



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Translarna ataluren

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego produktu Translarna. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Translarna.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Translarna należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Translarna i w jakim celu się go stosuje?

Translarna to lek przeznaczony do stosowania u pacjentów w wieku od 5 lat z dystrofią mięśniową Duchenne'a, którzy są w stanie chodzić. Dystrofia mięśniowa Duchenne'a to choroba genetyczna, w przebiegu której stopniowo postępuje osłabienie i zanik mięśni. Lek Translarna stosuje się w małej grupie pacjentów, u których choroba jest spowodowana przez określoną wadę genetyczną (nazywaną mutacją nonsensowną) w genie dystrofiny.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 27 maja 2005 r. produkt Translarna uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Lek zawiera substancję czynną ataluren.

Jak stosować produkt Translarna?

Lek Translarna wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinno zostać rozpoczęte przez lekarza specjalistę z doświadczeniem w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a/Beckera.

Przed rozpoczęciem leczenia produktem Translarna u pacjentów zostanie wykonane badanie genetyczne w celu potwierdzenia, że ich choroba jest wynikiem mutacji nonsensownej i w związku z tym mogą przyjmować lek Translarna.



Lek Translarna jest dostępny w postaci granulek (125, 250 i 1000 mg) do przyjmowania doustnego po zmieszaniu z płynnym lub półpłynnym jedzeniem (takim jak jogurt). Lek Translarna przyjmuje się trzy razy na dobę, a zalecana dawka wynosi 10 mg/kg (10 mg na kilogram masy ciała) w godzinach porannych, 10 mg/kg w południe i 20 mg/kg w godzinach wieczornych (całkowita dawka dobową wynosi 40 mg/kg). Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Translarna?

U pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a brakuje prawidłowej dystrofiny, białka znajdującego się w mięśniach. Ponieważ białko to pomaga chronić mięśnie przed urazami podczas skurczu i rozkurczu, u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a dochodzi do uszkodzenia mięśni, a w końcu do utraty ich funkcjonalności.

Dystrofię mięśniową Duchenne'a może powodować wiele różnych nieprawidłowości genetycznych. Lek Translarna jest przeznaczony do stosowania u pacjentów, u których choroba jest spowodowana przez określone wady (tzw. mutacje nonsensowne) w genie dystrofiny, powodujące przedwczesne zatrzymanie wytwarzania białka dystrofiny, w wyniku czego powstaje skrócone białko, które nie funkcjonuje prawidłowo. Lek Translarna działa u tych pacjentów poprzez umożliwienie mechanizmom wytwarzającym białka w komórkach ominięcia wady, co pozwala komórkom wytwarzać funkcjonalną dystrofinę.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Translarna zaobserwowano w badaniach?

Lek Translarna oceniano najpierw w jednym badaniu głównym z udziałem 174 pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a, będących w stanie chodzić, w którym dwie dawki leku Translarna (40 mg/kg na dobę i 80 mg/kg na dobę) porównano z placebo (leczenie pozorowane). Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana odległości, którą pacjent był w stanie przejść w ciągu sześciu minut po 48 tygodniach leczenia.

Choć wstępna analiza wyników wszystkich danych z badania nie wykazała istotnej różnicy odległości, którą byli w stanie przejść pacjenci należący do grup przyjmujących lek Translarna lub placebo, dodatkowe analizy wskazały, że zdolność chodzenia pogorszyła się w mniejszym stopniu po przyjęciu leku Translarna w dawce 40 mg/kg na dobę niż po przyjęciu placebo: po 48 tygodniach leczenia pacjenci przyjmujący dawkę 40 mg/kg leku Translarna na dobę byli w stanie przejść średnio o 31,7 metra więcej niż pacjenci przyjmujący placebo. Bardziej wyraźny efekt zaobserwowano w podgrupie pacjentów, których zdolność chodzenia pogarszała się: pacjenci przyjmujący dawkę leku Translarna 40 mg/kg na dobę byli w stanie przejść średnio o 49,9 metra więcej niż pacjenci przyjmujący placebo. Korzystny efekt niższej dawki został potwierdzony poprawą wyrażoną innymi kryteriami oceny skuteczności, m.in. tymi bezpośrednio związanymi z codziennymi czynnościami wykonywanymi przez pacjentów. Nie stwierdzono poprawy po podaniu wyższej dawki (80 mg/kg/dobę).

Kolejne badanie u 230 pacjentów z pogarszającą się zdolnością chodzenia ukończono po uzyskaniu wstępnego zatwierdzenia, ale jego wyniki uznano za nierozstrzygające. Jednak dane wskazały, że lek Translarna ma pozytywny wpływ na różne kryteria oceny skuteczności, jak np. czas przebiegnięcia/przejścia 10 metrów, czas wejścia i zejścia z czterech schodów oraz czas do utraty zdolności chodzenia. W obu badaniach korzystny wpływ leku Translarna uznano za bardziej widoczny u pacjentów z umiarkowanym nasileniem się choroby.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Translarna?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem produktu Translarna (obserwowane u więcej niż 5 osób na 100) to wymioty, biegunka, nudności (uczucie mdłości), ból głowy, ból brzucha i wzdęcia. Działania niepożądane mają zwykle charakter łagodny albo umiarkowany.

Leku Translarna nie wolno stosować jednocześnie z niektórymi antybiotykami, znanymi jako aminoglikozydy, jeśli są podawane w postaci wstrzyknięć dożylnych.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem produktu Translarna znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Translarna?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Translarna przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Pomimo konieczności uzyskania dodatkowych danych CHMP uznał, że istnieją dowody sugerujące, że lek Translarna spowalnia postęp choroby i że profil bezpieczeństwa jego stosowania nie wzbudza większych obaw. Ponadto Komitet odnotował, jak poważną chorobą jest dystrofia mięśniowa Duchenne'a, i wskazał na niezaspokojoną potrzebę leczenia pacjentów z tą chorobą.

Lek Translarna został warunkowo dopuszczony do obrotu. Oznacza to, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku, które firma ma obowiązek dostarczyć. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Translarna?

Lek Translarna wciąż jest warunkowo dopuszczony do obrotu, a firma wprowadzająca produkt Translarna do obrotu jest zobowiązana do przeprowadzenia nowego badania, w którym lek Translarna należy porównać z placebo w celu potwierdzenia skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Translarna?

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Translarna w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Translarna

W dniu 31 lipca 2014 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Translarna do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Translarna znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Translarna należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Translarna znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 12.2016.