



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/765820/2016
EMA/H/C/002720

Резюме на EPAR за обществено ползване

Translarna ataluren

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Translarna. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Translarna.

За практическа информация относно употребата на Translarna пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Translarna и за какво се използва?

Translarna е лекарство, което се използва за лечение на пациенти на възраст 5 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.

Тъй като броят на пациентите с мускулна дистрофия тип Дюшен е малък, болестта се счита за „рядка“ и Translarna е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 27 май 2005 г.

Translarna съдържа активното вещество аталурен (*ataluren*).

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 (100, 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 обща дневна доза от 40 mg/kg). За повече информация вижте листовката.

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?

Translarna първо е проучен в едно основно проучване при 174 пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен в състояние да ходят, в което 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 31,7 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 49,9 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 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.

Какви са рисковете, свързани с Translarna?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Translarna (които се наблюдават при повече от 5 на 100 души) са повръщане, диария, гадене (позиви за повръщане), главоболие, стомашни болки и метеоризъм. Нежеланите лекарствени реакции обикновено са леки до умерени по тежест.

Translarna не трябва да се използва едновременно с определени антибиотици, известни като аминогликозиди, когато те се прилагат интравенозно.

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения при Translarna вижте листовката.

Защо Translarna е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Translarna са по-големи от рисковете, и препоръча Translarna да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Въпреки необходимостта от допълнителни данни, CHMP 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. Комитетът също отчита сериозността на мускулната дистрофия тип Дюшен и незадоволената медицинска потребност на пациентите с това 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 Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Translarna?

Translarna остава разрешен за употреба под условие, като фирмата, която предлага Translarna, се задължава да проведе ново проучване, в което Translarna да се сравни с плацебо, с цел да се 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 да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Допълнителна информация за Translarna:

На 31 юли 2014 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Translarna, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Translarna може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. За повече информация относно лечението с Translarna прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Translarna може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Дата на последно актуализиране на текста 12-2016.