

תנדון:
Luxturna, concentrate and solvent for solution for injection
לוקסטורנה, תמיסה מרוכזת וממס להכנת תמיסה להזרקה

אנו מבקשים להודיע על עדכון העלונים לרופא ולצרכן של התכשיר לוקסטורנה.
 התכשיר רשום בישראל להתוויה הבאה:

Luxturna is indicated for the treatment of adult and paediatric patients with vision loss due to inherited retinal dystrophy caused by confirmed biallelic RPE65 mutations and who have sufficient viable retinal cells.

המרכיב הפעיל: voretigene neparvovec.

להלן פירוט השינויים המהותיים בלבד (ללא שינויי נוסח, עריכה, אדמיניסטרציה וכד'):

בעלון לרופא:
4. Clinical particulars
Patient Alert Card

The marketing of Luxturna is subject to a risk management plan (RMP) including 'Patient Alert Card' and a patient information leaflet - both available in a large print **and audio format**. These materials emphasize important safety information that the patient should be aware of before and during treatment. Please explain to the patient the need to review these materials before starting treatment.

Healthcare Professional Guide

This product is marketed with Healthcare Professional Guides (**Pharmacy Manual for dose preparation of Luxturna and Surgical Manual for the administration of Luxturna**) providing important safety information. Please ensure you are familiar with ~~this material as it~~ **these materials as they** contains important safety information.

4.8 Undesirable effects

Table 2 Adverse reactions related to voretigene neparvovec

System organ class	Frequency	Adverse reaction
Eye disorders	<u>Not known</u>	<u>Chorioretinal atrophy*</u>
<u>*Includes retinal degeneration, retinal depigmentation and injection site atrophy</u>		

Description of select adverse reactions
Chorioretinal atrophy

Chorioretinal atrophy ~~was~~ **has been reported as an adverse reaction during post-marketing experience and** reported as progressive in some patients. Events were temporally related to treatment and occurred in the estimated treated area of the bleb site and outside of the bleb area.

~~Isolated cases of retinal atrophy extending to the fovea with visual impairment were reported.~~

Retinal atrophy may involve the fovea with possible negative effects on central vision.

Following reports of chorioretinal atrophy in the post-marketing setting, a retrospective review of fundus photographs available from 39 out of 41 patients enrolled in the clinical studies was performed.

In the phase 3 study, chorioretinal atrophy of the macula of treated eyes was found in 15.4% prior to treatment, in 42.6% at year 1 and in 55.6% after year 1. In the phase 1 study, chorioretinal atrophy of the macula was present in 35% prior to treatment, in 66.7% at year 1 and in 73.9% after year 1. Untreated control eyes showed the following rates of chorioretinal atrophy: 5.9% at baseline and 11.1% at year 1 in the phase 3 study; 40% at baseline, 42.9% at year 1 and 41.7% after year 1 in the phase 1 study.

Some of these atrophies involved the fovea. In the phase 3 study, there was involvement of the fovea in 1.9% of treated eyes prior to treatment, as well as at year 1, and in 5.6% after year 1. In the phase 1 study, the fovea was involved in 30% of treated eyes prior to treatment, in 38.9% at year 1 and in 47.8% after year 1. In the phase 3 study, atrophies in untreated control eyes did not involve the fovea. In the phase 1 study, 40% of atrophies in untreated control eyes involved the fovea at baseline, 42.9% at year 1 and 33.3% after year 1.

בעלון לצרכן:

בנוסף לעלון זה, לתכשיר לוקסטורנה קיימים עלון לצרכן המודפס בכתב מוגדל וכרטיס מידע בטיחותי **(בכתב רגיל ומוגדל) הזמינים גם כקובץ שמע. המכילים חומרים אלה מכילים** מידע בטיחותי חשוב שעליך לדעת לפני התחלת הטיפול ובמהלך הטיפול בלוקסטורנה ולפעול על פיהם. יש לעיין בכרטיס המידע ובעלון לצרכן בטרם תחילת השימוש בתכשיר. יש לשמור את הכרטיס **ולשמור אותם** לעיון נוסף במידת הצורך.

1. למה מיועדת התרופה
קבוצה תרפויטית: עדיין לא הוגדרה **תרופות לעיניים.**

4. תופעות לוואי
תופעות לוואי ששכיחותן אינה ידועה (תופעות ששכיחותן טרם נקבעה)
• **ניוון של הרשתית (או ניוון שכבת הדמית והרשתית)**

העלונים לרופא ולצרכן נשלחו למאגר התרופות שבאתר משרד הבריאות, וניתן לקבלם מודפסים על-ידי פניה לבעל הרישום.

בברכה,
נוברטיס ישראל בע"מ