



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Translarna

ataluren

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Translarna. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Translarna.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Translarna, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Translarna a na čo sa používa?

Translarna je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov vo veku päť rokov a starších s Duchenneovou svalovou dystrofiou, ktorí sú schopní chodiť. Duchenneova svalová dystrofia je genetické ochorenie, ktoré postupne spôsobuje slabosť a stratu svalovej funkcie. Liek Translarna sa používa u malej skupiny pacientov, ktorých ochorenie je zapríčinené špecifickou genetickou poruchou (tzv. nezmyselnou mutáciou) dystrofínového génu.

Keďže je počet pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Translarna 27. mája 2005 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Translarna obsahuje účinnú látku ataluren.

Ako sa liek Translarna užíva?

Výdaj lieku Translarna je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať špecializovaný lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Duchenneovej/Beckerovej svalovej dystrofie.

Pred začatím liečby liekom Translarna sa pacientom urobí genetický test na potvrdenie, že ich ochorenie je zapríčinené nezmyselnou (nonsense) mutáciou, a teda že je pre nich liečba liekom Translarna vhodná.



Liek Translarna je dostupný vo forme granulátu (125, 250 a 1 000 mg) a podáva sa perorálne po zamiešaní do tekutého alebo polotekutého jedla (napr. jogurtu). Liek Translarna sa užíva trikrát denne a odporúčaná dávka je 10 mg/kg (10 mg na kilogram telesnej hmotnosti) ráno, 10 mg/kg na obed a 20 mg/kg večer (čím sa dosiahne celková denná dávka 40 mg/kg). Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Translarna účinkuje?

Pacientom s Duchenneovou svalovou dystrofiou chýba bežný distrofin, proteín nachádzajúci sa v svaloch. Keďže tento proteín pomáha chrániť svaly pred zranením, keď sa svaly sťahujú a uvoľňujú, u pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou sa svaly poškodzujú a napokon prestanú fungovať.

Duchenneová svalová dystrofia môže byť zapríčinená viacerými genetickými abnormalitami. Liek Translarna je určený pacientom, ktorých ochorenie je zapríčinené výskytom určitých porúch (nazývaných nezmyselné mutácie) dystrofinového génu, v dôsledku ktorých sa predčasne zastaví produkcia bežného dystrofinového proteínu, čo vedie k skrátenému dystrofinovému proteínu, ktorý nefunguje správne. Liek Translarna účinkuje u týchto pacientov tak, že umožňuje mechanizmu tvorby proteínov v bunkách obísť poruchu, vďaka čomu môžu bunky produkovať funkčný dystrofinový proteín.

Aké prínosy lieku Translarna boli preukázané v štúdiách?

Liek Translarna sa najprv skúmal v rámci jednej hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 174 pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou, ktorí boli schopní chodiť, pričom sa dve dávky lieku Translarna (40 mg/kg denne a 80 mg/kg denne) porovnávali s placebom (zdanlivým liekom). Hlavným meradlom účinnosti bola zmena vo vzdialenosti, akú bol pacient schopný prejsť za šesť minút po 48 týždňoch liečby.

Hoci z prvej analýzy výsledkov všetkých údajov zo štúdie nevyplýval výrazný rozdiel vo vzdialenostiach, ktoré dokázali prejsť pacienti v skupinách užívajúcich liek Translarna a placebo, z ďalších analýz vyplynulo, že schopnosť chôdze sa znížila v menšom rozsahu pri dennej dávke 40 mg/kg lieku Translarna než pri placebe: po 48 týždňoch liečby pacienti dostávajúci dennú dávku 40 mg/kg lieku Translarna dokázali prejsť v priemere o 31,7 metra viac než pacienti užívajúci placebo. Výraznejší vplyv sa pozoroval v podskupine pacientov, ktorých schopnosť chôdze sa znižovala, pričom v rámci nej pacienti užívajúci dennú dávku 40 mg/kg lieku Translarna dokázali prejsť v priemere o 49,9 metra viac než pacienti užívajúci placebo. Priaznivý účinok nižšej dávky podporili aj zlepšenia v rámci iných meradiel účinnosti vrátane tých, ktoré sú priamo spojené s dennými aktivitami pacientov. Žiadne zlepšenie nebolo pozorované pri vyššej dávke (80 mg/kg/deň).

Po udelení pôvodného povolenia bola ukončená ďalšia štúdia, na ktorej sa zúčastnilo 230 pacientov so znižujúcou sa schopnosťou chôdze, jej výsledky sa však považovali za nejednoznačné. Z údajov však vyplynulo, že liek Translarna mal pozitívny vplyv na rôzne kritériá, napr. čas prebehnutia/prejdenia 10 metrov, čas vyjdenia a zídenia po štyroch schodoch, ako aj čas do straty schopnosti chôdze. V oboch štúdiách sa priaznivé účinky lieku Translarna javili očividnejšie u pacientov s miernym zhoršením ochorenia.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Translarna?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Translarna (pozorované u viac ako 5 osôb zo 100) sú vracanie, hnačka, nauzea (pocit nevoľnosti), bolesť hlavy, bolesť žalúdka a plynatosť. Vedľajšie účinky sú zvyčajne miernej až strednej intenzity.

Liek Translarna sa nesmie užívať súčasne s určitými antibiotikami známymi ako aminoglykozidy, keď sa podávajú intravenózne.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Translarna a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Translarna povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Translarna sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Napriek potrebe ďalších údajov výbor CHMP usúdil, že existujú dôkazy, že liek Translarna spomaľuje postup ochorenia, a že jej bezpečnostný profil nevyvoláva veľké obavy. Výbor tiež zohľadnil závažnosť Duchenneovej svalovej dystrofie a nenaplnenú liečebnú potrebu pacientov s touto chorobou.

Liek Translarna bol povolený s podmienkou. To znamená, že sa čaká na ďalšie dôkazy o lieku, ktoré musí spoločnosť predložiť. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Translarna dosiaľ neboli predložené?

Liek Translarna je naďalej povolený s podmienkou, pričom spoločnosť, ktorá liek Translarna uvádza na trh, musí uskutočniť novú štúdiu, v ktorej sa liek Translarna porovná s placebom, aby sa potvrdila jeho účinnosť a bezpečnosť.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Translarna?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Translarna boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Translarna

Dňa 31. júla 2014 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Translarna na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Translarna sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Translarna, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Translarna sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 12-2016