



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Translarna

atalurenium

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Translarna. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Translarna používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Translarna, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Translarna a k čemu se používá?

Translarna je léčivý přípravek, který se používá k léčbě pacientů ve věku od 5 let s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří jsou schopni chůze. Duchenneova svalová dystrofie je genetické onemocnění, které postupně způsobuje slabost a ztrátu svalové funkce. Přípravek Translarna se používá u malé skupiny pacientů, jejichž onemocnění je způsobeno specifickým genetickým defektem (zvaným „nonsense mutace“) v genu pro dystrofin.

Jelikož počet pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Translarna byl dne 27. května 2005 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Translarna obsahuje léčivou látku ataluren.

Jak se přípravek Translarna používá?

Výdej přípravku Translarna je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahajovat specializovaný lékař se zkušenostmi s léčbou Duchenneovy/Beckerovy svalové dystrofie.

Před zahájením léčby přípravkem Translarna se pacientům provede genetický test, aby se potvrdilo, že jejich onemocnění je způsobeno nonsense mutací, a léčba přípravkem Translarna tedy u nich je vhodná.

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



Přípravek Translarna je dostupný ve formě granulí (125, 250 a 1 000 mg) k podání ústy po smísení s tekutinou nebo polotekutou stravou (například jogurtem). Přípravek Translarna se užívá třikrát denně a doporučená dávka je 10 mg/kg (10 mg na kilogram tělesné hmotnosti) ráno, 10 mg/kg v poledne a 20 mg/kg večer (celková denní dávka tedy činí 40 mg/kg). Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Translarna působí?

Pacienti s Duchenneovou svalovou dystrofií postrádají normální dystrofin, což je protein (bílkovina), který se nachází ve svalech. Jelikož tento protein pomáhá chránit svaly při jejich stahování a uvolňování před zraněním, u pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií dochází k poškození svalů a nakonec k jejich nefunkčnosti.

Duchenneova svalová dystrofie může být způsobena celou řadou genetických abnormalit. Přípravek Translarna je určen k použití u pacientů, jejichž onemocnění je způsobeno přítomností určitých defektů (zvaných nonsense mutace) v genu pro dystrofin, které předčasně zastavují tvorbu normálního proteinu dystrofinu, což vede ke vzniku zkráceného proteinu, který nefunguje správně. Přípravek Translarna působí u těchto pacientů tak, že buněčnému mechanismu tvorby proteinů umožňuje tento defekt obejít, čímž buňkám umožňuje vyrábět funkční protein dystrofin.

Jaké přínosy přípravku Translarna byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Translarna byl nejprve zkoumán v jedné hlavní studii zahrnující, do které bylo zařazeno 174 pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií schopných chůze, v níž byly dvě dávky přípravku Translarna (40 mg/kg denně a 80 mg/kg denně) porovnávány s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna vzdálenosti, kterou byl pacient schopen ujít za šest minut, hodnocená po 48 týdnech léčby.

Ačkoliv počáteční analýza všech výsledných údajů ze studie neprokázala významný rozdíl ve vzdálenosti, kterou byli pacienti ve skupině s přípravkem Translarna a ve skupině s placebem schopni ujít, další analýzy ukázaly, že ve skupině užívající 40 mg/kg přípravku Translarna denně se schopnost chůze zhoršila v menší míře než ve skupině užívající placebo: po 48 týdnech léčby byli pacienti užívající 40 mg/kg přípravku Translarna schopni denně ujít v průměru o 31,7 m více než pacienti užívající placebo. Výraznější účinek byl pozorován u podskupiny pacientů, jejichž schopnost chodit se zhoršovala, v rámci které pacienti, kteří užívali 40 mg/kg přípravku Translarna denně, byli schopni ujít v průměru o 49,9 m více než pacienti užívající placebo. Příznivý účinek nižší dávky byl také podložen zlepšením dalších měřítek účinnosti, včetně měřítek přímo spojených s každodenními aktivitami pacientů. U vyšší dávky (80 mg/kg denně) zlepšení pozorováno nebylo.

Další studie, do které bylo zařazeno 230 pacientů, u kterých se zhoršovala schopnost chůze, byla dokončena po prvním schválení, její výsledky však nebyly považovány za přesvědčivé. Z údajů však vyplývá, že přípravek Translarna měl pozitivní účinek na různá měření, například na čas potřebný k uběhnutí/ujití 10 metrů, čas na vyjití a sejít 4 schodů a doba do ztráty schopnosti chůze. V obou studiích se podle všeho příznivé účinky přípravku Translarna projevovaly zjevněji u těch pacientů, kteří vykazovali středně závažné zhoršení onemocnění.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Translarna?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Translarna (zaznamenanými u více než 5 osob ze 100) jsou zvracení, průjem, nauzea (pocit nevolnosti), bolest hlavy, bolest břicha a nadýmání. Nežádoucí účinky jsou obvykle mírné nebo středně závažné.

Přípravek Translarna se nesmí používat současně s určitými antibiotiky nazývanými aminoglykosidy, pokud jsou podávány injekčně do žíly.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Translarna je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Translarna schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že přínosy přípravku Translarna převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU.

I přes potřebu dalších údajů výbor CHMP usoudil, že existují důkazy, které svědčí o tom, že přípravek Translarna zpomaluje postup onemocnění a že jeho bezpečnostní profil nevyvolává závažné obavy. Výbor také uznává závažnost Duchenneovy svalové dystrofie a nenaplněnou léčebnou potřebu pacientů s tímto onemocněním.

Přípravku Translarna bylo uděleno „podmíněné schválení“. Znamená to, že se očekávají další poznatky o tomto léčivém přípravku požadované od výrobce. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Translarna nebyly dosud předloženy?

Přípravku Translarna si i nadále uchovává označení „podmíněné schválení“, přičemž po společnosti, která přípravek Translarna dodává na trh, se požaduje, aby provedla novou studii, ve které je přípravek Translarna srovnáván s placebem, aby se potvrdila jeho účinnost a bezpečnost.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Translarna?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Translarna, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Translarna

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Translarna platné v celé Evropské unii dne 31. července 2014.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Translarna je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Translarna naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Translarna vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 12-2016.