



ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΑ ΕΝΩΣΗ ΑΜΦΙΒΛΗΣΤΡΟΕΙΔΟΠΑΘΩΝ (Π.Ε.Α.) HELLENIC RETINA SOCIETY (H.R.S.)

(εκφυλιστικών κληρονομικών παθήσεων του αμφιβληστροειδή
χιτώνα της ωχράς κηλίδας και του οπτικού νεύρου) Α.Φ.Μ.
099076529-ΔΟΥ ΚΑΛΛΙΘΕΑΣ

Υπ' αριθμ. 7/2016 διαταγή του Ειρηνοδικείου Καλλιθέας, περί τροποποίησης της αριθμ. 915/1989 απόφαση αναγνώρισης του Πρωτοδικείου Αθηνών, η οποία καταχωρήθηκε με αυξ. αριθ. 17295 στις 26/7/2016 στο βιβλίο Σωματείων του Πρωτοδικείου Αθηνών, εγκρίθηκε το νέο Καταστατικό της Πανελληνίας Ένωσης Αμφιβληστροειδοπαθών.

Ειδική πιστοποίηση της Π.Ε.Α. (ΝΠΙΔ-ΜΚΧ) , ως φορέα παροχής υπηρεσιών Κοινωνικής Φροντίδας σύμφωνα με την αρ. Δ23/6755/312 Υ.Α. (ΦΕΚ 870 τ Β'/16-3-2017) με ισχύγια4 έτη.

Αγώνας για την Πρόληψη της Τυφλότητας Ατενίζοντας το Μέλλον με Αισιοδοξία

ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΑ ΕΝΩΣΗ ΑΜΦΙΒΛΗΣΤΡΟΕΙΔΟΠΑΘΩΝ (Π.Ε.Α.) ΔΕΛΤΙΟ ΤΥΠΟΥ

Με αφορμή τον εορτασμό της Διεθνούς Εβδομάδας Αμφιβληστροειδούς 24-30 Σεπτεμβρίου 2018, η Π.Ε.Α. εκφράζει την αισιοδοξία και την θετική της ανταπόκριση, που σχετίζονται με σύγχρονες επιστημονικές εξελίξεις αναφορικά με τα αποτελέσματα έγκρισης της πρώτης γονιδιακής θεραπείας για κληρονομικές, εκφυλιστικές παθήσεις του αμφιβληστροειδή (Συγγενής Αμαύρωση Leber με μετάλλαξη RPE 65) σε ευρωπαϊκό επίπεδο.

Στο πλαίσιο αυτό παραθέτει το σχετικό δελτίο τύπου της Ευρωπαϊκής Αρχής Φαρμάκου, που ενέκρινε να προωθηθεί η σχετική γονιδιακή θεραπεία Luxturna ως ορφανό φάρμακο, δίνοντας την δυνατότητα κάλυψης αυτής για ασθενείς με την σχετική νόσο, από δημόσιους φορείς παροχής υπηρεσιών υγείας Ευρωπαϊκών Κρατών.

ΕΥΡΩΠΑΙΚΗ ΑΡΧΗ ΦΑΡΜΑΚΩΝ (EMA) ΔΕΛΤΙΟ ΤΥΠΟΥ 21/09/2018

Μία νέα γονιδιακή θεραπεία για μία σπάνια κληρονομική διαταραχή που προκαλεί απώλεια της όρασης, έχει κατατεθεί για έγκριση.

Το Luxturna είναι η πρώτη θεραπεία επιλογής για μία κληρονομική δυστροφία του αμφιβληστροειδή, που χαρακτηρίζεται από την μετάλλαξη του γονιδίου RPE65.

Η Ευρωπαϊκή Αρχή Φαρμάκων (EMA) μέσω της Επιτροπής Φαρμακευτικών Προϊόντων για ανθρώπινη χρήση (CHMP) έχει εισηγηθεί τη χορήγηση εξουσιοδότησης για προώθηση στην αγορά της γονιδιακής θεραπείας Luxturna (voretigene neparvovect), για την θεραπεία σε ενήλικες και σε παιδιά που πάσχουν από κληρονομική δυστροφία του αμφιβληστροειδή που προκαλείται από την μετάλλαξη του γονιδίου RPE65, μια σπάνια γενετική διαταραχή η οποία προκαλεί απώλεια της όρασης και συνήθως οδηγεί στην τύφλωση.

Οι μεταλλάξεις του γονιδίου RPE65, κωδικοποιούν ένα από τα ένζυμα που συμμετέχει στην βιοχημεία της δέσμευσης φωτός από τα κύτταρα του αμφιβληστροειδή, εμποδίζοντας την ικανότητα του ασθενούς προς την ανίχνευση φωτός. Είναι μια σοβαρή εξουθενωτική ασθένεια, που χαρακτηρίζεται από προοδευτική απώλεια της όρασης. Οι περισσότεροι ασθενείς θα έχουν τυφλωθεί από την νεαρή τους ηλικία. Δεν υπάρχει επί του παρόντος ίαση για αυτή την ασθένεια και η υποστήριξη των ασθενών περιορίζεται στη λήψη μέτρων για την διαχείριση της πάθησης όπως η χρήση βοηθημάτων χαμηλής όρασης.

