



## VEILLE

Dénomination Commune Internationale :

**Voretigene neparvovec**

Nom commercial :

**LUXTURNA®**

**Médicament orphelin**

OMEDIT IDF 2021

Version : 3

Création : Janvier 2020  
Révision : [Septembre 2024](#)

*Médicament de thérapie innovante (MTI)*

*Médicament faisant l'objet d'un plan de gestion des risques, d'une [surveillance renforcée](#) ▼  
et de [mesures additionnelles de réduction du risque](#)*

**04/2012 : EMA/Désignation Médicament Orphelin (30/04/2012) :** traitement de l'amaurose congénitale de Leber

**08/2015 : EMA/Désignation Médicament Orphelin (11/08/2015) :** traitement de la rétinite pigmentaire

**10/2018 : ANSM/Octroi ATU de cohorte (début 19/10/2018)** dans le traitement des patients d'âge  $\leq 20$  ans, présentant une perte visuelle due à une dystrophie rétinienne héréditaire résultant de mutations bi-alléliques confirmées du gène RPE65 et possédant suffisamment de cellules rétinienne viables et ayant été diagnostiqués dans l'enfance comme atteints d'amaurose congénitale de Leber [CVORE01].

**11/2018 : EMA/AMM européenne** dans le traitement des patients adultes et des enfants présentant une perte visuelle due à une dystrophie rétinienne héréditaire résultant de mutations bi-alléliques confirmées du gène RPE65 et possédant suffisamment de cellules rétinienne viables (22/11/2018).

**12/2018 : HAS/[Avis du 19/12/2018](#)** relatif à l'identification d'alternatives thérapeutiques pour les médicaments ayant fait l'objet d'une ATUc. **Dans les indications AMM, n'ayant pas fait l'objet d'une ATUc :**

- Traitement des patients d'âge **> 20 ans**, présentant une perte visuelle due à une dystrophie rétinienne héréditaire résultant de mutations bi-alléliques confirmées du gène *RPE65* et possédant suffisamment de cellules rétinienne viables et ayant été diagnostiqués dans l'enfance comme atteints d'amaurose congénitale de Leber [CVORE03] → pas d'alternative disponible
- Traitement des patients pédiatriques et adultes, présentant une perte visuelle due à une dystrophie rétinienne héréditaire résultant de mutations bi-alléliques confirmées du gène *RPE65* et possédant suffisamment de cellules rétinienne viables **et autres que les patients ayant été diagnostiqués dans l'enfance comme atteints d'amaurose congénitale de Leber, à savoir les patients atteints de rétinite pigmentaire** [CVORE02] → pas d'alternative disponible.

**04/2019 : HAS/[Avis CT du 03/04/2019](#)** relatif à Luxturna dans l'indication AMM « traitement des patients adultes et des enfants présentant une perte visuelle due à une dystrophie rétinienne héréditaire résultant de mutations bi-alléliques confirmées du gène RPE65 et possédant suffisamment de cellules rétinienne viables »

- **SMR important, ASMR II (importante)**
- **Place dans la stratégie thérapeutique : 1<sup>ère</sup> intention**
- **Recommandations :** décision de mise sous traitement doit faire l'objet d'une RCP et reposer sur un faisceau d'examen, notamment pour déterminer le nombre de cellules rétinienne viables suffisant, comportant un test génétique, des examens d'imagerie (tomographie en cohérence optique, optique adaptative), électrorétinogramme et des examens psychophysiques tels que la pupillométrie, l'acuité visuelle, le champ visuel et le test de mobilité en ambiance lumineuse variable (MLMT).

**04/2019 : ANSM/Fin ATUc de LUXTURNA® (29/04/2019).**

**08/2021 : JO 06/08/2021** relatifs à

- **agrément aux collectivités, inscription sur la liste en sus, prix** de Luxturna® de l'indication AMM.
- **aux établissements autorisés à l'administration sous rétinienne de médicaments de thérapie génique indiqués dans le traitement de la dystrophie rétinienne héréditaire.**

**11/2021 : EMA/MAJ EPAR** relative à l'ajout de l'effet indésirable d'atrophie chorioretinienne (fréquence indéterminée)

**07/2023 : HAS/ [Avis CT du 19/07/2023](#)** (examen de modifications du RCP faisant suite à l'ajout de l'effet indésirable « atrophie (chorio)rétinienne » → La Commission prend acte de ces modifications qui ne sont pas de nature à modifier ses conclusions précédentes ([avis du 3 avril 2019](#)).

**07/2024 : HAS/ [Avis CT du 27/09/2024](#)** (réévaluation à la demande de la CT) → **SMR important, ASMR II (importante)**