



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Translarna ataluren

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Translarna. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Translarna naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Translarna in za kaj se uporablja?

Translarna je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo, ki so starejši od pet let in lahko hodijo. Duchennova mišična distrofija je genetska bolezen, ki postopoma povzroči šibkost in prenehanje delovanja mišic. Zdravilo Translarna se uporablja pri majhni skupini bolnikov, pri katerih je bolezen posledica posebne genetske okvare (imenovane „nesmiselna mutacija“) gena za distrofin.

Ker je bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Translarna 27. maja 2005 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Translarna vsebuje zdravilno učinkovino ataluren.

Kako se zdravilo Translarna uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Translarna je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti zdravnik specialist, ki ima izkušnje z zdravljenjem Duchennove/Beckerjeve mišične distrofije.

Pred začetkom zdravljenja z zdravilom Translarna bodo pri bolnikih opravili genetsko preiskavo, s katero bodo ugotovili, ali je njihova bolezen posledica nesmiselne mutacije in so torej primerni za zdravljenje z zdravilom Translarna.

Zdravilo Translarna je na voljo v obliki zrn (125 mg, 250 mg in 1 000 mg), ki se jemljejo skozi usta, potem ko se zmešajo s tekočino ali mehko hrano (na primer z jogurtom). Jemlje se trikrat na dan, pri



čemer je priporočeni odmerek 10 mg/kg (10 mg na kilogram telesne mase) zjutraj, 10 mg/kg opoldne in 20 mg/kg zvečer (kar je skupaj 40 mg/kg na dan). Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Translarna deluje?

Bolniki z Duchennovo mišično distrofijo imajo pomanjkanje normalnega distrofina, tj. beljakovine, ki je prisotna v mišicah. Ker ta beljakovina pomaga ščititi mišice pred poškodbami ob njihovem krčenju in sproščanju, se mišice pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo poškodujejo in sčasoma prenehajo delovati.

Duchennovo mišično distrofijo lahko povzročijo številne genetske nepravilnosti. Zdravilo Translarna je namenjeno za uporabo pri bolnikih, pri katerih je bolezen posledica prisotnosti določenih okvar (imenovanih nesmiselne mutacije) gena za distrofin, ki predčasno zaustavijo tvorbo normalne beljakovine distrofina, zaradi česar nastane skrajšana oblika beljakovine distrofin, ki ne deluje pravilno. Zdravilo Translarna pri teh bolnikih deluje tako, da omogoči mehanizmom v celicah, ki sodelujejo pri tvorbi beljakovine, da premestijo okvaro, s čimer omogoči celicam, da izdelajo funkcionalno beljakovino distrofin.

Kakšne koristi je zdravilo Translarna izkazalo v študijah?

Zdravilo Translarna so najprej proučevali v eni glavni študiji s 174 bolniki z Duchennovo mišično distrofijo, ki so lahko hodili, v kateri so dva odmerka zdravila Translarna (40 mg/kg na dan in 80 mg/kg na dan) primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba razdalje, ki jo je bolnik po 48 tednih zdravljenja lahko prehodil v šestih minutah.

Čeprav prvotna analiza rezultatov vseh podatkov iz študije ni pokazala pomembne razlike med razdaljami, ki so jih lahko prehodili bolniki iz skupine, ki je jemala zdravilo Translarna, in bolniki iz skupine, ki je jemala placebo, so dodatne analize pokazale, da se je zmožnosti hoje pri uporabi zdravila Translarna v odmerku 40 mg/kg na dan poslabšala manj kot pri uporabi placeba: po 48 tednih zdravljenja so bolniki, ki so prejeli zdravilo Translarna v odmerku 40 mg/kg na dan, v povprečju lahko prehodili 31,7 metra več kot tisti, ki so prejeli placebo. Še izrazitejši učinek je bil opažen v podskupini bolnikov, pri katerih se je zmožnost hoje poslabšala, pri čemer so bolniki, ki so jemali zdravilo Translarna v odmerku 40 mg/kg na dan, lahko prehodili v povprečju 49,9 metrov več kot tisti, ki so jemali placebo. Koristen učinek manjšega odmerka so potrdila tudi izboljšanja pri drugih merilih za oceno učinkovitosti, vključno s tistimi, ki so bila neposredno povezana z vsakodnevnimi dejavnostmi bolnikov. Pri uporabi večjega odmerka (80 mg/kg/dan) niso opazili nobenega izboljšanja.

Nadaljnja študija, v katero je bilo vključenih 230 bolnikov, pri katerih se je zmožnost hoje poslabšala, je bila zaključena po prvotni odobritvi, ampak so bili njeni izidi obravnavani kot neopredeljivi. Vseeno so podatki pokazali, da je imelo zdravilo Translarna pozitiven učinek na različna merila, kot je na primer čas teka/hoje na 10 metrov, čas vzpenjanja in spuščanja po štirih stopnicah in čas izgube zmožnosti hoje. V obeh študijah je bil učinek zdravila Translarna bolj očiten pri bolnikih z zmernim stadijem bolezni.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Translarna?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Translarna (ki se lahko pojavijo pri več kot petih osebah od 100) so bruhanje, driska, navzeja (slabost), glavobol, bolečine v trebuhu in flatulenca. Neželeni učinki so večinoma blagi ali zmerni.

Zdravilo Translarna se ne sme uporabljati sočasno z določenimi antibiotiki, imenovanimi aminoglikozidi, ki se dajejo z injiciranjem v veno.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Translarna glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Translarna odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Translarna večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU.

Kljub potrebi po dodatnih podatkih je odbor CHMP menil, da obstajajo dokazi, da zdravilo Translarna upočasni napredovanje bolezni, in da varnostni profil zdravila ni posebej zaskrbljujoč. Prav tako je izpostavil resnost Duchennove mišične distrofije in neizpolnjeno potrebo po zdravilu za bolnike s to boleznijo.

Zdravilo Translarna je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da se pričakujejo dodatni dokazi o zdravilu, ki jih mora zagotoviti družba. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila povzetek glavnih značilnosti zdravila, če bo potrebno.

Katere informacije o zdravilu Translarna še pričakujemo?

Zdravilo Translarna ostaja s pogojnim dovoljenjem za promet, pri čemer se od družbe, ki ga trži, zahteva, da izvede novo študijo, v kateri bodo zdravilo Translarna primerjali s placebom, da bi potrdili njegovo učinkovitost in varnost.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Translarna?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Translarna upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Translarna

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Translarna, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 31. julija 2014.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Translarna je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Translarna preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Translarna je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 12-2016.