



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

---

# Translarna ataluren

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Translarna. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tagħha. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Translarna.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Translarna, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispizjar tagħhom.

## X'inhu Translarna u għal xiex jintuża?

Translarna huwa medicina li tintuża fil-kura ta' pazjenti minn 5 snin 'il fuq li għandhom distrofija muskolari Duchenne u li jistgħu jimxu. Distrofija muskolari Duchenne hija marda ġenetika li gradwalment tikkawża dgħjufija u telf tal-funzjoni tal-muskoli. Translarna jintuża fil-grupp żgħir ta' pazjenti li l-marda tagħhom hija kkawżata minn difett ġenetiku speċifiku (imsejjaħ 'mutazzjoni nonsense') fil-gene distrofin.

Minhabba li n-numru ta' pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne huwa wiehed baxx, il-marda hija kkunsidrata bħala 'rari', u Translarna ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mard rari) fis-27 ta' Mejju 2005.

Translarna fih is-sustanza attiva ataluren.

## Kif jintuża Translarna?

Translarna jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda minn tabib speċjalista b'esperjenza fil-ġestjoni ta' distrofija muskolari Duchenne/Becker.

Qabel jibdew kura b'Translarna, il-pazjenti isirihom test ġenetiku biex jiġi kkonfermat li l-marda tagħhom hija minhabba mutazzjoni nonsense u li għalhekk huwa xieraq li jkollhom kura b'Translarna.



Translarna jiġi bħala granuli (125, 250 u 1,000 mg) biex jittieħdu mill-ħalq wara li jithalltu ma' likwidu jew ikel semisolidu (bħal jogurt). Translarna jittieħed tliet darbiet kuljum, u d-doża rakkomandata hija ta' 10 mg/kg (10 mg għal kull kilogramma ta' piż tal-ġisem) filgħodu, 10 mg/kg f'nofsinhar u 20 mg/kg filgħaxija (li jagħmlu doża totali ta' 40 mg/kg). Għal iktar informazzjoni, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Kif jaħdem Translarna?**

Il-pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne għandhom nuqqas ta' distrofin normali, proteina li tinstab fil-muskoli. Minħabba li din il-proteina tgħin tiproteġi l-muskoli minn ħsara waqt li l-muskoli jikkontrattaw u jirrilassaw, f'pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne, il-muskoli ssirilhom il-ħsara u eventwalment jieqfu jaħdmu.

Distrofija muskolari Duchenne tista' tiġi kkawżata minn numru ta' anormalitajiet ġenetiċi. Translarna jintuża f'pazjenti li l-marda tagħhom hija minħabba l-preżenza ta' ċertu difetti (imsejħin mutazzjonijiet nonsense) fil-ġene ta' distrofin li jwaqqfu b'mod prematur il-produzzjoni ta' proteina distrofin normali, li twassal għal distrofin imqassar li ma jaħdimx sew. Translarna jaħdem f'dawn il-pazjenti billi jippermetti l-apparat li jagħmel il-proteini fiċ-ċelloli li jaqbez id-difett, u dan iħalli liċ-ċelloli jipproduċu proteina distrofin li taħdem.

## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Translarna li ntwerew fl-istudji?**

Translarna ġie studjat l-ewwel fi studju ewlieni wieħed li involva 174 individwu b'distrofija muskolari Duchenne li setgħu jimxu, fejn żewġ dożi ta' Translarna (40 mg/kg kuljum u 80 mg/kg kuljum) tqabblu ma' placebo (kura finta). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fid-distanza li l-pazjenti rnexxielhom jimxu f'sitt minuti wara 48 ġimgħa ta' kura.

