

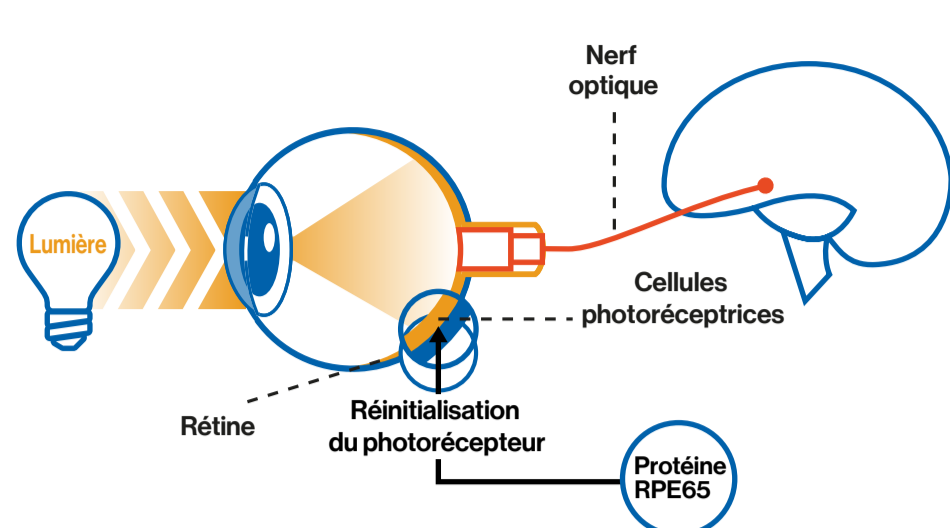
Comment Luxturna^{MD} (voretigène néparvovec) agit-il?

Qu'est-ce que le cycle visuel?

Le cycle visuel est le processus qui convertit la lumière entrant dans l'œil en signaux électriques qui sont transmis au cerveau¹.

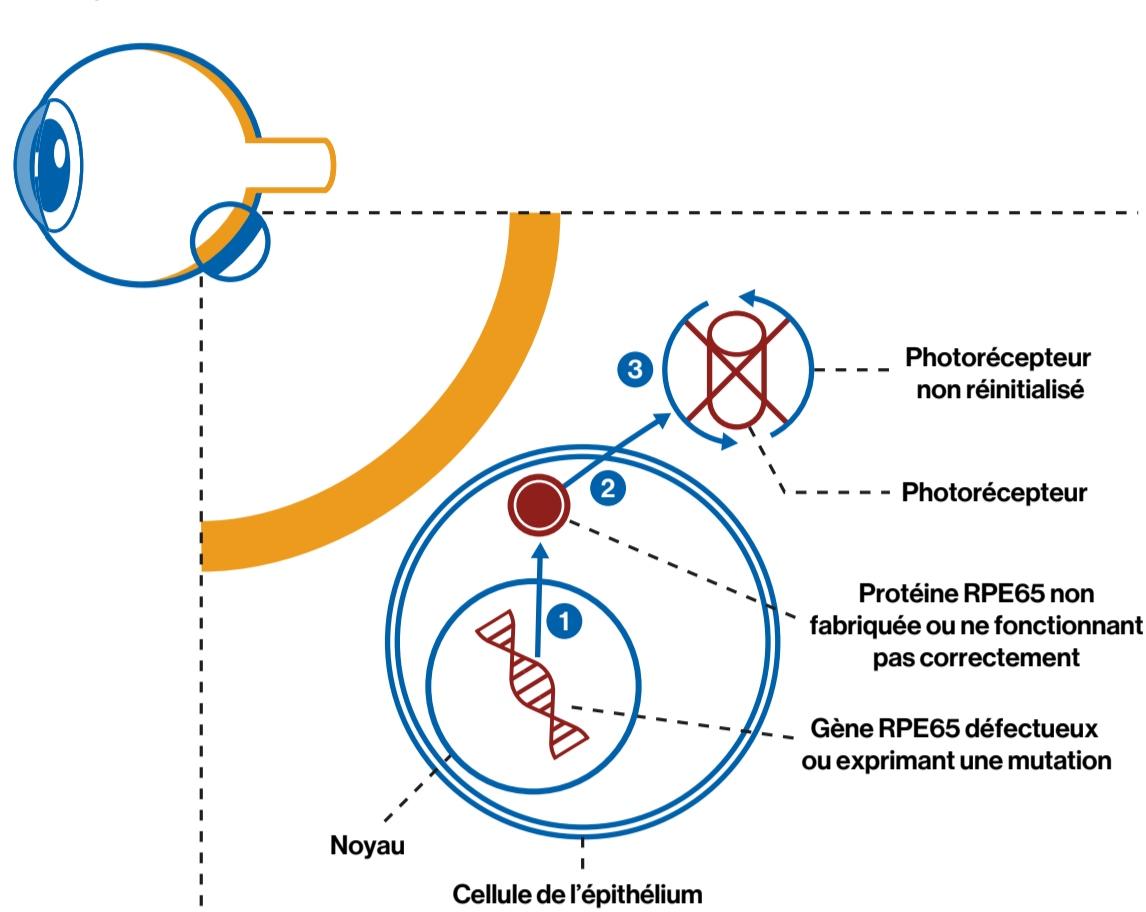
Une particule de lumière (photon) entre en contact avec un photorécepteur de la rétine, soit le tissu sensible à la lumière qui recouvre le fond de l'œil, ce qui provoque la transmission de signaux électriques jusqu'au cerveau par le nerf optique¹.

