



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

# Translarna ataluren

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Translarna. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Translarna.

Pentru informații practice privind utilizarea Translarna, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

## Ce este Translarna și pentru ce se utilizează?

Translarna este un medicament care se utilizează pentru tratamentul pacienților cu vârsta de 5 ani și peste cu distrofie musculară Duchenne care au capacitatea de a se deplasa. Distrofia musculară Duchenne este o boală genetică care duce treptat la slăbiciune și pierderea funcției musculare. Translarna se utilizează la o categorie mică de pacienți, la care boala este cauzată de un anumit defect genetic (numit „mutație nonsens”) la nivelul genei distrofinei.

Din cauza numărului mic de pacienți cu distrofie musculară Duchenne, boala este considerată „rară”, iar Translarna a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 27 mai 2005.

Translarna conține substanța activă ataluren.

## Cum se utilizează Translarna?

Translarna se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și tratamentul trebuie inițiat de un medic specialist cu experiență în gestionarea terapeutică a distrofiei musculare Duchenne/Becker.

Înainte de începerea tratamentului cu Translarna, pacienților li se vor face analize de sânge pentru a confirma că boala de care suferă este cauzată de o mutație nonsens și că, prin urmare, în cazul lor, tratamentul cu Translarna este adecvat.



Translarna este disponibil sub formă de granule (125, 250 și 1 000 mg) cu administrare orală după ce au fost amestecate într-un lichid sau în alimente semisolide (de exemplu în iaurt). Translarna se administrează de trei ori pe zi, iar doza recomandată este de 10 mg/kg (10 mg pe kilogram de greutate corporală) dimineața, 10 mg/kg la prânz și 20 mg/kg seara (obținându-se o doză totală zilnică de 40 mg/kg). Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

## **Cum acționează Translarna?**

Pacienților cu distrofie musculară Duchenne le lipsește distrofina normală, o proteină care se găsește în mușchi. Deoarece această proteină ajută la protejarea mușchilor împotriva leziunilor când mușchii se contractă și se relaxează, la pacienții cu distrofie musculară Duchenne, mușchii se degradează și în cele din urmă nu mai funcționează.

Distrofia musculară Duchenne poate fi cauzată de o serie de anomalii genetice. Translarna se utilizează la pacienții la care boala este determinată de prezența în gena distrofinei de anumite defecte (numite mutații nonsens) care opresc prematur producerea proteinei distrofină normală, ducând la scurtarea proteinei distrofină, care nu mai funcționează bine. La acești pacienți, Translarna acționează activând aparatul din celule care produce proteine pentru a depăși defectul, permițând celulelor să producă o proteină distrofină funcțională.

## **Ce beneficii a prezentat Translarna pe parcursul studiilor?**

Translarna a fost studiată într-un studiu principal, care a cuprins 174 de pacienți cu distrofie musculară Duchenne care puteau merge, în care au fost comparate două doze de Translarna (40 mg/kg zilnic și 80 mg/kg zilnic) cu placebo (un preparat inactiv). Principala măsură a eficacității a fost modificarea distanței pe care pacientul a putut să o parcurgă în mers în șase minute după 48 de săptămâni de tratament.

Deși o analiză inițială a rezultatelor tuturor datelor obținute din studiu nu a demonstrat o diferență semnificativă între distanțele pe care le-au putut parcurge mergând pacienții din grupul tratat cu Translarna și cei din grupul placebo, analizele ulterioare au indicat o agravare mai mică a capacității de mers cu Translarna în doză zilnică de 40 mg/kg decât cu placebo: după 48 de săptămâni de tratament, pacienții care au luat Translarna 40 mg/kg pe zi au putut merge în medie 31,7 metri mai mult decât cei care au luat placebo. Un efect mai pronunțat a fost observat la o subgrupă de pacienți a căror capacitate de mers era în agravare, pacienții care au luat Translarna 40 mg/kg pe zi putând merge în medie cu 49,9 m mai mult decât cei care au luat placebo. Efectul benefic al dozei mai mici a fost susținut și de ameliorările observate la celelalte măsuri ale eficacității, inclusiv la cele care în legătură directă cu activitățile zilnice ale pacienților. Nu s-a observat nicio ameliorare la doza mai mare (80 mg/kg/zi).

Un alt studiu, efectuat pe 230 de pacienți cu capacitate de mers în agravare, a fost încheiat după aprobarea inițială, dar rezultatele au fost considerate neconcludente. Datele au indicat însă că Translarna a avut un efect pozitiv asupra mai multor măsuri, de exemplu timpul de mers/alergat 10 m, timpul de urcat și coborât 4 trepte și timpul până la pierderea capacității de mers. În ambele studii, efectele benefice ale Translarna au părut mai evidente la pacienții cu declin moderat al bolii.

## **Care sunt riscurile asociate cu Translarna?**

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Translarna (observate la mai mult de 5 persoane din 100) sunt vărsături, diaree, greață, dureri de cap, dureri de stomac și flatulență. Reacțiile adverse sunt de obicei de gravitate ușoară sau moderată.

Este contraindicată utilizarea Translarna în același timp cu anumite antibiotice, numite aminoglicozide, când sunt administrate prin injectare în venă.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Translarna, citiți prospectul.

### **De ce a fost aprobat Translarna?**

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Translarna sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

În ciuda nevoii de date suplimentare, CHMP a considerat că există dovezi care sugerează că Translarna încetinește progresia bolii și că profilul de siguranță nu este o preocupare majoră. De asemenea, comitetul a recunoscut gravitatea distrofiei musculare Duchenne și necesitatea medicală nesatisfăcută a pacienților cu această afecțiune.

Translarna a primit „aprobare condiționată”. Aceasta înseamnă că sunt așteptate dovezi suplimentare despre acest medicament, pe care compania are obligația să le furnizeze. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

### **Ce informații se așteaptă în continuare despre Translarna?**

Translarna rămâne cu aprobare condiționată, iar compania care comercializează Translarna trebuie să desfășoare un nou studiu în care Translarna să fie comparat cu placebo pentru a i se confirma eficacitatea și siguranța.

### **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Translarna?**

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Translarna, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

### **Alte informații despre Translarna**

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Translarna, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 31 iulie 2014.

EPAR-ul complet pentru Translarna este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Translarna, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Translarna este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 12-2016.