



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (αταλουρένη)

Ανασκόπηση του Translarna και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Translarna και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Translarna είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 2 ετών και άνω οι οποίοι πάσχουν από μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne και οι οποίοι μπορούν να βαδίζουν. Η μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne είναι μια γενετική νόσος η οποία σταδιακά προκαλεί αδυναμία και απώλεια της μυϊκής λειτουργίας. Το Translarna χρησιμοποιείται στη μικρή ομάδα ασθενών που πάσχουν από νόσο η οποία προκαλείται από μια συγκεκριμένη γενετική ανωμαλία (καλούμενη ανερμηνεύσιμη μετάλλαξη) στο γονίδιο της δυστροφίνης.

Η μυϊκή δυστροφία Duchenne είναι «σπάνια» νόσος και το Translarna έχει χαρακτηριστεί «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 27 Μαΐου 2005. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Πώς χρησιμοποιείται το Translarna;

Το Translarna χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή, η δε έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από ειδικευμένο γιατρό με πείρα στην αντιμετώπιση της μυϊκής δυστροφίας τύπου Duchenne/Becker.

Πριν από την έναρξη της θεραπείας με Translarna, οι ασθενείς πρέπει να υποβάλλονται σε γενετική εξέταση προκειμένου να επιβεβαιώνεται ότι η ασθένειά τους οφείλεται σε ανερμηνεύσιμη μετάλλαξη και ότι, ως εκ τούτου, είναι κατάλληλοι για θεραπεία με Translarna.

Το Translarna διατίθεται σε μορφή κόκκων (125, 250 και 1.000 mg) για χορήγηση από το στόμα μετά την ανάμειξή τους με κάποια υγρή ή ημιστερεά τροφή (όπως γιαούρτι). Το Translarna λαμβάνεται τρεις φορές την ημέρα, η δε συνιστώμενη δόση είναι 10 mg/kg (10 mg ανά κιλό σωματικού βάρους) το πρωί, 10 mg/kg το μεσημέρι και 20 mg/kg το βράδυ (συνολική ημερήσια δόση 40 mg/kg).

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Translarna, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.



Πώς δρα το Translarna;

Οι ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne παρουσιάζουν έλλειψη φυσιολογικής δυστροφίνης, μιας μυϊκής πρωτεΐνης. Επειδή η πρωτεΐνη αυτή συμβάλλει στην προστασία των μυών από τραυματισμούς κατά τη σύσπαση και χαλάρωσή τους, οι μύες των ασθενών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne καταστρέφονται και τελικά παύουν να λειτουργούν.

Η μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne μπορεί να προκληθεί από μια σειρά γενετικών ανωμαλιών. Το Translarna ενδείκνυται για χρήση σε ασθενείς των οποίων η ασθένεια οφείλεται σε ορισμένες ανωμαλίες (αποκαλούμενες ανερμηνεύσιμες μεταλλάξεις) στο γονίδιο της δυστροφίνης, με αποτέλεσμα να διακόπτεται πρόωρα η παραγωγή της φυσιολογικής δυστροφίνης και, ως εκ τούτου, να παρατηρείται έλλειψη δυστροφίνης και μη φυσιολογική λειτουργία των μυών. Το Translarna επιτρέπει στον μηχανισμό παραγωγής πρωτεΐνης στα κύτταρα των εν λόγω ασθενών να παρακάμπτει την ανωμαλία, με αποτέλεσμα τα κύτταρα να παράγουν τη λειτουργική πρωτεΐνη δυστροφίνη.

Ποιο είναι το όφελος του Translarna σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία βασική μελέτη στην οποία μετείχαν 174 ασθενείς ηλικίας 5 έως 20 ετών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne που μπορούσαν να βαδίζουν, χορηγήθηκαν δύο δόσεις Translarna (40 mg/kg και 80 mg/kg ημερησίως) και συγκρίθηκαν με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αλλαγή στην απόσταση που μπορούσαν να διανύσουν οι ασθενείς σε έξι λεπτά μετά από 48 εβδομάδες θεραπείας.

