos Luxturny pre vás.

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

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

3. Ako sa Luxturna podáva

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 ostať 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 vás lekár môže požiadať užívať liek, ktorý oslabí váš imunitný systém (obraný 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. Neprestávajú užívať tento liek bez toho, aby ste sa najprv porozprávali so svojím lekárom.

Ak sa vám podá viac Luxturny, ako sa má

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
- krvácanie v zadnej časti oka
- bolesť alebo zvýšený nepríjemný pocit v oku
- rozmazané centrálné videnie v dôsledku diery v strede sietnice
- stenčenie povrchu oka (dellen)
- podráždenie oka
- zápal oka

- pocit cudzieho telieska v oku
- nepríjemný pocit v oku
- abnormality v zadnej časti oka
- 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 (zákalý 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 11, SK-825 08, Bratislava, Tel: + 421 2 507 01 206, e-mail: neziaduce.ucinky@sukl.sk

Tlačivo na hlásenie podozrenia na nežiaduci účinok lieku je na webovej stránke www.sukl.sk v časti Bezpečnosť liekov/Hlásenie podozrení na nežiaduce účinky liekov.

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°C).

Nepoužívajte 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 koncentráту obsahuje 5×10^{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 „Luxturna obsahuje sodík“ v časti 2 tejto písomnej informácie), 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.

Tento liek obsahuje geneticky modifikované organizmy.

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 vâčiku sa nachádza škatuľa obsahujúca 1 injekčnú liekovku s 0,5 ml koncentrátu a 2 injekčné liekovky rozpúšťadla (každá obsahujúca 1,7 ml).

Držiteľ rozhodnutia o registrácii

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

SK240236516

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 júli 2023.

Ďalšie zdroje informácií

Táto písomná informácia je dostupná ako zvukový záznam a aj vo formáte s veľkým písmom na webových stránkach: <https://www.voretigene-neparvovec.com/home>

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