



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Translarna

atalureno

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Translarna. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Translarna.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Translarna, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Translarna e para que é utilizado?

O Translarna é um medicamento utilizado no tratamento de doentes a partir dos 5 ou mais anos de idade com distrofia muscular de Duchenne que apresentam capacidade de marcha. A distrofia muscular de Duchenne é uma doença genética que causa gradualmente fraqueza e perda da função muscular. O Translarna é utilizado no pequeno grupo de doentes de Duchenne cuja doença é causada por um defeito genético específico (conhecido por «mutação nonsense») no gene distrofina.

Dado o número de doentes afetados por distrofia muscular de Duchenne ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Translarna foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 27 de maio de 2005.

O Translarna contém a substância ativa atalureno.

Como se utiliza o Translarna?

O Translarna só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico especialista com experiência no tratamento da distrofia muscular de Duchenne/Becker.

Antes do início do tratamento com o Translarna, os doentes serão submetidos a um teste genético para confirmar que a sua doença se deve a uma mutação «nonsense» e que são, por conseguinte, adequados para o tratamento com o Translarna



O Translarna está disponível na forma de granulado (125, 250 e 1000 mg) a ser tomado por via oral (pela boca), após a mistura com líquidos ou alimentos semissólidos (tais como o iogurte). O Translarna é tomado três vezes por dia e a dose recomendada é de 10 mg/kg (10 mg por quilograma de peso corporal) de manhã, 10 mg/kg a meio do dia e 20 mg/kg à noite (ou seja, uma dose diária total de 40 mg/kg). Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Translarna?

Os doentes que sofrem de distrofia muscular de Duchenne têm falta de distrofina normal, uma proteína presente nos músculos. Dado esta proteína ajudar a proteger os músculos de danos durante a contração e a descontração musculares, nos doentes com distrofia muscular de Duchenne, os músculos sofrem lesões e acabam por deixar de funcionar.

A distrofia muscular de Duchenne pode ser causada por uma série de anomalias genéticas. O Translarna destina-se a ser utilizado em doentes cuja doença se deve à presença de determinados defeitos (as chamadas mutações «nonsense») no gene distrofina, que interrompem de forma prematura a produção de uma proteína distrofina normal, gerando uma proteína distrofina encurtada que não funciona devidamente. O modo de funcionamento do Translarna nestes doentes permite que o sistema de produção de proteínas nas células transponha o defeito, permitindo que estas passem a produzir uma proteína distrofina funcional.

Quais os benefícios demonstrados pelo Translarna durante os estudos?

O Translarna foi investigado num estudo principal que incluiu 174 doentes com distrofia muscular de Duchenne com capacidade de marcha e no qual se procedeu à comparação de duas doses de Translarna (40 mg/kg por dia e 80 mg/kg por dia) com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a modificação da distância que os doentes eram capazes de percorrer a passo, em seis minutos, após 48 semanas de tratamento.

Ainda que uma análise inicial dos resultados de todos os dados do estudo não tenha demonstrado uma diferença significativa em termos de distâncias que os grupos tratados com Translarna e placebo conseguiram percorrer, as análises adicionais indicaram que a capacidade de marcha sofreu uma redução mais pequena com 40 mg/kg por dia de Translarna do que com placebo: decorridas 48 semanas de tratamento, os doentes que receberam 40 mg/kg por dia de Translarna conseguiram caminhar, em média, mais 31,7 metros do que os doentes que receberam o placebo. Foi observado um efeito mais acentuado num subgrupo de doentes cuja capacidade de caminhar estava a piorar. Neste subgrupo, os doentes que tomaram 40 mg/kg por dia de Translarna conseguiram caminhar em média 49,9 metros mais do que os que tomaram o placebo. Este efeito benéfico da dose mais baixa foi igualmente acompanhado por melhorias noutros parâmetros de eficácia, incluindo aqueles diretamente ligados às atividades diárias dos doentes. Não se observou qualquer melhoria com a dose mais alta (80 mg/kg/dia).

Após a aprovação inicial, foi realizado um estudo adicional em 230 doentes com agravamento da capacidade de marcha. Porém, os resultados deste estudo foram considerados inconclusivos. No entanto, os dados indicaram que o Translarna tinha um efeito positivo em vários parâmetros tais como o tempo necessário para correr e caminhar a uma distância de 10 metros, e o tempo necessário para subir e descer 4 degraus e para perder a capacidade de marcha. Em ambos os estudos, os efeitos benéficos do Translarna aparentaram ser mais evidentes nos doentes com um declínio moderado da sua doença.

Quais são os riscos associados ao Translarna?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Translarna (observados em mais de 5 em cada 100 pessoas) são vômitos, diarreia, náuseas (sensação de enjojo), dor de cabeça, dor de barriga e flatulência. Esses efeitos têm normalmente uma gravidade ligeira a moderada.

É contraindicado o uso concomitante do Translarna com determinados antibióticos, conhecidos por aminoglicosídeos, quando estes são administrados por injeção numa veia.

Para a lista completa dos efeitos secundários e restrições de utilização relativos ao Translarna, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Translarna?

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Translarna são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

Apesar da necessidade de informações suplementares, o CHMP considerou existir alguma evidência de que o Translarna abranda a progressão da doença e que o respetivo perfil de segurança não representa uma preocupação importante. O Comité reconheceu ainda a gravidade da distrofia muscular de Duchenne e a necessidade médica por satisfazer dos doentes com esta patologia.

Foi concedida ao Translarna uma autorização condicional. Isto significa que se aguardam dados adicionais sobre este medicamento, que a empresa está obrigada a fornecer. A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre o Translarna?

O Translarna permanece sujeito a aprovação condicional, devendo a empresa que comercializa o Translarna realizar um novo estudo no qual o Translarna seja comparado com um placebo por forma a confirmar a sua eficácia e segurança.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Translarna?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Translarna.

Outras informações sobre o Translarna

Em 31 de julho de 2014, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o Translarna.

O EPAR completo relativo ao Translarna pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Translarna, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Translarna pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 12-2016.