



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. oktober 2019
EMA/565599/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Afslag på ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen for Translarna (ataluren)

Revurdering bekræfter afslag

Efter revurdering af sin oprindelige udtalelse har Det Europæiske Lægemiddelagentur bekræftet sin anbefaling om at afvise en ændring af markedsføringstilladelsen for lægemidlet Translarna (ataluren). Ændringen vedrørte en udvidelse af indikationen til at tilføje behandlingen af patienter med Duchennes muskeldystrofi, som ikke længere er i stand til at gå.

Agenturet afgav udtalelse den 17. oktober 2019 efter at have afsluttet revurderingen. Det afgav sin første udtalelse den 27. juni 2019.

Den virksomhed, der havde ansøgt om ændringen af Translarnas tilladelse, er PTC Therapeutics International Limited.

Hvad er Translarna, og hvad anvendes det til?

Translarna er et lægemiddel til behandling af patienter på 2 år og derover, der har Duchennes muskeldystrofi, og som er i stand til at gå. Duchennes muskeldystrofi er en arvelig sygdom med gradvis svækkelse og tab af muskelfunktionen. Translarna anvendes hos en lille gruppe patienter, hvis sygdom skyldes en særlig genetisk defekt (en såkaldt "nonsensmutation") i genet for dystrofin.

Translarna har været godkendt i EU siden juli 2014. Det indeholder det aktive stof ataluren og fås som granulater til indtagelse gennem munden.

Yderligere information om de nuværende anvendelser af Translarna findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Hvilken ændring havde virksomheden ansøgt om?

Virksomheden ansøgte om at få udvidet indikationen til at omfatte behandling af patienter med Duchennes muskeldystrofi, som ikke længere er i stand til at gå.

Hvordan virker Translarna?

Patienter med Duchennes muskeldystrofi mangler det normale protein dystrofin i musklerne. Dette protein beskytter musklerne efter de læsioner, der opstår, når de trækker sig sammen og afslappes,

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



men hos patienter med Duchennes muskeldystrofi bliver musklerne beskadiget og virker til sidst ikke længere.

Duchennes muskeldystrofi kan skyldes forskellige genetiske anomalier. Translarna er beregnet til patienter, hos hvem sygdommen er forårsaget af visse defekter (nonsensmutationer) i genet for dystrofin, som blokerer den normale opbygning af dystrofin, så proteinet bliver for kort og ikke fungerer, som det skal. Hos sådanne patienter virker Translarna ved at gøre cellernes proteinopbyggende apparat i stand til at bevæge sig forbi defekten og producere et dystrofin, der fungerer.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med sin ansøgning?

Virksomheden fremlagde data for at vise, at kroppen håndterer lægemidlet på lignende måde hos patienter, der er i stand til at gå, og hos patienter, som ikke er i stand til det.

Desuden fremlagde virksomheden resultaterne af et studie, der omfattede 94 patienter med nonsensmutation Duchennes muskeldystrofi, hvoraf 44 patienter ikke længere var i stand til at gå. Selv om det primære formål med studiet var at vurdere Translarnas sikkerhed på lang sigt, så studiet også nærmere på behandlingseffekten hos patienter, der ikke var i stand til at gå, ved at måle ændringer i lungefunktionen. Virksomheden sammenlignede derefter resultaterne med historiske data fra patienter med Duchennes muskeldystrofi, der er registreret i CINRG's database (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

Hvad var hovedårsagerne til at afvise ændringen af markedsføringstilladelsen?

Det forhold, at Translarna håndteres på lignende måde af kroppen hos patienter, der er i stand til at gå, og patienter der ikke er, var ikke tilstrækkeligt til at bekræfte, at Translarna er effektivt hos disse patienter. Dette skyldes, at patienter, der ikke er i stand til at gå, befinder sig på et mere fremskredent stadium af sygdommen og har reduceret muskelmasse, og at fordelene ved behandling derfor kan være forskellige.

De yderligere data fra undersøgelsen kunne heller ikke bekræfte fordelene ved Translarna hos patienter, der ikke længere er i stand til at gå, idet der var problemer med den måde, hvorpå data fra CINRG's database, som blev brugt til indirekte at sammenligne virkningerne af Translarna, blev udvalgt og analyseret.

Agenturet er derfor af den opfattelse, at benefit/risk-forholdet for Translarna hos patienter, der ikke er i stand til at gå, ikke er klarlagt, og anbefalede afslag på ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen. Afslaget blev bekræftet efter revurderingen.

Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse og har behov for mere information om din behandling, kan du kontakte din læge.

Hvad sker der med Translarna for behandlingen af patienter med Duchennes muskeldystrofi, som er i stand til at gå?

Der er ingen konsekvenser for brugen af Translarna til de godkendte indikationer.

Lægemidlet er ikke længere autoriseret til salg