



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Translarna ataluren

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Translarna. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Translarna ska användas.

Praktisk information om hur Translarna ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Translarna och vad används det för?

Translarna är ett läkemedel som används för att behandla patienter i åldern 5 år eller äldre med Duchennes muskeldystrofi som kan gå. Duchennes muskeldystrofi är en genetisk sjukdom som leder till en gradvis ökande svaghet och förlust av muskelfunktionen. Translarna används i den lilla gruppen av patienter vars sjukdom är en följd av en specifik genetisk defekt (en s.k. nonsensmutation) i dystrofingenen.

Eftersom antalet patienter med Duchennes muskeldystrofi är litet, betraktas sjukdomen som sällsynt och Translarna klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 27 maj 2005.

Translarna innehåller den aktiva substansen ataluren.

Hur används Translarna?

Translarna är receptbelagt och behandling ska sättas in av en läkare med erfarenhet av att behandla Duchennes och Beckers muskeldystrofi.

Innan behandlingen med Translarna sätts in får patienterna genomgå ett genetiskt test för att bekräfta att deras sjukdom är en följd av en nonsensmutation och att de därför är lämpliga för behandling med Translarna.



Translarna finns som granulat (125 mg, 250 mg och 1 000 mg) och tas via munnen efter att granulaten blandats med vätska eller halvfast föda (till exempel yoghurt). Translarna tas tre gånger om dagen. Den rekommenderade dosen är 10 mg/kg (10 mg per kg kroppsvikt) på morgonen, 10 mg/kg mitt på dagen och 20 mg/kg på kvällen (en sammanlagd total daglig dos om 40 mg/kg). Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Translarna?

Patienter med Duchennes muskeldystrofi saknar normalt dystrofin, ett protein som finns i musklerna. Eftersom detta protein hjälper till att skydda musklerna mot skador när de dras samman och slappnar av, skadas musklerna hos patienter som har Duchennes muskeldystrofi och slutar så småningom att fungera.

Duchennes muskeldystrofi kan orsakas av många olika genetiska avvikelser. Translarna ges till patienter vars sjukdom är en följd av vissa defekter (s.k. nonsensmutationer) i dystrofinengen som i förtid avbryter produktionen av normalt dystrofinprotein, vilket leder till ett förkortat dystrofinprotein som inte fungerar som det ska. Translarna verkar hos dessa patienter genom att låta den proteinskapande apparaten i cellerna gå förbi defekten, så att cellerna kan producera ett fungerande dystrofinprotein.

Vilken nytta med Translarna har visats i studierna?

Translarna studerades först i en huvudstudie som omfattade 174 patienter med Duchennes muskeldystrofi som kunde gå, där två doser med Translarna (40 mg/kg per dag och 80 mg/kg per dag) jämfördes med placebo (en överksam behandling). Det viktigaste effektmåttet var förändringen av den sträcka patienten kunde gå på sex minuter efter 48 veckors behandling.

Trots att en första analys av resultaten av samtliga uppgifter från studien inte visade på en signifikant skillnad i de avstånd som patienterna i Translarna- och placebogrupperna kunde gå, visade ytterligare analyser en minskad försämring av gångförmågan med Translarna i en dos av 40 mg/kg per dag än med placebo: efter 48 veckors behandling kunde patienterna som fick Translarna i en dos av 40 mg/kg per dag i genomsnitt gå 31,7 meter längre än de som fick placebo. En mer uttalad effekt observerades hos en undergrupp av patienter med minskande gångförmåga: de patienter som tog Translarna 40 mg/kg per dag kunde gå i genomsnitt 49,9 meter längre än de som fick placebo. Den gynnsamma effekten med den lägre dosen fick även stöd av förbättringar av andra effektmått, däribland de som är direkt kopplade till patienternas dagliga aktiviteter. Ingen förbättring sågs med den högre dosen (80 mg/kg/dag).

En ytterligare studie på 230 patienter med minskande gångförmåga slutfördes efter det första godkännandet, men resultaten av denna studie ansågs oklara. Det fanns emellertid uppgifter som tydde på att Translarna har en positiv inverkan på olika effektmått, till exempel tiden att gå eller springa 10 meter, tiden att gå upp och ner 4 trappsteg och tiden fram till förlust av gångförmåga. I båda studierna tycktes de gynnsamma effekterna av Translarna vara mer uppenbara hos de patienter som hade en måttlig sjukdomsförsämring.

Vilka är riskerna med Translarna?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Translarna (kan uppträda hos fler än 5 av 100 personer) är kräkningar, diarré, illamående, huvudvärk, magont och gaser i magen. Biverkningarna är vanligtvis lindriga till måttliga i svårighetsgrad.

Translarna får inte tas samtidigt med vissa antibiotika som kallas aminoglykosider när dessa ges genom injektion i en ven.

En fullständig förteckning över biverkningar och begränsningar för Translarna finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Translarna?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Translarna är större än riskerna och rekommenderade att Translarna skulle godkännas för försäljning i EU.

Trots ett behov av ytterligare uppgifter ansåg CHMP att det finns belegg för att Translarna saktar ner sjukdomens utveckling och att Translarnas säkerhetsprofil inte ger någon större anledning till oro. Kommittén bekräftade även att Duchennes muskeldystrofi är en allvarlig sjukdom och att patienter med sjukdomen har ett ouppfyllt medicinskt behov.

Translarna har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det ska komma ytterligare evidens för detta läkemedel och att företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Translarna saknas för närvarande?

Translarna har fortfarande villkorat godkännande och företaget som marknadsför läkemedlet ska genomföra en ny studie där det jämförs med placebo. Syftet är att bekräfta effekten och säkerheten hos Translarna.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Translarna?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Translarna har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Translarna

Den 31 juli 2014 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Translarna som gäller i hela EU.

EPAR för Translarna finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Translarna finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Translarna från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 12-2016.