Toutefois, le photorécepteur doit être réinitialisé pour être prêt pour le prochain photon¹. Une protéine appelée **RPE65** participe à cette tâche¹.



Perte de vision due à une mutation génétique touchant les deux copies du gène **RPE65**

Si le gène **RPE65** qui transporte les instructions pour fabriquer la protéine exprime une mutation ou est défectueux, la protéine ne sera pas créée ou ne fonctionnera pas correctement¹. Par conséquent, les photorécepteurs sont incapables de se réinitialiser et commenceront à subir une dégénération au fil du temps^{1,2}.



À mesure que les photorécepteurs se détériorent, les gens perdent leur capacité à percevoir la lumière, ce qui entraîne une cécité nocturne et une perte de vision¹.

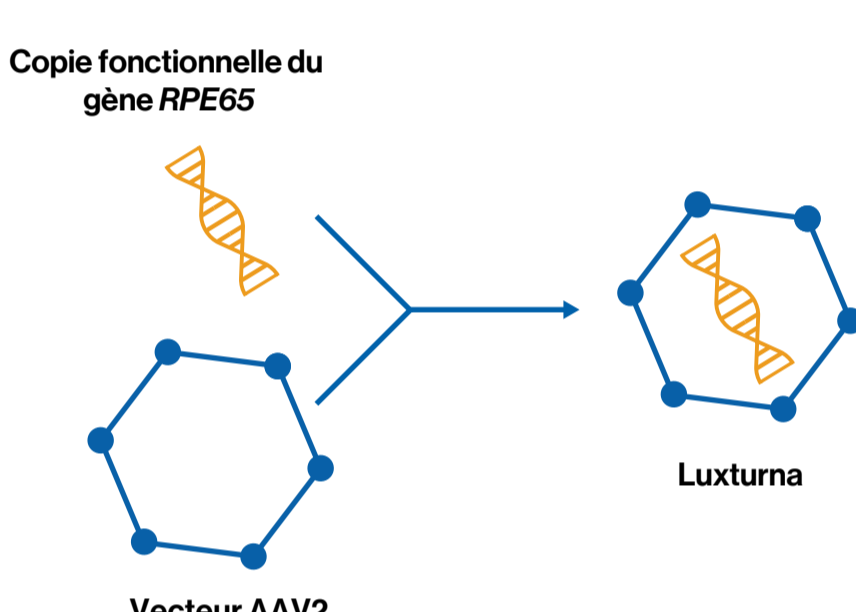
Qu'est-ce que Luxturna?

Tout le monde a deux copies du gène **RPE65**³. Luxturna est une thérapie génique administrée en une dose unique pour les patients qui ont une perte de vision causée par des mutations génétiques touchant les deux copies du gène **RPE65** et qui possèdent suffisamment de cellules rétinienne viables. Cette mutation touche environ **1 personne sur 200 000** à l'échelle mondiale⁴.

Luxturna fournit une copie fonctionnelle du gène **RPE65** qui se substituera au gène **RPE65** d'origine exprimant une mutation².

