



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kokkuvõte üldsusele

---

# Translarna atalureen

See on ravimi Translarna Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Translarna kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Translarna kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

## Mis on Translarna ja milleks seda kasutatakse?

Translarna on ravim, mida kasutatakse Duchenne'i lihasedüstroofia raviks vähemalt 5-aastastel kõndimisvõimega patsientidel. Duchenne'i lihasedüstroofia on geneetiline haigus, mis põhjustab progresseeruvat lihasehäiret ja lihasefunktsiooni kadumist. Translarnat kasutatakse düstrofiini geeni spetsiifilisest geenidefektist (nonsenss-mutatsioonist) põhjustatud lihasedüstroofiaga patsientide väikeses rühmas.

Et Duchenne'i lihasedüstroofiaga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Translarna 27. mail 2005 harvikravimiks.

Translarna sisaldab toimeainena atalureeni.

## Kuidas Translarnat kasutatakse?

Translarna on retseptiravim ja ravi Translarnaga tohib alustada ainult eriarst, kes on spetsialiseerunud Duchenne'i/Beckeri lihasedüstroofia ravile.

Enne ravi alustamist Translarnaga tehakse patsientidele geenitest, et kontrollida, kas nende haigus on tingitud nonsenss-mutatsioonist ja kas seega ravi Translarnaga sobib neile.

Translarnat turustatakse graanulitena (125, 250 ja 1000 mg), mis manustatakse suukaudselt pärast segamist vedela või poolvedela toiduga (nt jogurtiga). Translarnat manustatakse kolm korda ööpäevas



ja soovitatav annus on 10 mg/kg (10 mg kehamassi kg kohta) hommikul, 10 mg/kg keskpäeval ja 20 mg/kg õhtul (ööpäevane koguanus 40 mg/kg). Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

## **Kuidas Translarna toimib?**

Duchenne'i lihasedüstroofiaga patsientidel puudub lihastes leiduv valk düstrofiin. Et see valk aitab kaitsta lihaseid kokkutõmbumisel ja lõdvestumisel vigastuste eest, kahjustuvad Duchenne'i lihasedüstroofiaga patsientide lihased ja lakkavad lõpuks töötamast.

Duchenne'i lihasedüstroofiat võivad põhjustada mitmed geneetilised anomaaliad. Translarna on näidustatud kasutamiseks patsientidel, kelle haigus on põhjustatud düstrofiini geeni teatud defektidest (nonsenss-mutatsioonidest), mis peatavad enneaegselt normaalse düstrofiinvalgu tootmise, mistõttu düstrofiinvalk on lühem ega toimi nõuetekohaselt. Translarna toimib nende patsientide puhul viisil, mis võimaldab rakkude valgusünteesi süsteemil defekti parandada, mistõttu rakud saavad toota toimivat düstrofiinvalku.

## **Milles seisneb uuringute põhjal Translarna kasulikkus?**

Translarnat uuriti esmalt ühes 174 Duchenne'i lihasedüstroofiaga kõndimisvõimelist patsienti hõlmanud põhiuuringus, kus Translarna kahte annust (40 mg/kg ööpäevas ja 80 mg/kg ööpäevas) võrreldi platseeboga (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli patsiendi 6 minuti jooksul kõnnitud vahemaa muutus pärast 48-nädalast ravi.

Kuigi uuringuandmete esialgse analüüsi tulemused ei näidanud Translarnaga ravitud patsientide ja platseebot saanud patsientide rühmas kõnnitud vahemaa olulist erinevust, osutas edasine analüüs, et kõndimisvõime halvenes Translarna 40 mg/kg ööpäevase annuse kasutamisel vähemal määral kui platseeboga: pärast 48 ravinädalat suutsid Translarna 40 mg/kg ööpäevase annuse saanud patsiendid kõndida keskmiselt 31,7 m rohkem kui platseebot saanud patsiendid. Suuremat mõju täheldati nende patsientide alarühmas, kelle kõndimisvõime halvenes, sest patsiendid, kes võtsid 40 mg/kg ööpäevase annuse Translarnat, suutsid kõndida keskmiselt 49,9 m rohkem kui platseebot saanud patsiendid. Väiksema annuse kasulikku mõju kinnitas ka teiste efektiivsusnäitajate, sealhulgas patsientide igapäevaste tegevustega otseselt seotud näitajate paranemine. Suurema annusega (80 mg/kg ööpäevas) paranemist ei täheldatud.

Pärast esialgset heaskiitu tehti täiendav uuring 230 halveneva kõndimisvõimega patsiendil, kuid selle uuringu tulemusi peeti ebakindlateks. Andmed näitasid aga, et Translarnal oli positiivne mõju eri meetmetele, nagu aeg, mis kulus 10 meetri läbimiseks joostes/kõndides, 4 astmel üles-alla liikumiseks, ning kõndimisvõime kaotamise aeg. Mõlemas uuringus oli Translarna kasulik mõju ilmsem patsientidel, kelle haigus mõõdukalt halvenes.

## **Mis riskid Translarnaga kaasnevad?**

Translarna kõige sagedamad kõrvalnähud (esinenud enam kui 5 patsiendil 100st) on oksendamine, kõhulahtisus, iiveldus, peavalu, kõhuvalu ja kõhupuhitus. Kõrvalnähud on enamasti kerged või mõõdukad.

Translarnat ei tohi kasutada samaaegselt teatud antibiootikumide aminoglükosiididega, kui neid süstitakse otse veeni.

Translarna kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

## Miks Translarna heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Translarna kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Vaatamata täiendavate andmete vajadusele otsustas inimravimite komitee, et on tõendeid, mis viitavad sellele, et Translarna aeglustab haiguse progresseerumist ja et ravimi ohutusprofiil ei ole probleem. Komitee möönis ka Duchenne'i lihasedüstroofia tõsidust ning selle haigusega patsientide rahuldamatat ravivajadust.

Translarna müügiluba anti tingimuslikult. See tähendab, et ettevõtte peab esitama ravimi kohta veel andmeid. Euroopa Raviamet vaatab kogu uue teabe igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

## Mis teavet Translarna kohta veel oodatakse?

Translarnal on endiselt tingimuslik heakskiit ja seda turustav ettevõtte peab tegema uue uuringu, milles Translarnat võrreldakse platseeboga, et kinnitada selle efektiivsust ja ohutust.

## Mis meetmed võetakse, et tagada Translarna ohutu ja efektiivne kasutamine?

Translarna ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

## Muu teave Translarna kohta

Euroopa Komisjon andis Translarna müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidus, 31. juulil 2014.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Translarna kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Kui vajate Translarnaga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Translarna kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 12-2016.