



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Translarna atalureeni

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Translarna-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Translarnan käytöstä.

Potilas saa Translarnan käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Translarna on ja mihin sitä käytetään?

Translarna on lääke, jolla hoidetaan vähintään 5-vuotiaita liikuntakykyisiä potilaita, joilla on Duchennen lihasdystrofia. Duchennen lihasdystrofia on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa vähitellen lihasheikkoutta ja surkastuttaa lihakset. Translarnaa käytetään niiden potilaiden pienessä joukossa, joiden sairaus on tietyn dystrofiinigeenissä olevan geenivaurion ("nonsense-mutaation") aiheuttama.

Koska Duchennen lihasdystrofiaa sairastavia henkilöitä on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi. Translarna nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoidossa käytettävä lääke) 27. toukokuuta 2005.

Translarnan vaikuttava aine on atalureeni.

Miten Translarnaa käytetään?

Translarnaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa erikoislääkäri, jolla on kokemusta Duchennen/Beckerin lihasdystrofian hoidosta.

Ennen Translarna-hoidon aloittamista potilaille tehdään geenikoe, jolla varmistetaan, että heidän sairautensa on nonsense-mutaation aiheuttama ja että he näin ollen soveltuvat Translarna-hoitoon.

Translarnaa on saatavana suun kautta otettavina rakeina (125, 250 ja 1 000 mg), jotka sekoitetaan nesteeseen tai puolikiinteään ruokaan (esimerkiksi jogurttiin). Translarnaa otetaan kolmesti päivässä.



Suosittelun annos on 10 mg painokiloa kohti aamulla, 10 mg/kg päivällä ja 20 mg/kg illalla (jolloin päivittäinen kokonaisannos on 40 mg/kg). Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Translarna vaikuttaa?

Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu normaali dystrofiini, eräs lihaksissa oleva proteiini. Tämä proteiini auttaa lihaksia suojautumaan vaurioilta, kun ne supistuvat ja rentoutuvat. Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden lihakset vaurioituvat ja lakkaavat lopulta toimimasta, koska heillä ei ole tätä proteiinia.

Duchennen lihasdystrofiaa voivat aiheuttaa monet geneettiset poikkeavuudet. Translarna on tarkoitettu niille potilaille, joiden sairaus johtuu tietyistä dystrofiinigeenissä olevista vaurioista (eli nonsense-mutaatioista). Niiden vuoksi normaalin dystrofiiniproteiinin tuotanto lakkaa ennenaikaisesti, jolloin tuloksena on normaalia lyhyempi dystrofiiniproteiini, joka ei toimi kunnolla. Näillä potilailla Translarna vaikuttaa siten, että solujen proteiineja valmistava koneisto pystyy ohittamaan vaurion, jolloin solut voivat valmistaa toimintakykyistä dystrofiiniproteiinia.

Mitä hyötyä Translarnasta on havaittu tutkimuksissa?

Translarnaa tutkittiin ensin yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 174 Duchennen lihasdystrofiaa sairastavaa liikuntakykyistä potilasta. Tutkimuksessa Translarnan kahta annosta (40 mg/kg päivässä ja 80 mg/kg päivässä) verrattiin lumelääkkeeseen. Tehon pääasiallisena mittana oli muutos sen matkan pituudessa, jonka potilas pystyi kävelemään kuudessa minuutissa 48 hoitoviikon jälkeen.

Vaikka kaikkien tutkimusaineistosta saatujen tulosten alustava analyysi ei osoittanut merkittävää eroa matkoissa, jotka Translarna- ja lumelääkeryhmien potilaat pystyivät kävelemään, tarkemmat analyysit viittasivat siihen, että kävelykyky heikkeni vähemmän niillä potilailla, jotka saivat Translarnaa 40 mg/kg päivässä, lumelääkettä saaneisiin potilaisiin verrattuna: 48 hoitoviikon jälkeen 40 mg/kg Translarnaa päivässä saaneet potilaat kykenivät kävelemään keskimäärin 31,7 metriä pidemmälle kuin lumelääkettä saaneet potilaat. Voimakkaampaa vaikutusta havaittiin sellaisten potilaiden alaryhmässä, joiden kävelykyky oli huononemassa. Päivittäin 40 mg/kg Translarnaa saaneet potilaat kykenivät kävelemään keskimäärin 49,9 metriä pidemmälle kuin lumelääkettä saaneet potilaat. Pienemmän annoksen suotuisaa vaikutusta tukivat myös muissa tehon mitoissa havaitut parantumiset, myös niissä, jotka liittyivät suoraan potilaan päivittäisiin toimiin. Kävelykyvyn paranemista ei havaittu suuremmalla annoksella (80 mg/kg päivässä).

Valmisteen alustavan hyväksynnän jälkeen tehtiin toinen koe 230 potilaalla, joiden kävelykyky oli huononemassa, mutta tämän kokeen tuloksia ei pidetty vakuuttavina. Tutkimuksesta saadut tiedot osoittavat kuitenkin, että Translarnalla oli positiivinen vaikutus eri mittaustuloksiin kuten aikaan, jossa potilas juoksee/kävelee 10 metriä tai nousee ja laskee 4 porrasaskelta tai aikaan, jonka kuluessa potilas menettää kävelykykynsä. Molemmissa tutkimuksissa Translarnalla todettiin olevan enemmän suotuisia vaikutuksia potilaille, joiden sairaus huononi kohtalaisesti.

Mitä riskejä Translarnaan liittyy?

Translarnan yleisimmät sivuvaikutukset (joita on todettu useammalla kuin 5:llä potilaalla 100:sta) ovat oksentelu, ripuli, pahoinvointi, päänsärky, mahakipu ja ilmavaivat. Sivuvaikutukset ovat yleensä lieviä tai kohtalaisia.

Translarnaa ei saa käyttää samanaikaisesti tiettyjen aminoglykosidien ryhmään kuuluvien antibioottien kanssa, kun niitä annetaan injektiona laskimoon.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Translarnan ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Translarna on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Translarnan hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Lisätietojen tarpeesta huolimatta lääkevalmistekomitea katsoi, että on olemassa näyttöä siitä, että Translarna hidastaa sairauden etenemistä ja ettei sen turvallisuusprofiiliin liity suuria huolenaiheita. Komitea totesi myös, että Duchennen lihasdystrofia on vakava sairaus ja että sitä sairastavilla potilailla on ollut tähän saakka vain vähän hoitovaihtoehtoja.

Translarnalle annettiin ns. ehdollinen hyväksyntä. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoa, minkä yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Translarnasta odotetaan vielä saatavan?

Translarnalla on edelleen ehdollinen hyväksyntä, ja Translarnaa markkinoivan yhtiön on suoritettava uusi tutkimus, missä valmistetta verrataan lumelääkkeeseen sen tehon ja turvallisuuden vahvistamiseksi.

Miten voidaan varmistaa Translarnan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Translarnan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muuta tietoa Translarnasta

Euroopan komissio myönsi Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Translarnaa varten 31. heinäkuuta 2014.

Translarnaa koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Lisää tietoa Translarnalla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Translarnaa koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 12-2016.