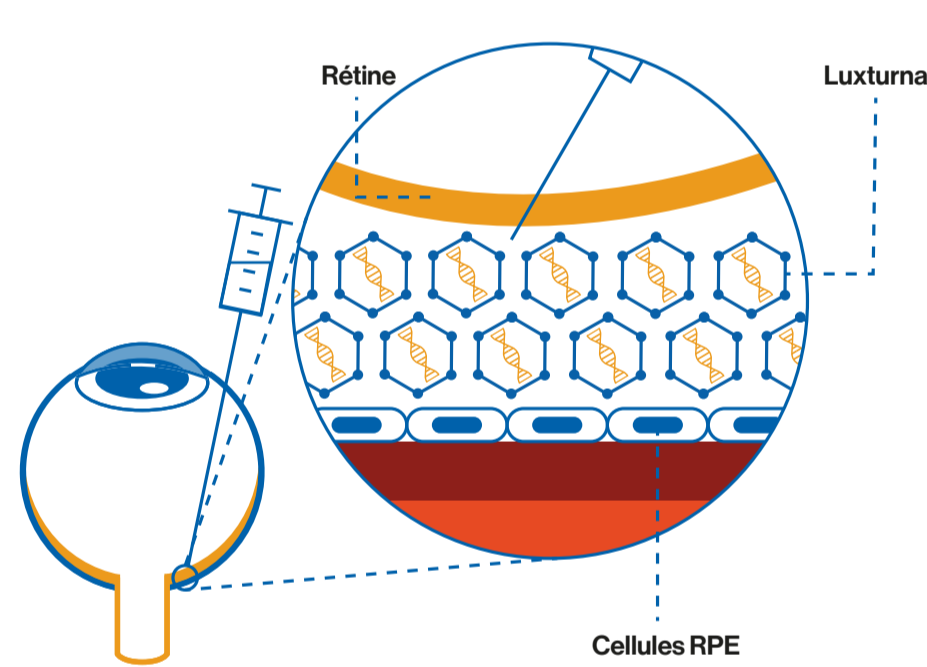
Le gène fonctionnel a le potentiel de rétablir la vision et d'améliorer la vue².

Luxturna est composé d'un fragment d'ADN, contenant une copie fonctionnelle du gène **RPE65**, qui est combiné à un transporteur appelé vecteur, lequel est fabriqué à partir d'un virus modifié et inactivé².



Comment Luxturna est-il administré?

Luxturna nécessite une seule injection par œil⁵.

