



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Translarna ataluren

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Translarna. Objasnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Translarna.

Praktične informacije o primjeni lijeka Translarna bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Translarna i za što se koristi?

Translarna je lijek koji se koristi za liječenje bolesnika u dobi od 5 godina i starijih oboljelih od Duchenneove mišićne distrofije, koji mogu hodati. Duchenneova mišićna distrofija genetska je bolest koja postupno uzrokuje slabljenje i gubitak mišićne funkcije. Translarna se primjenjuje u malog broja bolesnika čija je bolest uzrokovana određenim genetskim nedostatkom (naziva „besmislena mutacija“) u genu za distrofin.

Budući da je broj bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom nizak, bolest se smatra „rijetkom“ te se lijek Translarna od 27. svibnja 2005. označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti.

Sadrži djelatnu tvar ataluren.

Kako se Translarna koristi?

Translarna se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje treba započeti liječnik specijalist s iskustvom u liječenju Duchenneove/Beckerove mišićne distrofije.

Prije početka liječenja lijekom Translarna, potrebno je provesti genetsko testiranje bolesnika kako bi se potvrdilo da je njihova bolest uzrokovala besmislena mutacijom te da je stoga terapija lijekom Translarna za njih prihvatljiva.

Lijek Translarna dostupan je u granulama (od 125, 250 i 1 000 mg) koje se uzimaju kroz usta nakon što se pomiješaju s tekućom ili polukrutom hranom (poput jogurta). Translarna se uzima tri puta na



dan, a preporučena doza je 10 mg/kg (10 mg po kilogramu tjelesne težine) ujutro, 10 mg/kg u podne i 20 mg/kg uvečer (što čini ukupnu dnevnu dozu od 40 mg/kg). Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Translarna?

Bolesnicima oboljelima od Duchenneove mišićne distrofije nedostaje normalan distrofin, protein koji je prisutan u mišićima. Budući da taj protein pomaže pri zaštiti mišića od ozljeda kada se mišići stežu i opuštaju, u bolesnika oboljelih od Duchenneove mišićne distrofije dolazi do oštećenja mišića i oni naposljetku prestaju funkcionirati.

Duchenneovu mišićnu distrofiju može uzrokovati niz genetskih abnormalnosti. Lijek Translarna primjenjuje se u bolesnika čija je bolest uzrokovana prisutnošću određenih nedostataka (besmislenih mutacija) gena za distrofin koji prijevremeno prekidaju proizvodnju normalnog proteina distrofina, što uzrokuje skraćivanje distrofina koji ne funkcionira ispravno. Translarna djeluje u tih bolesnika tako što omogućuje staničnom mehanizmu koji proizvodi protein da prebrodi nedostatak, što stanicama omogućuje proizvodnju funkcionalnog distrofina.

Koje su koristi lijeka Translarna utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Translarna prvo je ispitan u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 174 bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji mogu hodati. Dvije doze lijeka Translarna (40 mg/kg dnevno i 80 mg/kg dnevno) uspoređene su s placebom (prividnim liječenjem). Glavno mjerilo djelotvornosti bila je promjena udaljenosti koju je bolesnik mogao prehodati u roku od šest minuta nakon 48 tjedana liječenja.

Iako početna analiza rezultata svih podataka ispitivanja nije dokazala značajnu razliku između udaljenosti koje su mogli prehodati bolesnici u skupini koja je uzimala lijek Translarna i onih koji su primali placebo, dodatna analiza ukazala je na činjenicu da se sposobnost hodanja pogoršala manje pri dozi od 40 mg/kg dnevno lijeka Translarna nego pri primjeni placeba: nakon 48 tjedana liječenja bolesnici koji su primali 40 mg/kg dnevno lijeka Translarna mogli su prosječno prehodati 31,7 metara više od onih koji su primali placebo. Izraženiji učinak primijećen je u potskupini bolesnika čija sposobnost hodanja se pogoršavala, pri čemu su bolesnici koji su primali lijek Translarna u dozi od 40 mg/kg mogli prosječno prehodati 49,9 metara više od onih koji su primali placebo. U prilog povoljnom učinku manje doze govore i poboljšanja ostalih mjerila djelotvornosti lijeka, uključujući i ona koja su izravno povezana s dnevnim aktivnostima bolesnika. Nikakva poboljšanja nisu uočena kod većih doza (80 mg/kg/dan).

Nakon početnog odobrenja provedeno je dodatno ispitivanje na skupini od 230 bolesnika čija se sposobnost hodanja pogoršavala, ali rezultati su bili nedorečeni. Međutim, podatci ukazuju na činjenicu da lijek Translarna ima pozitivan učinak na različita mjerila, poput vremena u kojem bolesnik može pretrčati/prehodati 10 metara, u kojem se može popeti/spustiti uz/niz 4 stepenice i vremena do gubitka sposobnosti hodanja. U oba ispitivanja koristi lijeka Translarna bile su očitije u onih bolesnika u kojih je bolest umjereno napredovala.

Koji su rizici povezani s lijekom Translarna?

Najčešće nuspojave lijeka Translarna (uočene u više od 5 na 100 osoba) su povraćanje, proljev, mučnina, glavobolja, bol u želucu i nadutost. Ove su nuspojave većinom blage ili umjerene.

Translarna se ne smije koristiti istovremeno s određenim antibioticima poznatim pod nazivom aminoglikozidi ako se oni primjenjuju injekcijom u venu.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Translarna potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Translarna odobren?

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi lijeka Translarna nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za primjenu u Europskoj uniji.

Iako su potrebni dodatni podatci, CHMP smatra da postoje dokazi koji ukazuju na to da lijek Translarna usporava napredovanje bolesti te da njegov sigurnosni profil ne izaziva veću zabrinutost. Odbor je također potvrdio ozbiljnost Duchenneove mišićne distrofije i nezadovoljenu medicinsku potrebu bolesnika s tim stanjem.

Za lijek Translarna izdano je „uvjetno odobrenje“. To znači da se očekuju dodatni podatci o lijeku koje tvrtka mora dostaviti. Svake godine Europska agencija za lijekove pregledava sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Translarna?

Za lijek Translarna i dalje je na snazi uvjetno odobrenje, a tvrtka koja ga stavlja u promet mora provesti novo ispitivanje u kojem će se lijek Translarna usporediti s placebom kako bi se potvrdila njegova djelotvornost i sigurnost primjene.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Translarna?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Translarna nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Translarna

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Translarna na snazi u Europskoj uniji od 31. srpnja 2014.

Cjeloviti EPAR za lijek Translarna nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o terapiji lijekom Translarna pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Translarna dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ovaj sažetak posljednji je put ažuriran u 12. 2016.