

Vijf jaar Luxturna: gepast gebruik door gezamenlijke afspraken

Vijf jaar na de start van het weesgeneesmiddelenarrangement voor Luxturna blijkt deze oogheelkundige gentherapie de verwachtingen in te lossen. De behandeluitkomsten, de centrale indicatiestelling en de registratie geven het Zorginstituut vertrouwen in de uitvoering van het arrangement. Wel heeft voortschrijdend inzicht geleid tot de afweging om eerst één oog te behandelen en niet beide.

Tekst Robert van der Broek

Beeld David Rozing (ANP)

Luxturna is een medicijn tegen erfelijke netvliesdystrofie, een aangeboren oogziekte die rond het veertigste levensjaar tot blindheid leidt. Omdat er op dat moment geen enkel ander alternatief was om de ziekte af te remmen, gaf het Zorginstituut in 2020 een positief pakketadvies voor deze veelbelovende gentherapie. Een jaar later volgde het weesgeneesmiddelenarrangement. Artsen, zorgverzekeraars en het Zorginstituut hebben daarin afspraken gemaakt over gepast gebruik van Luxturna.

Versterking van het netvlies

In maart 2026 zijn de successen, leerpunten en vervolgacties van het arrangement geëvalueerd. “Vrijwel iedereen die een indicatie kreeg voor de behandeling met Luxturna wilde het hebben. Het perspectief om beter te zien was een sterke aanjager. Zij hebben een goed afgewogen keuze kunnen maken met de juiste patiënteninformatie, en door samen te beslissen met de oogarts”, zegt Pierre van Grunsven, medisch adviseur van het Zorginstituut. Oogarts Ingeborgh van den Born, lid van de indicatiecommissie: “De winst van Luxturna zit in de toename van de lichtgevoeligheid van het netvlies, met name

van de staafjes, de netvliescellen die je nodig hebt om in het schemer en donker te kunnen zien. Je zult bijvoorbeeld in de winter ook na vijf uur ’s middags nog naar buiten kunnen.” Er zijn 26 patiënten behandeld, iets minder dan de 31 patiënten die vijf jaar geleden werden geraamd. Ook de samenwerking met de drie aangewezen behandelcentra in Rotterdam, Amsterdam en Nijmegen is soepel verlopen en wordt voortgezet. Het Oogziekenhuis Rotterdam heeft het grootste cohort van de drie: 65 patiënten, terwijl er in heel Nederland naar schatting minder dan honderd patiënten zijn.

Patronen in het gordijn

Luxturna is alleen geschikt voor patiënten met een RPE65-mutatie (zie ook toelichting in onderstaand kader) én nog voldoende levensvatbare fotoreceptoren. Behandeling op hoge leeftijd heeft dus naar verwachting weinig tot geen effect. De lichtgevoeligheid van het netvlies wordt gemeten met de *Full-field Sensitivity Threshold (FST)*. Dat gebeurt volgens dezelfde parameters als in de fase-III-studie; het klinisch onderzoek waarin de effectiviteit, veiligheid en bijwerkingen van Luxturna zijn onderzocht. Uit de resultaten

Wat is Luxturna?

Luxturna is ontwikkeld voor erfelijke netvliesdystrofie, een zeldzame aandoening die wordt veroorzaakt door mutaties in het RPE65-gen. Dit gen maakt eiwitten aan die nodig zijn voor de lichtgevoeligheid van het netvlies. Het ziekteverloop kenmerkt zich door ernstige nachtblindheid, nystagmus (trillende ogen), een afnemende gezichtsscherpte en een geleidelijke achteruitgang van de visuele functie. Rond het veertigste levensjaar zijn de meeste patiënten maatschappelijk blind. Luxturna bevat een gezond RPE65-gen dat is verpakt in een genetisch gemodificeerd virus. De vloeistof wordt met een operatie onder het netvlies geïnjecteerd, waarna het nieuwe gen in de cellen normaal RPE65-eiwit gaat aanmaken, dat essentieel is voor de visuele cyclus. Daardoor wordt een deel van de netvliesfunctie hersteld.

blijkt dat de helft van de patiënten een significante verbetering heeft van de netvliesfunctie. Daardoor ervaren zij meer zelfstandigheid en zeggen ze meer zelfvertrouwen te hebben gekregen. Een van de behandelde patiënten beschrijft zijn ervaring als volgt:

“In 2022 ben ik aan beide ogen behandeld. Het vooruitzicht zonder behandeling was ongunstig; ik zou blind zijn als ik 45 jaar was. Omdat wereldwijd nog maar weinig patiënten waren behandeld, keek ik er wel een beetje tegenop. Toen ik na de operatie aan mijn rechteroog thuiskwam, zag ik ineens scherpe patronen in het gordijn die ik nog nooit had gezien. Ook mijn nachtzicht is verbeterd; ik durf weer 's nachts buiten te zijn.”

Beeldvormende technieken

Bij ruim een op de tien patiënten kunnen bijwerkingen optreden. De meest voorkomende zijn tijdelijk van aard en treden op rond de operatie. Een bijwerking die niet was opgemerkt in de studies is chorioretinale atrofie (CRA; dunner worden van netvlies en vaatvlies). “Dat komt omdat in het onderzoek alleen naar het functionele eindpunt werd gekeken en geen gebruik werd gemaakt van imaging, zoals foto's of scans van het netvlies”, legt Van den Born uit. “Door melding van collega's uit het buitenland werden wij daarop geattendeerd.” Deze bevindingen hebben gevolgen gehad voor de behandelstrategie. “Door die meldingen hebben we een stap teruggedaan in de behandeling. We behandelen voortaan in principe eerst één oog.”

Behandeling tweede oog

Het resultaat van het eerste oog kan al voldoende zijn voor het dagelijks functio-



Van Grunsven: “Patiënten hebben een goed afgewogen keuze kunnen maken met de juiste patiënteninformatie, en door samen te beslissen met de oogarts”

neren. Daardoor is het behandelen van het tweede oog misschien niet noodzakelijk, zegt Van den Born. “Het langetermijneffect van Luxturna is onbekend en het effect van de behandeling kan per patiënt verschillen. In principe behandelen we maar één oog. Alleen kan het voorkomen dat een tweede ingreep toch een toegevoegde waarde heeft. Bij kleine kinderen kan het bijvoorbeeld gebeuren dat het behandelde oog maakt dat het onbehandelde oog ‘lui’ en dus nog slechter wordt.”

Noodscenario

Een andere potentiële besparing wordt door de beroepsgroep niet aanbevolen. Voor elke behandeling met Luxturna levert de apotheker een extra spuit. Uit de evaluatie blijkt dat die nog nooit nodig is geweest. De beroepsgroep vindt dat de tweede spuit toch gehandhaafd moet blijven. Van den Born licht toe: “De apotheker bereidt de werkzame stof en verdeelt deze over twee spuiten volgens voorschrift. Daarna heb je vier uur de

tijd om deze te gebruiken. Mocht een spuit onsteriel worden door welke reden dan ook, is er altijd nog een reservespuit en kan de operatie veilig uitgevoerd worden. Dat is een geruststellende gedachte. Luxturna wordt per patiënt besteld en ligt dus niet bij ons op voorraad.” |