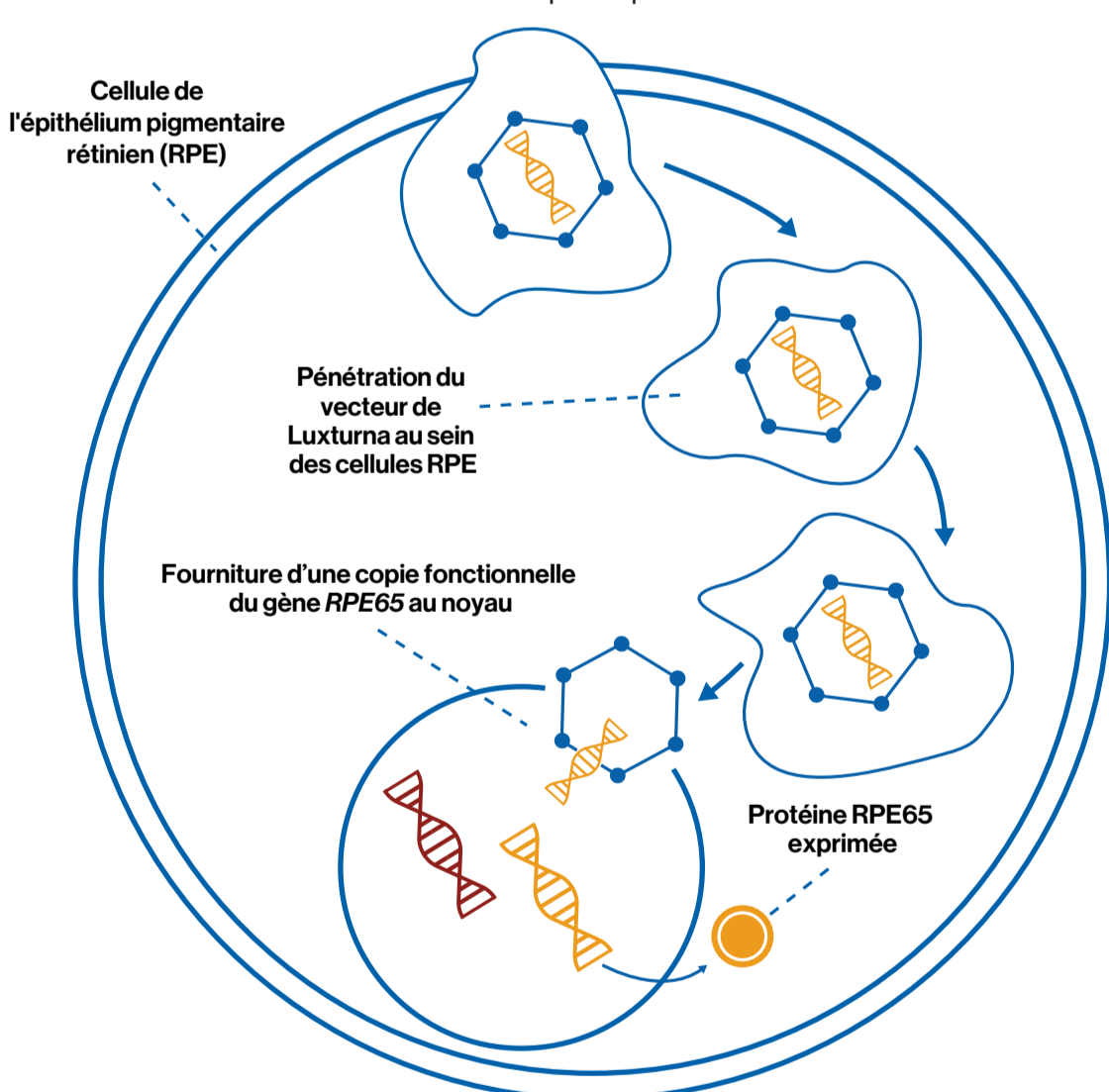


Un chirurgien spécialiste de la rétine injecte la thérapie génique sous la rétine, c'est-à-dire dans l'espace sous-rétinien.

Quel est l'effet de Luxturna sur l'œil?

Le vecteur de Luxturna pénètre dans les cellules de l'épithélium pigmentaire rétinien (RPE) et fournit au noyau cellulaire une copie fonctionnelle du gène **RPE65**⁵.

Les cellules commencent ensuite à fabriquer la protéine **RPE65**⁵.

