



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiamajam visuomenėi

Translarna atalurenas

Šis dokumentas yra Translarna Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatytų jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Translarna.

Praktinės informacijos apie Translarna vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Translarna ir kam jis vartojamas?

Translarna skirtas gydyti Diušeno (*Duchenne*) raumenų distrofija sergančius paeiti galinčius 5 metų ir vyresnius pacientus. Diušeno raumenų distrofija yra genetinė liga, kuri pamažu sukelia silpnumą ir raumenų funkcijos nykimą. Translarna skiriamas nedideliame skaičiui pacientų, kurių ligą sukelia *nonsense* tipo distrofino geno mutacija (genų defektas).

Kadangi Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta ir 2005 m. gegužės 27 d. Translarna buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Translarna sudėtyje yra veikliosios medžiagos atalureno.

Kaip vartoti Translarna?

Translarna galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą gali pradėti tik gydytojai specialistai, turintys Diušeno ar Bekerio (*Becker*) raumenų distrofijos gydymo patirties.

Prieš pradėdant gydymą Translarna, *nonsense* tipo distrofino geno mutacija turi būti patvirtinta genetiniais tyrimais, siekiant įsitikinti, kad pacientus galima gydyti Translarna.

Gaminamos Translarna granulės (125, 250 ir 1 000 mg), kurias reikia vartoti sumaišytas su skysčiu ar tirštu maistu (pavyzdžiui, jogurtu). Translarna vartojamas tris kartus per parą. Rekomenduojama dozė



iš ryto yra 10 mg/kg (10 mg kilogramui kūno svorio), vidurdienį – 10 mg/kg, o vakare – 20 mg/kg (iš viso 40 mg/kg per parą). Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Translarna?

Diušeno raumenų distrofija sergantys pacientai neturi normalaus distrofino – raumenyse randamo baltymo. Kadangi šis baltymas padeda apsaugoti raumenis nuo sužeidimo, kai jie susitraukia ir atsipalaiduoja, Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų raumenys pažeidžiami ir galiausiai nustoja funkcionuoti.

Diušeno raumenų distrofiją gali sukelti keletas genetinių anomalijų. Translarna skirtas pacientams, kurių ligą sukėlė tam tikri distrofino geno defektai (vadinami nonsense tipo mutacijomis), dėl kurių pirmiau laiko nutrūksta normalaus distrofino baltymo gamyba, todėl distrofino baltymas sutrumpėja ir neveikia taip, kaip turėtų. Tokių pacientų organizme Translarna įgalina baltymus gaminantį aparatą apeiti šį defektą, suteikdamas galimybę ląstelėms gaminti funkcionuojantį distrofino baltymą.

Kokia Translarna nauda nustatyta tyrimuose?

Translarna iš pradžių buvo tiriamas viename pagrindiniame tyrime, kuriame dalyvavo 174 vaikščioti galintys Diušeno raumenų distrofija sergantys pacientai ir kuriame dvi Translarna dozės (40 ir 80 mg/kg kūno svorio per parą) buvo lyginamos su placebo (vaistu be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo atstumo, kurį pacientai galėjo nueiti per šešias minutes po 48 gydymo savaitių, pokytis.

Nors atlikus pirminę visų tyrimo metu surinktų duomenų analizę, reikšmingo atstumo, kurį pavyko nueiti Translarna ir placebo vartojusiems pacientams, skirtumo nenustatyta, tolesnės analizės parodė, kad vartojant 40 mg/kg Translarna per parą, gebėjimas vaikščioti susilpnėjo mažiau, nei vartojant placebo: po 48 gydymo savaitių 40 mg/kg Translarna per parą vartoję pacientai nuėjo vidutiniškai 31,3 metro daugiau, nei vartoję placebo. Didesnis poveikis nustatytas tame pacientų pogrupyje, kurių gebėjimas vaikščioti prastėjo – kasdien 40 mg/kg Translarna dozę vartoję pacientai vidutiniškai galėjo nueiti 49,9 metro toliau nei vartoję placebo. Šį naudingą mažesnės dozės poveikį taip pat patvirtino pagerėję kiti veiksmingumo rodikliai, įskaitant rodiklius, tiesiogiai susijusius su pacientų kasdiene veikla. Vartojant didesnę dozę (80 mg/kg per parą), teigiamas poveikis nesustiprėjo.

Įregistravus vaistą, atliktas dar vienas tyrimas su 230 pacientų, kurių vaikščiojimo gebėjimai silpsta, tačiau tyrimo rezultatai laikyti nepakankamais. Tačiau duomenys rodo, kad Translarna teigiamai veikia įvairius rodiklius, pavyzdžiui, laiką, per kurį nueinama (nubėgama) 10 metrų, laiką, per kurį užlipami ar nulipami 4 laiptai, ir laiką iki tol, kol pacientas nebegali paeiti. Abiejuose tyrimuose teigiamas Translarna poveikis atrodė pastebimesnis tiems šia liga sergantiems pacientams, kurių būklė buvo vidutinio sunkumo.

Kokia rizika siejama su Translarna vartojimu?

Dažniausi Translarna šalutiniai reiškiniai (nustatyti daugiau kaip 5 žmonėms iš 100) yra vėmimas, viduriavimas, pykinimas, galvos skausmas, pilvo skausmas ir pilvo pūtimas. Šie šalutiniai reiškiniai dažniausia buvo nestiprūs arba vidutinio stiprumo.

Translarna negalima vartoti vienu metu su kai kuriais antibiotikais, vadinamaisiais aminoglikozidais, kurie švirkščiami į veną.

Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų vartojant Translarna sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Translarna buvo patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Translarna nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Nepaisant negausių turimų duomenų, CHMP nusprendė, kad yra įrodymų, rodančių, jog Translarna stabdo ligos progresavimą ir jog vaisto saugumo charakteristikos didelio susirūpinimo nekelia. Komitetas taip pat pripažino, kad Diušeno raumenų distrofija – sunki liga ir kad ja sergantiems pacientams gydymo priemonių trūksta.

Translarna registracijos pažymėjimas yra sąlyginis. Tai reiškia, kad ateityje bendrovė privalės pateikti daugiau duomenų apie šį vaistą. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Translarna?

Translarna registracijos pažymėjimas ir toliau lieka sąlyginis. Translarna prekiaujanti bendrovė turės atlikti naują tyrimą, kuriame būtų lyginamas Translarna ir placebo poveikis, siekiant įsitikinti vaisto saugumu ir veiksmingumu.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Translarna vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Translarna vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Translarna

Europos Komisija 2014 m. liepos 31 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Translarna registracijos pažymėjimą.

Išsamų Translarna EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Translarna rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Translarna santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2016-12.