



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára**

---

# Translarna

ataluren

Ez a dokumentum a Translarna-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Translarna alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Translarna alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

## **Milyen típusú gyógyszer a Translarna és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Translarna-t olyan, 5 éves vagy idősebb, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák, akik képesek járni. A Duchenne-féle muszkuláris disztrófia egy genetikai betegség, amely fokozatosan gyengeséget és az izomfunkció elvesztését okozza. A Translarna-t a betegek azon kis csoportjánál alkalmazzák, akiknél a betegséget a disztrófin gén speciális genetikai defektusa (úgynevezett „nonszensz mutáció”) okozza.

Mivel a Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Translarna-t 2005. május 27-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

A Translarna hatóanyagként atalurent tartalmaz.

## **Hogyan kell alkalmazni a Translarna-t?**

A Translarna csak receptre kapható, és kizárólag a Duchenne/Becker-féle muszkuláris disztrófia kezelésében tapasztalattal rendelkező szakorvos kezdheti meg a kezelést.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



A Translarna kezelés megkezdése előtt a betegeknél genetikai vizsgálatot végeznek annak megerősítésére, hogy a betegséget egy nonszensz mutáció okozza, és ezért alkalmasak a Translarna kezelésre.

A Translarna granulátum (125, 250 és 1000 mg) formájában kapható, amelyet folyadékba vagy félig folyékony ételbe (például joghurt) keverve, szájon át kell bevenni. A Translarna-t naponta háromszor kell bevenni, és a javasolt adag 10 mg/ttkg (10 mg testtömeg-kilogrammonként) reggel, 10 mg/ttkg délben és 20 mg/ttkg este (összesen 40 mg/ttkg). További információ a betegtájékoztatóban található.

## Hogyan fejti ki hatását a Translarna?

A Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegeknél hiányzik a normális disztrofin, amely az izmokban található fehérje. Mivel ez a fehérje segít megvédeni az izmokat a sérüléstől, ahogy azok összehúzódnak és elernyednek, a Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegeknél az izmok károsodnak, és végül leáll a működésük.

A Duchenne-féle muszkuláris disztrófiát számos genetikai elváltozás okozhatja. A Translarna olyan betegeknél alkalmazható, akiknél a betegséget bizonyos defektusok (úgynevezett nonszensz mutációk) okozzák a disztrofin génben, amelyek idő előtt leállítják a normális disztrofin fehérje termelését, és egy rövidebb disztrofin fehérjét eredményeznek, amely nem működik megfelelően. A Translarna azáltal hat ezeknél a betegeknél, hogy lehetővé teszi a sejtekben a fehérjetermelő rendszer számára, hogy továbbhaladjon a defektuson, így a sejtek képessé válnak egy működőképes disztrofin fehérje előállítására.

## Milyen előnyei voltak a Translarna alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Translarna-t először egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyben 174, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő, járóképes beteg vett részt, és kétféle dózisú Translarna-t (40 mg/ttkg naponta, illetve 80 mg/ttkg naponta) hasonlítottak össze placebóval (hatóanyag nélküli kezelés). A hatásosság fő mértéke a beteg által hat perc alatt lesétált távolságban, 48 hetes kezelést követően bekövetkezett változás volt.

Bár a vizsgálatból származó összes adat eredményeinek kezdeti elemzése nem igazolt szignifikáns különbséget a távolságban, amelyet a Translarna, illetve placebo csoportban lévő betegek képesek voltak megtenni, a további elemzések arra utaltak, hogy a járóképeség kisebb mértékben csökkent a napi 40 mg/ttkg Translarna esetén, mint placebóval: 48 hetes kezelést követően a napi 40 mg/ttkg Translarna-t kapó betegek átlagosan 31,7 méterrel többet tudtak megtenni, mint a placebóval kezelt betegek. Jelentősebb hatást észleltek abban a betegcsoportban, akiknél a járóképeség romlott: a napi 40 mg/ttkg Translarna-t kapó betegek átlagosan 49,9 méterrel többet tudtak megtenni, mint a placebóval kezelt betegek. Az alacsonyabb dózis előnyös hatását a hatékonyság egyéb mutatóinak javulása is alátámasztotta, beleértve azokat, amelyek közvetlenül kapcsolódnak a betegek napi tevékenységeihez. A magasabb dózis (80 mg/ttkg/nap) esetében nem mutattak ki további javulást.

Az eredeti engedélyezést követően egy további vizsgálatot végeztek 230 olyan beteg bevonásával, akiknél a járóképeség romlott, azonban a vizsgálat eredményei nem voltak meggyőzőek. Mindemellett az adatok azt mutatták, hogy a Translarna előnyösen hatott a különféle mértékekre, így a 10 méteres futás/gyaloglás idejére, a 4 lépcsőn fel- és lemenés idejére és a járóképeség fenntartásának idejére is. Mindkét vizsgálatban a Translarna előnyös hatásai nyilvánvalóbbak voltak azoknál a betegeknél, akiknél a betegség mérsékelten súlyosbodott.

## Milyen kockázatokkal jár a Translarna alkalmazása?

A Translarna leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül több mint 5-nél jelentkezik) a hányás, hasmenés, hányinger, fejfájás, gyomorfájdalom és felfúvódás (bélgázok). A mellékhatások általában enyhék vagy közepesen súlyosak voltak.

A Translarna nem alkalmazható egyidejűleg bizonyos antibiotikumokkal, úgynevezett aminoglikozidokkal, ha ezeket vénás injekcióban adják be.

A Translarna alkalmazásával kapcsolatos összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

## Miért engedélyezték a Translarna forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Translarna alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Annak ellenére, hogy további adatok szükségesek, a CHMP úgy ítélte meg, hogy van tudományos bizonyíték arra, hogy a Translarna lassítja a betegség súlyosbodását, és biztonságossági profilja nem jelent jelentősebb problémát. A bizottság továbbá figyelembe vette a Duchenne-féle muszkuláris disztrófia súlyosságát, valamint az e betegségben szenvedő betegek orvosi kezelésével kapcsolatos kielégítetlen igényt.

A Translarna-t „feltételes jóváhagyással” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

## Milyen információk várhatók még a Translarna-val kapcsolatban?

A Translarna feltételes jóváhagyással engedélyezett, a forgalmazó vállalatnak új vizsgálatot kell végeznie, amelyben a Translarna-t placebóval hasonlítják össze a gyógyszer hatékonysága és biztonságossága megerősítése érdekében.

## Milyen intézkedések vannak folyamatban a Translarna biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Translarna biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

## A Translarna-val kapcsolatos egyéb információ

2014. július 31-én az Európai Bizottság a Translarna-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Translarna-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Amennyiben a Translarna-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Translarna-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 12-2016.