



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Translarna

## ataluren

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Translarna. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Translarna.

Para más información sobre el tratamiento con Translarna, el paciente deberá leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

### ¿Qué es Translarna y para qué se utiliza?

Translarna es un medicamento que se utiliza para tratar a pacientes a partir de 5 años con distrofia muscular de Duchenne que son capaces de caminar. La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular. Translarna se usa en el pequeño grupo de pacientes cuya enfermedad está causada por un defecto genético específico (denominado «mutación sin sentido») en el gen de la distrofina.

Dado que el número de pacientes afectados por distrofia muscular de Duchenne es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Translarna fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de mayo de 2005.

Translarna contiene el principio activo ataluren.

### ¿Cómo se usa Translarna?

Translarna solo se puede dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser iniciado por un médico especialista con experiencia en el manejo de la distrofia muscular de Duchenne/Becker.

Antes de comenzar el tratamiento con Translarna, los pacientes se someterán a una prueba genética para confirmar que su enfermedad se debe a una mutación sin sentido y que, por tanto, son adecuados para el tratamiento con Translarna.



Translarna está disponible en forma de gránulos (125, 250 y 1 000 mg) para tomar por vía oral después de mezclarlos con alimentos líquidos o semisólidos (como yogur). Translarna se toma tres veces al día y la dosis recomendada es de 10 mg/kg (10 mg por kilogramo de peso corporal) por la mañana, 10 mg/kg a mediodía y 20 mg/kg por la noche (lo que supone una dosis diaria total de 40 mg/kg). Para más información, consulte el prospecto.

## **¿Cómo actúa Translarna?**

Los pacientes con distrofia muscular de Duchenne carecen de distrofina normal, una proteína que se encuentra en los músculos. Puesto que esta proteína ayuda a proteger a los músculos de lesiones cuando estos se contraen y se relajan, en los pacientes con distrofia muscular de Duchenne, los músculos se dañan y finalmente dejan de funcionar.

La distrofia muscular de Duchenne puede estar causada por diversas anomalías genéticas. Translarna se usa en pacientes cuya enfermedad está causada por la presencia de determinados defectos (llamadas mutaciones sin sentido) en el gen de la distrofina, lo cual detiene prematuramente la producción de una proteína distrofina normal, dando lugar a una proteína distrofina acortada que no funciona correctamente. Translarna actúa en estos pacientes permitiendo al aparato de producción de proteínas en las células avanzar más allá del defecto, de modo que las células puedan producir una proteína distrofina funcional.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Translarna en los estudios realizados?**

Se ha estudiado Translarna en un estudio principal en 174 pacientes con distrofia muscular de Duchenne capaces de caminar y en el que se compararon dos dosis de Translarna (40 mg/kg al día y 80 mg/kg al día) con placebo (un tratamiento ficticio). El principal criterio de valoración de la eficacia fue la variación en la distancia que el paciente podía caminar en seis minutos, tras 48 semanas de tratamiento.

Aunque un análisis inicial de los resultados de todos los datos del estudio no mostró una diferencia significativa en las distancias que podían caminar los pacientes en los grupos de Translarna y placebo, análisis posteriores indicaron que la capacidad para caminar se había reducido en menor medida con 40 mg/kg al día de Translarna que con placebo: al cabo de 48 semanas de tratamiento, los pacientes que recibían 40 mg/kg al día de Translarna podían caminar, como promedio, 31,7 metros más que los que recibieron placebo. En un subgrupo de pacientes cuya capacidad de caminar estaba empeorando se observó un efecto más acusado: los pacientes que tomaron 40 mg/kg de Translarna al día pudieron caminar un promedio de 49,9 metros más que aquellos que tomaron placebo. El efecto beneficioso de la dosis inferior se vio respaldado por mejoras en otros parámetros relacionados con la eficacia, incluidos los vinculados directamente a las actividades diarias de los pacientes. No se observó mejora con la dosis mayor (80 mg/kg/día).

Otro estudio, en el que participaron 230 pacientes cuya capacidad de caminar estaba empeorando, se completó tras una autorización inicial pero sus resultados no se consideraron concluyentes. No obstante, las datos indicaron que Translarna tuvo un efecto positivo sobre distintos parámetros como el tiempo necesario para correr/caminar 10 metros, el tiempo para subir y bajar 4 escalones y el tiempo transcurrido hasta perder la capacidad de caminar. En ambos estudios, los efectos beneficiosos de Translarna parecían ser más evidentes en aquellos pacientes cuya enfermedad empeoraba ligeramente.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Translarna?

Los efectos adversos más frecuentes de Translarna (observados en más de cinco pacientes de cada 100) son vómitos, diarrea, náuseas, dolor de cabeza, dolor de estómago y flatulencia. En la mayoría de los casos, la gravedad de los efectos adversos es media o moderada.

No debe usarse Translarna al mismo tiempo que determinados antibióticos conocidos como aminoglucósidos si estos se administran mediante inyección en una vena.

Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Translarna, ver el prospecto.

## ¿Por qué se ha aprobado Translarna?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Translarna son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

A pesar de la necesidad de disponer de más información, el CHMP consideró que hay pruebas que apuntan a que Translarna ralentiza el avance de la enfermedad y que su perfil de seguridad no es motivo de gran preocupación. El Comité también reconoció la gravedad de la distrofia muscular de Duchenne y la necesidad médica no satisfecha de los pacientes con esta enfermedad.

Translarna se ha autorizado con una «aprobación condicional». Esta modalidad de aprobación significa que se espera obtener más información sobre este medicamento, que la empresa deberá facilitar. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la información nueva sobre este medicamento al menos una vez al año y esta Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto (RCP) se actualizará cuando sea necesario.

## ¿Qué información falta todavía sobre Translarna?

Translarna continúa sujeto a una autorización condicional y la empresa que comercializa el medicamento deberá realizar un nuevo estudio en el que Translarna se compare con placebo con vistas a confirmar su eficacia y seguridad.

## ¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Translarna?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Translarna se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el prospecto.

## Otras informaciones sobre Translarna

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Translarna el 31 de julio de 2014.

El EPAR completo de Translarna puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para más información sobre el tratamiento con Translarna, lea el prospecto (que también forma parte del EPAR) o consulte con su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Translarna puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 12-2016