Għalkemm analiżi inizjali tar-riżultati tad-data kollha mill-istudju ma wriet ebda differenza sinifikanti fid-distanzi li pazjenti fil-gruppi ta' Translarna u placebo setgħu jimxu, iktar analiżi indikat li l-abbiltà ta' mixi naqset fuq livell inqas b'40 mg/kg kuljum ta' Translarna milli bi placebo: wara 48 ġimgħa ta' kura il-pazjenti li ngħataw 40 mg/kg kuljum ta' Translarna setgħu jimxu medja ta' 31.7 metri iktar minn dawk li ngħataw il-placebo. Effett ikbar inħass fis-sottogrupp ta' pazjenti li l-abbiltà ta' mixi kienet sejra lura fejn il-pazjenti li kienu qed jingħataw 40 mg/kg kuljum ta' Translarna setgħu jimxu medja ta' 49.9 metri iktar minn dawk ngħataw il-placebo. Dan l-effett benefiċjali tad-doża aktar baxxa kien appoġġjat ukoll b'titjib f'kejl ieħor ta' effikaċja, inklużi dawk marbutin direttament mal-attivitajiet ta' kuljum tal-pazjenti. Ma deher ebda titjib bid-doża oġġla (80 mg/kg/kuljum).

Studju ieħor f'230 pazjent b'abbiltà ta' mixi li kienet sejra lura tlesta wara approvazzjoni inizjali, iżda r-riżultati tqiesu inkonklussivi. Madankollu, id-data indikat li Translarna kellu effett pożittiv fuq miżuri differenti bħall-ħin għall-ġiri/mixi ta' 10 metri, ħin għat-tluġ u l-inzul ta' 4 targiet u l-ħin għat-telfien tal-abbiltà tal-mixi. Fiż-żewġ studji, l-effetti benefiċjali ta' Translarna deher li kienu iktar evidenti f'dawk il-pazjenti li kellhom il-marda sejra lura b'mod moderat.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Translarna?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Translarna (li deheru f'aktar minn 5 persuni minn kull 100) huma remettar, dijarea, nawżja (tħossok ma tiflaħx), uġiġħ ta' ras, uġiġħ fl-istonku u flatulenza. L-effetti sekondarji kienu normalment ħfief jew moderati fil-gravità tagħhom.

Translarna ma għandux jintuża fl-istess ħin ma' ċerti antibijotiċi magħrufin bħala aminoglikosidi meta dawn jingħataw b'injezzjoni ġewwa vina.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha bi Translarna, ara l-fuljett ta' tagħrif.

## **Għaliex gie approvat Translarna?**

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija ddecieda li l-benefiċċji ta' Translarna huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE.

Minkejja l-ħtieġa għal iktar data, is-CHMP kkonsidra li hemm evidenza li tissuġġerixxi li Translarna jnaqqas il-progressjoni tal-marda u li l-profil ta' sigurtà tagħha mhux ta' preokkupazzjoni kbira. Il-Kumitat irrikonoxxa wkoll il-gravità tad-distrofija muskulari Duchenne u l-ħtieġa medika mhux milħuqa ta' pazjenti b'din il-kundizzjoni.

Translarna ingħata 'approvazzjoni b'kondizzjoni'. Dan ifisser li għad hemm aktar evidenza x'tingħata dwar il-mediċina, li l-kumpanija hija mitluba tipprowdi. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ser tirrevedi kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u dan is-sommarju jiġi aġġornat kif meħtieġ.

## **Liema informazzjoni għadha mistennija għal Translarna?**

Translarna Jibqa' fuq approvazzjoni b'kondizzjoni, bil-kumpanija li tpoġġi Translarna fis-suq mitluba twettaq studju ġdid u tqabbel Translarna ma' placebo biex tikkonferma l-effikaċja u s-sigurtà tiegħu.

## **X'mizuri qegħdin jitteħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Translarna?**

Ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Translarna ġew inkluzi fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif.

## **Informazzjoni oħra dwar Translarna**

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Translarna fil-31 ta' Lulju 2014.

L-EPAR sñih għal Translarna jista' jinstab fuq is-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Translarna, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Translarna jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju gie aġġornat l-aħħar f'12-2016.