Παρότι η αρχική ανάλυση των αποτελεσμάτων βάσει όλων των στοιχείων της μελέτης δεν έδειξε σημαντικές διαφορές όσον αφορά την απόσταση που μπορούσαν να διανύσουν οι ομάδες ασθενών που λάμβαναν το Translarna και το εικονικό φάρμακο, οι περαιτέρω αναλύσεις έδειξαν ότι η ικανότητα βάδισης επιδεινώθηκε σε μικρότερο βαθμό στους ασθενείς που λάμβαναν 40 mg/kg Translarna ημερησίως σε σύγκριση με τους ασθενείς που λάμβαναν το εικονικό φάρμακο: μετά από θεραπεία 48 εβδομάδων, οι ασθενείς που λάμβαναν 40 mg/kg Translarna ημερησίως μπορούσαν να διανύσουν, κατά μέσο όρο, 32 μέτρα παραπάνω από τους ασθενείς που λάμβαναν το εικονικό φάρμακο. Η επίδραση ήταν ακόμα εντονότερη στην υποομάδα ασθενών με επιδεινούμενη ικανότητας βάδισης: οι ασθενείς που λάμβαναν 40 mg/kg Translarna ημερησίως μπορούσαν να διανύσουν, κατά μέσο όρο, 50 μέτρα παραπάνω από τους ασθενείς που λάμβαναν το εικονικό φάρμακο. Η ευεργετική επίδραση της μικρότερης δόσης ενισχύθηκε επίσης από βελτιώσεις στους άλλους δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας, περιλαμβανομένων εκείνων που συνδέονται με τις καθημερινές δραστηριότητες των ασθενών. Καμία βελτίωση δεν παρατηρήθηκε με τη χορήγηση της υψηλότερης δόσης (80 mg/kg ημερησίως).

Μετά την αρχική έγκριση, ολοκληρώθηκε μια ακόμη μελέτη με 230 ασθενείς ηλικίας 7 έως 14 ετών με επιδείνωση της ικανότητας βάδισης, η οποία όμως δεν επέτρεψε την εξαγωγή πειστικών συμπερασμάτων. Ωστόσο, τα στοιχεία δείχνουν ότι το Translarna είχε θετική επίδραση σε διάφορους δείκτες μέτρησης, όπως ο χρόνος τρεξίματος ή βάδισης 10 μέτρων, ο χρόνος για την άνοδο και κάθοδο 4 σκαλιών και ο χρόνος μέχρι την απώλεια της ικανότητας βάδισης. Σε αμφότερες τις μελέτες αποδείχθηκε ότι η ευεργετική επίδραση του Translarna ήταν πιο εμφανής στους ασθενείς που παρουσίαζαν μέτρια επιδείνωση της ασθένειας.

Μια μικρή μελέτη σε παιδιά ηλικίας 2 έως 5 ετών με μυϊκή δυστροφία Duchenne έδειξε ότι η συνήθης δόση των 40 mg/kg Translarna ημερησίως ήταν επαρκής. Σύμφωνα με την αξιολόγηση της σωματικής δραστηριότητας 12 ασθενών Translarna, το φάρμακο ήταν αποτελεσματικό σε σύγκριση με το ιατρικό ιστορικό 11 ασθενών περίπου ίδιας ηλικίας οι οποίοι δεν είχαν υποβληθεί σε θεραπεία με Translarna.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Translarna;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Translarna (ενδέχεται να επηρεάσουν περισσότερα από 5 στα 100 άτομα) είναι έμετος, διάρροια, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), κεφαλαλγία, στομαχόπονος, μετεωρισμός (αέρια).

Το Translarna δεν πρέπει να χορηγείται ταυτόχρονα με αμινογλυκοσιδικά αντιβιοτικά χορηγούμενα με ένεση ή έγχυση (στάγδην χορήγηση) σε φλέβα.

Για τον πλήρη κατάλογο των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που έχουν αναφερθεί με το Translarna συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Translarna στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Translarna υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Παρότι πρέπει να υποβληθούν περαιτέρω δεδομένα, ο Οργανισμός έκρινε ότι υπάρχουν αποδείξεις ότι το Translarna επιβραδύνει την εξέλιξη της νόσου και ότι η εικόνα ασφάλειας του φαρμάκου δεν αποτελεί σοβαρό παράγοντα ανησυχίας. Ο Οργανισμός αναγνώρισε ότι οι ασθενείς με μυϊκή δυστροφία Duchenne αντιμετωπίζουν μια ανικανοποίητη ανάγκη για θεραπεία αυτής της σοβαρής πάθησης.

Το Translarna έχει λάβει «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι αναμένονται περισσότερα δεδομένα σχετικά με το φάρμακο, τα οποία καλείται να προσκομίσει η εταιρεία. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα ανασκόπηση θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Translarna αναμένεται να υποβληθούν;

Δεδομένου ότι στο Translarna χορηγήθηκε έγκριση υπό όρους, η παρασκευάστρια εταιρεία του φαρμάκου θα υποβάλλει τα αποτελέσματα μιας νέας μελέτης σύγκρισης του Translarna με εικονικό φάρμακο για την επιβεβαίωση της αποτελεσματικότητας και της ασφάλειας του φαρμάκου.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Translarna;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Translarna.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Translarna τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που επισημαίνονται με το Translarna αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Translarna

Το Translarna έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, στις 31 Ιουλίου 2014.

Περισσότερες πληροφορίες για το Translarna διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 06-2018.