

## Luxturna (voretigen neparvovek) vid hereditär retinaldystrofi

NT-rådets yttrande till landstingen 2019-03-08

### Rekommendation i väntan på pågående utredning

#### NT-rådets rekommendation till landstingen är:

Att avvakta med användning av Luxturna till dess att det finns tillräckligt kunskapsunderlag för NT-rådet att fastställa en rekommendation.

### Om läkemedlet

Luxturna (voretigen neparvovek) är en genöverföringsvektor som utnyttjar kapsiden av en adenoassocierad viral vektor av serotyp 2 (AAV2) för överföring av 65 kDa cDNA av humant retinalt pigmentepitel protein (hRPE65) till näthinnan. Luxturna är avsett för behandling av vuxna och barn som har synförlust förorsakad av hereditär retinaldystrofi på grund av bekräftade bialleliska *RPE65* mutationer och som har tillräckligt med viabla näthinneceller.

### Motivering

NT-rådet beslutade 2018-04-28 att Luxturna ska vara föremål för nationell samverkan, vilket innebär att NT-rådet kommer att avge en rekommendation till regionerna om användning av Luxturna. För att NT-rådet ska kunna göra en fullständig bedömning av behandlingens värde med hänvisning till den etiska plattformen behövs bland annat en hälsoekonomisk värdering. NT-rådet har uppdragit åt TLV att inom sitt klinikläkemedelsuppdrag göra en hälsoekonomisk bedömning, vilken pågår. Till dess att NT-rådet kan göra en sammanvägd bedömning och avge en rekommendation, rekommenderas regionerna att avvakta införande av Luxturna för att undvika införande på osäkra grunder och en ojämlig hantering i landet.

### Mer information

[Frågor och svar om NT-rådet och hälsoekonomi](#)