



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/423254/2018
EMA/H/C/002720

Translarna (atalurenium)

Přehled pro přípravek Translarna a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Translarna a k čemu se používá?

Translarna je léčivý přípravek, který se používá k léčbě pacientů ve věku od 2 let s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří jsou schopni chůze. Duchenneova svalová dystrofie je genetické onemocnění, které postupně způsobuje oslabení a ztrátu svalové funkce. Přípravek Translarna se používá u malé skupiny pacientů, jejichž onemocnění je způsobeno specifickým genetickým defektem (zvaným „nonsense mutace“) v genu pro dystrofin.

Duchenneova svalová dystrofie je vzácné onemocnění a přípravek Translarna byl stanoven dne 27. května 2005 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Více informací o postupu stanovení léčivých přípravků pro vzácná onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Jak se přípravek Translarna používá?

Výdej léčivého přípravku Translarna je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit specializovaný lékař se zkušenostmi s léčbou Duchenneovy/Beckerovy svalové dystrofie.

Před zahájením léčby přípravkem Translarna se pacientům provede genetický test s cílem potvrdit, že jejich onemocnění je způsobeno nonsense mutací, a léčba přípravkem Translarna je tedy u nich vhodná.

Přípravek Translarna je dostupný ve formě granulí (125, 250 a 1 000 mg) k podání ústy po smísení s tekutinou nebo polotekutou stravou (například jogurtem). Přípravek Translarna se užívá třikrát denně a doporučená dávka je 10 mg/kg (10 mg na kilogram tělesné hmotnosti) ráno, 10 mg/kg v poledne a 20 mg/kg večer (celková denní dávka tedy činí 40 mg/kg).

Více informací o používání přípravku Translarna naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Translarna působí?

Pacientům s Duchenneovou svalovou dystrofií chybí normální dystrofin, což je protein (bílkovina) nacházející se ve svaích. Jelikož tento protein pomáhá chránit svaly při jejich stahování a uvolňování před zraněním, u pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií dochází k poškození svalů a v konečném důsledku k jejich nefunkčnosti.

Duchenneova svalová dystrofie může být způsobena celou řadou genetických abnormalit. Přípravek Translarna je určen k použití u pacientů, jejichž onemocnění je způsobeno přítomností určitých defektů (zvaných nonsense mutace) v genu pro dystrofin, jež předčasně zastavují tvorbu normálního proteinu dystrofinu, což vede ke vzniku zkráceného proteinu, který nefunguje správně. Přípravek Translarna působí u těchto pacientů tak, že buněčnému mechanismu tvorby proteinů umožňuje tento defekt obejít, čímž buňkám umožňuje vyrábět funkční protein dystrofin.

Jaké přínosy přípravku Translarna byly prokázány v průběhu studií?

Dvě dávky přípravku Translarna (40 mg/kg denně a 80 mg/kg denně) byly porovnávány s placebem (léčba neúčinným přípravkem) v jedné hlavní studii zahrnující 174 pacientů ve věku od 5 do 20 let s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří byli schopni chůze. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna vzdálenosti, již byl pacient schopen ujít za šest minut, hodnocená po 48 týdnech léčby.

Ačkoliv počáteční analýza všech výsledných údajů ze studie neprokázala významný rozdíl ve vzdálenosti, kterou byli pacienti ve skupině s přípravkem Translarna a ve skupině s placebem schopni ujít, další analýzy ukázaly, že ve skupině užívající 40 mg/kg přípravku Translarna denně se schopnost chůze zhoršila v menší míře než ve skupině užívající placebo: po 48 týdnech léčby byli pacienti užívající 40 mg/kg přípravku Translarna denně schopni ujít v průměru o 32 metrů více než pacienti užívající placebo. Výraznější účinek byl pozorován u podskupiny pacientů, jejichž schopnost chůze se zhoršovala, v rámci níž byli pacienti, kteří užívali 40 mg/kg přípravku Translarna denně, schopni ujít v průměru o 50 metrů více než pacienti užívající placebo. Příznivý účinek nižší dávky byl také podložen zlepšením dalších měřítek účinnosti, včetně měřítek přímo souvisejících s každodenními aktivitami pacientů. U vyšší dávky (80 mg/kg denně) nebylo pozorováno žádné zlepšení.

Další studie, do které bylo zařazeno 230 pacientů ve věku od 7 do 14 let, u nichž se schopnost chůze zhoršovala, byla dokončena po prvním schválení, její výsledky však nebyly považovány za přesvědčivé. Z údajů nicméně vyplývá, že přípravek Translarna měl pozitivní účinek na výsledky různých měření, například na čas potřebný k uběhnutí nebo ujití 10 metrů, čas na vyjití a sejít 4 schodů a na dobu do ztráty schopnosti chůze. V obou studiích se podle všeho příznivé účinky přípravku Translarna projevovaly výrazněji u pacientů se středně závažným zhoršením onemocnění.

Menší studie u dětí ve věku od 2 do 5 let s Duchenneovou svalovou dystrofií zjistila, že obvyklá dávka přípravku Translarna, tj. 40 mg/kg denně, byla dostatečná. Přípravek Translarna se zdál účinný při hodnocení fyzické aktivity u 12 pacientů ve srovnání s předchozími záznamy od 11 pacientů podobného věku, kteří nebyli léčeni přípravkem Translarna.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Translarna?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Translarna (které mohou postihnout více než 5 osob ze 100) jsou zvracení, průjem, nauzea (pocit nevolnosti), bolest hlavy, bolest břicha a nadýmání.

Přípravek Translarna se nesmí užívat současně s aminoglykosidovými antibiotiky podávanými injekcí nebo infuzí (kapáním) do žíly.

Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Translarna a úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Translarna registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Translarna převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

I přes potřebu dalších údajů agentura usoudila, že existují důkazy svědčící o tom, že přípravek Translarna zpomaluje postup onemocnění a že jeho bezpečnostní profil nevyvolává závažné obavy. Agentura uznala, že u pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií existuje nenaplněná potřeba léčby tohoto závažného onemocnění.

Přípravku Translarna byla udělena „podmíněná registrace“. Znamená to, že se očekávají další poznatky o tomto léčivém přípravku, které je společnost povinna poskytnout. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento přehled bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Translarna nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravku Translarna byla udělena podmíněná registrace, společnost, která přípravek Translarna dodává na trh, předloží výsledky nové studie, která porovná přípravek Translarna s placebem a potvrdí jeho účinnost a bezpečnost.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Translarna?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Translarna, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků, údaje o používání přípravku Translarna jsou průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Translarna jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Translarna

Přípravek Translarna obdržel podmíněné rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 31. července 2014.

Další informace k přípravku Translarna jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 06-2018.