Η θεραπεία Luxturna έχει σημασία για τους ασθενείς με επιβεβαιωμένες μεταλλάξεις του γονιδίου RPE65 (δηλαδή οι ασθενείς οποίοι έχουν κληρονομήσει τη μετάλλαξη και από τους δυο γονείς) και οι οποίοι έχουν αρκετά βιώσιμα αμφιβληστροειδικά κύτταρα. Είναι η πρώτη γονιδιακή που έχει συσταθεί προς έγκριση για τις παθήσεις του αμφιβληστροειδή .

Η θεραπεία Luxturna λειτουργεί διοχετεύοντας ένα λειτουργικό γονίδιο RPE65 μέσα σε κύτταρα του αμφιβληστροειδή χιτώνα διάμεσου μιάς απλής ένεσης σε αυτόν, η οποία αποκαθιστά ένα παραγωγικό μονοπάτι που απαιτείται, και επομένως βελτιώνει την ικανότητα του ασθενή να αντιληφθεί το φώς.

Η Luxturna μελετήθηκε σε 41 ασθενείς. Στη βασική κλινική δοκιμή, με την οποία υποστηρίχθηκε η έγκριση του Luxturna, οι ασθενείς που θεραπεύτηκαν με το φάρμακο, έδειξαν μια σημαντική βελτίωση της νυχτερινής όρασης, ενός από τα βασικά συμπτώματα της νόσου, μετά από ένα έτος, ενώ δεν παρατηρήθηκε βελτίωση στην ομάδα ελέγχου.

Η πιο συχνή παρενέργεια ήταν η υπεραιμία στον επιπεφυκότα του ματιού, η εμφάνιση καταρράκτη και η αύξηση της ενδοφθάλμιας πίεσης .

Δεδομένου της καινοτομίας αυτής της θεραπείας και του περιορισμένου αριθμού των ασθενών που θεραπεύτηκαν με αυτή, η επιτροπή CHMP απαιτεί από την εταιρία που εισάγει το Luxturna στην αγορά, να επιβεβαιώσει μακροπρόθεσμα και με συνεχή παρακολούθηση των ασθενών την συνεχιζόμενη αποτελεσματικότητα και ασφάλεια της θεραπείας.

Μελέτες παρακολούθησης ασθενών συμφωνήθηκαν, συμπεριλαμβανομένου και μίας εκ των υστέρων εγκεκριμένης μελέτης ασφάλειας (PASS), βασισμένη σε ασθενείς που έχουν ενταχθεί στα μητρώα της νόσου και που έχουν χάσει την όραση τους από την εν λόγω πάθηση, η οποία έχει προέλθει από επιβεβαιωμένη διπλής κατεύθυνσης(και από τους 2 γονείς) μετάλλαξη του γονιδίου RPE65, καθώς και σε ένα πρόγραμμα 15ετούς συνεχούς παρακολούθησης, δεδομένων για την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια για όλους τους ασθενείς που θεραπεύτηκαν στο πλαίσιο αυτού του κλινικού προγράμματος.

Η άποψη της CHMP, είναι βασισμένη στην εκτίμηση επιτροπών εμπειρογνομόνων της EMA που είναι μέλη της ομάδας για την Εισαγωγή Θεραπευτικών Ιατρικών Προϊόντων (ATMP) και της επιτροπής για εισαγωγή θεραπειών (CAT). Η Luxturna σχεδιάστηκε ως ορφανό φάρμακο και οι αρμόδιες επιτροπές της EMA παρέχουν ένα υποστηρικτικό πρωτόκολλο για την κατάθεση αίτησης για έγκριση κατά την διάρκεια της ανάπτυξης του φαρμάκου.

Η γνώμη-εισήγηση που υιοθετήθηκε από την CHMP είναι ένα ενδιάμεσο βήμα στον δρόμο που έχει ανοίξει η θεραπεία Luxturna για την επιτυχή πρόσβαση από τους ασθενείς. Η εισήγηση αυτή θα αποσταλεί στην Ευρωπαϊκή Επιτροπή προκειμένου να υιοθετηθεί μια απόφαση για άδεια εμπορικής αξιοποίησης σε πανευρωπαϊκό επίπεδο. Από την στιγμή που θα ληφθεί η εμπορική άδεια, αποφάσεις σχετικά με την τιμή και την κάλυψη από ασφαλιστικούς φορείς θα ληφθούν σε επίπεδο κρατών, λαμβάνοντας υπόψη τον βασικό ρόλο και την χρήση αυτού του φαρμάκου στο πλαίσιο των Εθνικών Συστημάτων Υγείας κάθε χώρας.

Σημειώσεις:

Η εταιρία που αιτήθηκε για την θεραπεία Luxturna είναι η Spark Therapeutics Ireland Ltd. Όπως πάντα επί του παρόντος η έγκριση από την EMA-Επιτροπή για Ορφανά Ιατρικά Προϊόντα θα επανεξετάσει τον προσδιορισμό της θεραπείας ως ορφανής, εφόσον οι διαθέσιμες πληροφορίες έως τις προθεσμίες που τίθενται θα επιτρέψουν στο Luxturna να λάβει το καθεστώς του ορφανού φαρμάκου και χορηγώντας την δυνατότητα διάθεσης του φαρμάκου αποκλειστικά στην αγορά για δέκα χρόνια.