



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 Οκτωβρίου 2019
EMA/565599/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Απόρριψη της αίτησης τροποποίησης της άδειας κυκλοφορίας για το Translarna (αταλουρένη)

Επιβεβαίωση της απόρριψης μετά από επανεξέταση

Μετά από επανεξέταση της αρχικής του γνώμης, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων επιβεβαίωσε την εισήγησή του για απόρριψη της αίτησης τροποποίησης της άδειας κυκλοφορίας του φαρμάκου Translarna (αταλουρένη). Η τροποποίηση αφορούσε την επέκταση της ένδειξης προκειμένου να συμπεριληφθεί η θεραπεία ασθενών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne, οι οποίοι έχουν απολέσει την ικανότητα βάδισης.

Μετά την ολοκλήρωση της επανεξέτασης ο Οργανισμός εξέδωσε γνώμη στις 17 Οκτωβρίου 2019. Η αρχική γνώμη είχε εκδοθεί στις 27 Ιουνίου 2019.

Η παρασκευάστρια εταιρεία που αιτήθηκε την τροποποίηση της άδειας κυκλοφορίας του Translarna είναι η PTC Therapeutics International Limited.

Τι είναι το Translarna και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Translarna είναι φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 2 ετών και άνω που πάσχουν από μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne και είναι σε θέση να βαδίζουν. Η μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne είναι μια γενετική νόσος η οποία σταδιακά προκαλεί αδυναμία και απώλεια της μυϊκής λειτουργίας. Το Translarna προορίζεται για μικρή ομάδα ασθενών που παρουσιάζουν μια συγκεκριμένη γενετική μετάλλαξη (αποκαλούμενη ανερμηνεύσιμη μετάλλαξη) στο γονίδιο της δυστροφίνης.

Το Translarna έλαβε άδεια κυκλοφορίας στην ΕΕ τον Ιούλιο του 2014. Το φάρμακο περιέχει τη δραστική ουσία αταλουρένη και διατίθεται υπό μορφή κοκκίων για χορήγηση από το στόμα.

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τις τρέχουσες χρήσεις του Translarna διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Ποια αλλαγή είχε αιτηθεί η παρασκευάστρια εταιρεία;

Η παρασκευάστρια εταιρεία αιτήθηκε την επέκταση της ένδειξης προκειμένου να συμπεριληφθεί η θεραπεία ασθενών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne, οι οποίοι έχουν απολέσει την ικανότητα βάδισης.



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 χαλάρωση, οι μυς 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 πάσχοντες από μια μορφή της ασθένειας που οφείλεται σε ορισμένες ανωμαλίες (αποκαλούμενες ανερμηνεύσιμες μεταλλάξεις) στο γονίδιο της δυστροφίνης, οι οποίες επιφέρουν πρόωρη διακοπή της παραγωγής της, με αποτέλεσμα τη βράχυνση του πρωτεϊνικού της μορίου και τη μη φυσιολογική του λειτουργία. Το Translarna επιτρέπει στον μηχανισμό παραγωγής πρωτεΐνης στα κύτταρα των εν λόγω ασθενών να παρακάμπτει την ανωμαλία, επιτρέποντάς τα να παράγουν λειτουργική δυστροφίνη.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η παρασκευάστρια εταιρεία υπέβαλε στοιχεία με σκοπό να καταδείξει ότι ο οργανισμός διαχειρίζεται με παρόμοιο τρόπο το φάρμακο τόσο στην περίπτωση των ασθενών που είναι σε θέση να βαδίζουν όσο και στην περίπτωση των ασθενών που έχουν απολέσει την ικανότητα βάδισης.

Επιπλέον, η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα μιας μελέτης στην οποία μετείχαν 94 ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne λόγω ανερμηνεύσιμης μετάλλαξης, εκ των οποίων οι 44 είχαν απολέσει την ικανότητα βάδισης. Αν και ο βασικός της στόχος ήταν η αξιολόγηση της μακροχρόνιας ασφάλειας του Translarna, η μελέτη εξέτασε επίσης την αποτελεσματικότητα της θεραπείας σε ασθενείς που είχαν απολέσει την ικανότητα βάδισης, μετρώντας αλλαγές στη λειτουργία των πνευμόνων. Η παρασκευάστρια εταιρεία συνέκρινε τα αποτελέσματα με τα ιστορικά δεδομένα ασθενών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne που ήταν καταγεγραμμένα στη βάση δεδομένων της CINRG (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης τροποποίησης της άδειας κυκλοφορίας;

Το γεγονός ότι το Translarna δρα στον οργανισμό με παρόμοιο τρόπο τόσο στην περίπτωση των ασθενών που είναι σε θέση να βαδίζουν όσο και στην περίπτωση των ασθενών που έχουν απολέσει την ικανότητα βάδισης δεν επιβεβαιώνει επαρκώς την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου για τους εν λόγω ασθενείς, διότι οι ασθενείς που έχουν απολέσει την ικανότητα βάδισης βρίσκονται σε πιο προχωρημένο στάδιο της νόσου και έχουν μειωμένη μυϊκή μάζα, οπότε τα οφέλη της θεραπείας μπορεί να διαφοροποιούνται.

Επιπλέον, τα επιπρόσθετα στοιχεία που προέκυψαν από τη μελέτη δεν μπόρεσαν να επιβεβαιώσουν τα οφέλη του Translarna στους ασθενείς που είχαν απολέσει την ικανότητα βάδισης, δεδομένου ότι υπήρξαν προβλήματα με τον τρόπο με τον οποίο έγινε η επιλογή και η ανάλυση των δεδομένων από τη βάση της CINRG, η οποία χρησιμοποιήθηκε για την έμμεση σύγκριση των αποτελεσμάτων του φαρμάκου.

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι η σχέση οφέλους-κινδύνου του Translarna για τους ασθενείς που έχουν απολέσει την ικανότητα βάδισης δεν μπορεί να τεκμηριωθεί και εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης τροποποίησης της άδειας κυκλοφορίας. Η απόρριψη της αίτησης επιβεβαιώθηκε μετά και από την επανεξέταση.

Επηρεάζει η απόρριψη της αίτησης τους ασθενείς στις κλινικές δοκιμές;

Η παρασκευάστρια εταιρεία ενημέρωσε στον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν επιπτώσεις για τους ασθενείς που λαμβάνουν Translarna στις κλινικές δοκιμές.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.

Τι ισχύει για το Translarna όσον αφορά τη θεραπεία ασθενών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne που είναι σε θέση να βαδίζουν;

Δεν υπάρχουν επιπτώσεις για τη χρήση του Translarna όσον αφορά την εγκεκριμένη ένδειξή του.

Φαρμακευτικό προϊόν του οποίου η άδεια κυκλοφορίας δεν είναι πλέον σε ισχύ