



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Translarna

ataluren

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Translarna. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Translarna.

Per informazioni pratiche sull'uso di Translarna i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Translarna?

Translarna è un medicinale indicato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne nei pazienti di età superiore ai cinque anni che sono in grado di camminare. La distrofia muscolare di Duchenne è una malattia genetica che gradualmente causa debolezza e perdita della funzione muscolare. Translarna è usato nel gruppo ristretto di pazienti la cui malattia è dovuta a uno specifico difetto genetico (detto "mutazione nonsense") nel gene della distrofina.

Poiché il numero di pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne è basso, la malattia è considerata "rara" e Translarna è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 27 maggio 2005.

Translarna contiene il principio attivo ataluren.

Come si usa Translarna?

Translarna può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato da un medico specialista esperto nella gestione della distrofia muscolare di Duchenne/Becker.

Prima dell'inizio del trattamento con Translarna, i pazienti devono essere sottoposti a un test genetico a conferma del fatto che la malattia è causata da una mutazione nonsense e che, di conseguenza, è trattabile con Translarna.



Translarna è disponibile sotto forma di granulato (125, 250 e 1 000 mg) da assumere per bocca miscelato a cibo liquido o semisolido (come lo yogurt). Translarna va assunto tre volte al giorno alla dose raccomandata di 10 mg/kg (mg per chilogrammo di peso corporeo) al mattino, di 10 mg/kg a mezzogiorno e di 20 mg/kg alla sera (per una dose complessiva di 40 mg/kg). Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Translarna?

I pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne presentano un deficit della normale distrofina, una proteina che si trova nei muscoli. Poiché questa proteina contribuisce a proteggerli dai danni durante la contrazione e il rilassamento, nei pazienti con distrofia muscolare di Duchenne i muscoli subiscono lesioni e nel tempo perdono le proprie funzioni.

La distrofia muscolare di Duchenne può essere causata da una serie di anomalie genetiche. Translarna è usato nei pazienti la cui malattia è dovuta alla presenza di taluni difetti (detti mutazioni nonsense) nel gene della distrofina, che bloccano prematuramente la produzione della forma normale di tale proteina, dando origine a una forma più corta di distrofina, che non è in grado di funzionare adeguatamente. Translarna agisce in questi pazienti consentendo all'apparato delle cellule che produce le proteine di ovviare al difetto in modo che le cellule riescano a produrre una distrofina funzionale.

Quali benefici di Translarna sono stati evidenziati negli studi?

Translarna è stato dapprima esaminato nell'ambito di uno studio principale condotto su 174 pazienti con distrofia muscolare di Duchenne in grado di camminare, nei quali due dosi del medicinale (40 mg/kg giornalieri e 80 mg/kg giornalieri) sono state confrontate con placebo (trattamento fittizio). La misura principale dell'efficacia era la variazione della distanza che i pazienti riuscivano a percorrere camminando per sei minuti dopo 48 settimane di trattamento.

Benché da una prima analisi dei risultati di tutti i dati raccolti dallo studio non fossero emerse differenze significative nelle distanze percorse dai pazienti trattati con Translarna e dai soggetti che avevano assunto un placebo, ulteriori analisi hanno evidenziato che la capacità di camminare si riduceva meno nel gruppo trattato giornalmente con 40 mg/kg di Translarna rispetto al gruppo del placebo: dopo 48 settimane di trattamento, i pazienti che assumevano 40 mg/kg al giorno di Translarna erano in grado di camminare in media 31,7 metri in più rispetto a quelli che assumevano placebo. Un effetto più marcato è stato osservato in un sottogruppo di pazienti la cui capacità di camminare stava peggiorando: quelli che assumevano 40 mg/kg al giorno di Translarna erano in grado di camminare in media 49,9 metri più di quelli che assumevano placebo. L'effetto benefico della dose più bassa è stato corroborato anche da miglioramenti di altri parametri dell'efficacia, tra cui quelli direttamente legati alle attività quotidiane dei pazienti. Non sono invece stati osservati miglioramenti con la dose più alta (80 mg/kg/die).

Un ulteriore studio condotto su 230 pazienti la cui capacità di camminare stava peggiorando è stato approvato e portato a termine, ma ha dato risultati che sono stati considerati non conclusivi. Tuttavia, i relativi dati hanno evidenziato che Translarna aveva un effetto positivo su diversi criteri di misurazione, quali il tempo impiegato per percorrere 10 metri al passo o di corsa e per salire o scendere quattro gradini nonché il tempo intercorso fino alla perdita della capacità di camminare. In entrambi gli studi, i benefici di Translarna apparivano più evidenti nei pazienti con un peggioramento moderato della malattia.

Quali sono i rischi associati a Translarna?

Gli effetti indesiderati più comuni di Translarna (che possono riguardare più di 5 persone su 100) sono vomito, diarrea, nausea, mal di testa, mal di stomaco e flatulenza. Solitamente tali effetti si manifestano con gravità lieve o moderata.

Translarna non deve essere usato in concomitanza con taluni antibiotici noti come aminoglicosidi, se somministrati per via endovenosa.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Translarna e delle relative limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Translarna è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Translarna sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Nonostante l'esigenza di ulteriori dati, il CHMP ha rilevato come vi siano elementi a riprova del fatto che Translarna rallenta la progressione della malattia e che il suo profilo di sicurezza non desta preoccupazioni importanti. Il comitato ha altresì riconosciuto la gravità della distrofia muscolare di Duchenne e il fatto che le esigenze mediche dei pazienti con tale affezione non sono soddisfatte.

Translarna ha ottenuto una "approvazione condizionata". Questo significa che in futuro saranno disponibili ulteriori informazioni sul medicinale, che la ditta è tenuta a fornire. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Translarna?

Translarna rimane soggetto ad approvazione condizionata: la ditta che lo commercializza è tenuta a condurre un nuovo studio in cui il medicinale è confrontato con un placebo per confermarne l'efficacia e la sicurezza.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Translarna?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Translarna sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Translarna

Il 31 luglio 2014 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Translarna, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Translarna consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicines/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Translarna, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Translarna è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicines/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 12-2016.