



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (ataluren)

O prezentare generală a Translarna și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Translarna și pentru ce se utilizează?

Translarna este un medicament care se utilizează pentru tratamentul pacienților cu vârsta de cel puțin 2 ani cu distrofie musculară Duchenne care au capacitatea de a se deplasa. Distrofia musculară Duchenne este o boală genetică care duce treptat la slăbiciune și la pierderea funcției musculare. Translarna se utilizează la un grup mic de pacienți, la care boala este cauzată de un anumit defect genetic (numit „mutație nonsens”) la nivelul genei distrofinei.

Distrofia musculară Duchenne este rară, iar Translarna a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 27 mai 2005. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite aici: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Cum se utilizează Translarna?

Translarna se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat de un medic specialist cu experiență în gestionarea terapeutică a distrofiei musculare Duchenne/Becker.

Înainte de începerea tratamentului cu Translarna, pacienților li se va face un test genetic pentru a confirma că boala de care suferă este cauzată de o mutație nonsens și că, prin urmare, tratamentul cu Translarna este adecvat în cazul lor.

Translarna este disponibil sub formă de granule (125, 250 și 1 000 mg), care se administrează pe cale orală după ce au fost amestecate într-un lichid sau în alimente semisolide (de exemplu în iaurt). Translarna se administrează de trei ori pe zi, iar doza recomandată este de 10 mg/kg (10 mg pe kilogram de greutate corporală) dimineața, 10 mg/kg la prânz și 20 mg/kg seara (obținându-se o doză zilnică totală de 40 mg/kg).

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Translarna, citiți prospectul sau adresați-vă unui medic sau unui farmacist.



Cum acționează Translarna?

Pacienților cu distrofie musculară Duchenne le lipsește distrofina normală, o proteină care se găsește în mușchi. Deoarece această proteină ajută la protejarea mușchilor împotriva leziunilor când mușchii se contractă și se relaxează, la pacienții cu distrofie musculară Duchenne mușchii se degradează și, în cele din urmă, nu mai funcționează.

Distrofia musculară Duchenne poate fi cauzată de o serie de anomalii genetice. Translarna se utilizează la pacienții la care boala este determinată de prezența în gena distrofinei a anumitor defecte (numite mutații nonsens), care opresc prematur producerea proteinei distrofinei normale, ducând la producerea unei distrofine mai scurte care nu funcționează corespunzător. La acești pacienți, Translarna acționează ajutând aparatul celular care produce proteina să depășească defectul, ceea ce face ca celulele să producă o proteină distrofină funcțională.

Ce beneficii a prezentat Translarna pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal, care a cuprins 174 de pacienți cu distrofie musculară Duchenne care puteau merge, cu vârste între 5 și 20 de ani, au fost comparate două doze de Translarna (40 mg/kg zilnic și 80 mg/kg zilnic) cu placebo (un preparat inactiv). Principala măsură a eficacității a fost modificarea distanței pe care pacientul a putut să o parcurgă în mers în șase minute după 48 de săptămâni de tratament.

Deși o analiză inițială a rezultatelor indicate de toate datele studiului nu a demonstrat o diferență semnificativă între distanțele pe care le-au putut parcurge în mers pacienții din grupul tratat cu Translarna și cei din grupul placebo, analizele ulterioare au indicat o înrăutățire mai mică a capacității de mers după tratamentul cu Translarna în doză zilnică de 40 mg/kg decât după administrarea de placebo: după 48 de săptămâni de tratament, pacienții care au primit Translarna 40 mg/kg pe zi au putut parcurge în medie cu 32 de metri mai mult decât cei care au primit placebo. Efectul a fost mai pronunțat la o subgrupă de pacienți a căror capacitate de mers era în curs de înrăutățire: pacienții care au luat Translarna 40 mg/kg pe zi au putut să meargă în medie cu 50 de metri mai mult decât cei care au luat placebo. Efectul benefic al dozei mai mici a fost susținut și de îmbunătățirile observate în celelalte măsuri ale eficacității, inclusiv în cele direct legate de activitățile zilnice ale pacienților. Nu s-a observat nicio ameliorare la doza mai mare (80 mg/kg/zi).

După aprobarea inițială a fost încheiat un alt studiu, efectuat pe 230 de pacienți cu vârste între 7 și 14 ani a căror capacitate de mers era în curs de înrăutățire, dar rezultatele au fost considerate neconcludente. Totuși, datele obținute au arătat că Translarna a avut un efect pozitiv asupra mai multor măsuri, de exemplu timpul de mers sau de alergat 10 metri, timpul de urcat și coborât 4 trepte și timpul până la pierderea capacității de a merge. În ambele studii, efectele benefice ale Translarna au părut mai evidente la pacienții la care agravarea bolii era moderată.

Un studiu de mică amploare efectuat pe copii cu vârste între 2 și 5 ani cu distrofie musculară Duchenne a constatat că doza uzuală de Translarna, 40 mg/kg zilnic, este suficientă. Translarna a părut să fie eficace în cadrul unei evaluări a activității fizice la 12 pacienți, atunci când a fost comparat cu antecedentele a 11 pacienți de vârstă similară care nu fuseseră tratați cu Translarna.

Care sunt riscurile asociate cu Translarna?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Translarna (care pot afecta mai mult de 5 persoane din 100) sunt vărsături, diaree, greață, dureri de cap, dureri de stomac și flatulență.

Este contraindicată utilizarea Translarna în același timp cu antibioticele numite aminoglicozide, administrate prin injecție sau prin perfuzie (picurare) în venă.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Translarna, citiți prospectul.

De ce a fost autorizat Translarna în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Translarna sunt mai mari decât riscurile asociate și că acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

În ciuda nevoii de date suplimentare, agenția a considerat că dovezile sugerează că Translarna încetinește progresia bolii și că profilul de siguranță nu prezintă motive de îngrijorare majore. Agenția a ținut cont de faptul că pacienții cu distrofie musculară Duchenne se confruntă cu o necesitate nesatisfăcută de tratament pentru această afecțiune gravă.

Translarna a primit „autorizare condiționată”. Aceasta înseamnă că sunt așteptate dovezi suplimentare despre acest medicament, pe care compania are obligația să le furnizeze. În fiecare an, agenția va analiza orice informație nou apărută, iar această prezentare generală va fi actualizată, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Translarna?

Având în vedere că Translarna a primit autorizare condiționată, compania care comercializează medicamentul va prezenta rezultatele unui nou studiu care compară Translarna cu placebo, cu scopul de a confirma eficacitatea și siguranța medicamentului.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Translarna?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Translarna, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Translarna sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Translarna sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Translarna

Translarna a primit o autorizație de punere pe piață condiționată validă pe întreg teritoriul UE la 31 iulie 2014.

Informații suplimentare cu privire la Translarna sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 06-2018.