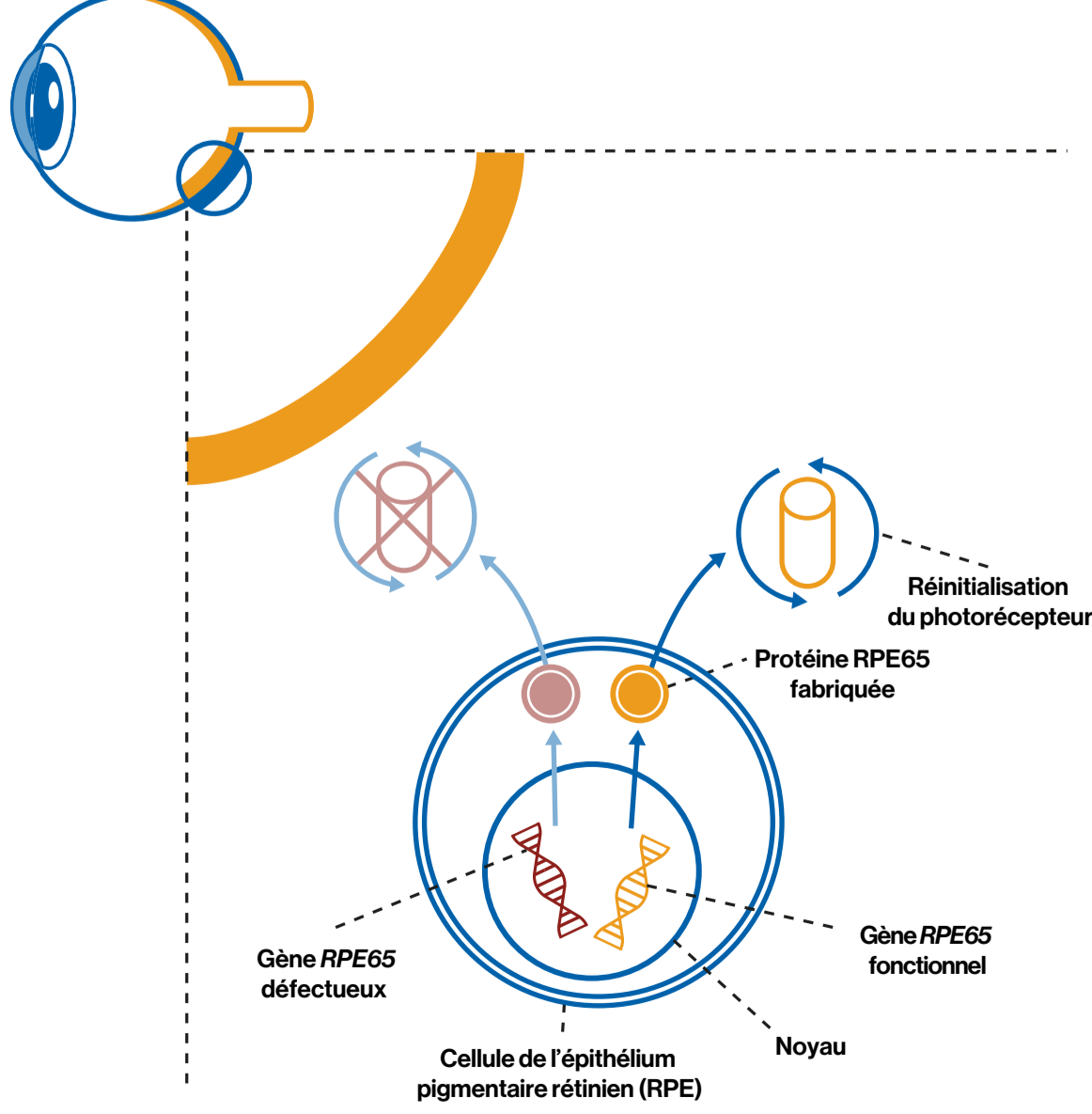


De quelle manière Luxturna rétablit-il la vision et améliore-t-il la vue?

Luxturna fournit une copie fonctionnelle du gène **RPE65** qui se substituera au gène **RPE65** d'origine exprimant une mutation².

Le gène **RPE65** fonctionnel crée la protéine **RPE65**⁵,

rétablissant ainsi le cycle visuel, ce qui peut potentiellement rétablir la vision et améliorer la vue².



* Luxturna est une marque déposée de Spark Therapeutics Inc., utilisée sous licence par Novartis Pharma Canada inc.

¹ Luxturna est indiqué dans le traitement des patients adultes et des enfants qui ont une perte de vision due à une dystrophie rétinienne héréditaire (causée par des mutations bilatérales confirmées du gène RPE65), et qui possèdent suffisamment de cellules rétinienne viables.

Renseignements importants sur l'innocuité

Certains patients ayant reçu Luxturna ont présenté des yeux rouges ou douloureux, une sensibilité à la lumière, une infection oculaire, des cataractes, une augmentation de la pression oculaire ou des troubles visuels temporaires, tels que des éclairs de lumière ou des particules « flottantes », une détérioration de la vision ou une vision floue. Certains de ces effets peuvent être attribuables au traitement-même ou à l'utilisation des corticostéroïdes. L'information présentée n'est pas exhaustive. Pour obtenir tous les détails, veuillez consulter la monographie du produit.

Références

1. NIH U.S. National Library of Medicine (2018). Genetics Home Reference. **RPE65** gene. En ligne : <https://ghr.nlm.nih.gov/gene/RPE65>.
2. Russell S, et coll. Efficacy and safety of voretigène néparvovec (AAV2-hRPE65v2) in patients with **RPE65**-mediated inherited retinal dystrophy: a randomised, controlled, open-label, phase 3 trial. The Lancet 2017; 390:849-860. En ligne : <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28712537>.
3. NIH U.S. National library of medicine. **What is a gene?** En ligne : <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/basics/gene>.
4. Novartis. Données internes, 2018.
5. Novartis Pharma Canada inc. Monographie de Luxturna^{MD} (voretigène néparvovec). 13 octobre 2020.