EMA/423254/2018
EMEA/H/C/002720

Translarna (ataluren)

Общ преглед на Translarna и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Translarna и за какво се използва?

Translarna е лекарство, което се използва за лечение на пациенти на възраст 2 години и повече, с мускулна дистрофия тип Дюшен, които са в състояние да ходят. Мускулната дистрофия тип Дюшен е генетично заболяване, което причинява постепенно отслабване и загуба на мускулната функция. Translarna се използва при малка група пациенти, чието заболяване се причинява от специфичен генетичен дефект (наречен „нонсенс мутация") в дистрофиновия ген.

Мускулната дистрофия тип Дюшен се счита за рядко заболяване и Translarna е определен като „лекарство сирак" (лекарство, използвано при редки заболявания) на 27 май 2005 г. Допълнителна информация за „лекарства сираци" можете да намерите тук: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation

Как се използва Translarna?

Translarna се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато от лекар специалист с опит в овладяването на мускулна дистрофия тип Дюшен/Бекер.

Преди започване на лечението с Translarna на пациентите ще бъде направено генетично изследване, за да се потвърди, че болестта им се дължи на нонсенс мутация и следователно са подходящи за лечение с Translarna.

Translarna се предлага под формата на гранули (125, 250 и 1 000 mg), които се приемат през устата след смесването им с течна или полутвърда храна (напр. кисело мляко). Translarna се приема три пъти дневно, а препоръчителната доза е 10 mg/kg (10 mg/kg телесно тегло) сутрин, 10 mg/kg на обяд и 20 mg/kg вечер (за получаване на обща дневна доза от 40 mg/kg).

За повече информация относно употребата на Translarna вижте листовката или се свържете с лекар или фармацевт.

30 Churchill Place ● Canary Wharf ● London E14 5EU ● United Kingdom
Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555
Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2018. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Как действа Translarna?

При пациентите с мускулна дистрофия тип Дюшен липсва нормалният дистрофин — протеин, намиращ се в мускулите. Тъй като този протеин помага за защита на мускулите от нараняване, когато мускулите се съкращават и отпускат, при пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен мускулите се увреждат и в крайна сметка спират да функционират.

Възможна причина за мускулната дистрофия тип Дюшен са различни генетични аномалии. Translarna е показан за употреба при пациенти, чието заболяване се дължи на наличието на определени дефекти (наречени нонсенс мутации) в дистрофиновия ген, който преждевременно спира синтеза на нормалния протеин дистрофин, в резултат на което се синтезира скъсен протеин дистрофин, който не функционира правилно. Действието на Translarna при тези пациенти се изразява във възможността протеин-синтезиращият апарат в клетките да заобикаля дефекта, което позволява на клетките да произвеждат функционален протеин дистрофин.

Какви ползи от Translarna са установени в проучванията?

В едно основно проучване при 174 пациенти на възраст от 5 до 20 години с мускулна дистрофия тип Дюшен, които са в състояние да ходят, са сравнени две дози от Translarna (40 mg/kg дневно и 80 mg/kg дневно) с плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност е промяната в разстоянието, което пациентът може да измине за шест минути след 48 седмици на лечение.

Въпреки че първоначалният анализ на резултатите от всички данни от проучването не показва съществена разлика в разстоянията, които могат да изминат пациентите в групите, лекувани с Translarna и плацебо, допълнителните анализи показват, че способността за ходене се влошава в по-малка степен при прием на 40 mg/kg Translarna дневно, отколкото при плацебо: след 48 седмици на лечение, пациентите, приемащи 40 mg/kg Translarna дневно, могат да изминат средно по 32 метра повече, отколкото приемащите плацебо. По-силно изразен ефект е отбелязан в подгрупа от пациенти, чиято способност да ходят се влошава, като пациентите, които приемат 40 mg/kg Translarna дневно, са в състояние да изминат средно 50 метра повече от пациентите на плацебо. Благоприятният ефект от по-ниската доза е подкрепен и от подобренията в други мерки за ефективността, включително и тези, които са пряко свързани с ежедневните дейности на пациентите. Не се наблюдава подобрение с по-високата доза (80 mg/kg/ден).

След първоначално одобрение е завършено допълнително проучване при 230 пациенти на възраст от 7 до 14 години с влошаваща се способност да ходят, но резултатите от него се считат за неубедителни. Все пак данните показват, че Translarna оказва положителен ефект върху различни мерки, например времето за пробягване/извървяване на 10 метра, времето за качване и слизане по 4 стъпала и времето до загуба на способността за ходене. И в двете проучвания благоприятните ефекти от Translarna изглеждат по-явни при пациентите с умерено влошаване на заболяването.

Малко проучване при деца на възраст от 2 до 5 години с мускулна дистрофия на Дюшен е установено, че обичайната доза Translarna 40 mg/kg дневно е била достатъчна. Translarna изглежда ефективен при оценка на физическата активност при 12 пациенти в сравнение с предишни данни за 11 пациенти на сходна възраст, които не са били лекувани с Translarna.

Какви са рисковете, свързани с Translarna?

Най-честите нежелани реакции при Translarna (които може да засегнат повече от 5 на 100 души) са повръщане, диария, гадене (позиви за повръщане), главоболие, стомашни болки и метеоризъм.

Translarna не трябва да се използва едновременно с аминогликозидни антибиотици, прилагани чрез инжектиране или инфузия (вливане) във вена.

За пълния списък на всички нежелани реакции и ограниченията, съобщени при Translarna, вижте листовката.

Защо Translarna е разрешен за употреба в ЕС?

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Translarna са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Въпреки необходимостта от допълнителни данни, Агенцията счита, че има доказателства, въз основа на които може да се предполага, че Translarna забавя прогресията на заболяването и че неговият профил на безопасност не повдига сериозни опасения. Агенцията призна, че пациентите с мускулна дистрофия на Дюшен имат незадоволената нужда от лечение на това сериозно заболяване.

Translarna е разрешен за употреба по т. нар. схема „разрешаване под условие". Това означава, че се очакват допълнителни данни за лекарството, които фирмата се задължава да предостави. Всяка година Агенцията ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Translarna?

Тъй като Translarna е разрешен за употреба по т. нар. схема „разрешаване под условие", фирмата, която предлага Translarna, ще предостави резултати от ново проучване, сравняващо Translarna с плацебо, за да потвърди неговата ефективност и безопасност.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Translarna?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Translarna, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Translarna непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Translarna, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Translarna

Translarna получава разрешение за употреба „под условие", валидно в ЕС, на 31 юли 2014 г.

Допълнителна информация за Translarna можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Дата на последно актуализиране на текста: 06-2018.