



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (*atalureeni*)

Yleistiedot Translarnasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Translarna on ja mihin sitä käytetään?

Translarna on lääke, jolla hoidetaan vähintään kaksivuotiaita liikuntakykyisiä potilaita, joilla on Duchennen lihasdystrofia. Duchennen lihasdystrofia on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa vähitellen lihasheikkoutta ja surkastuttaa lihakset. Translarnaa käytetään niiden potilaiden pienessä joukossa, joiden sairaus on tietyn dystrofiinigeenissä olevan geenivaurion ("nonsense-mutaation") aiheuttama.

Duchennen lihasdystrofia on harvinainen; Translarna nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 27. toukokuuta 2005. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Miten Translarnaa käytetään?

Translarnaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa erikoislääkäri, jolla on kokemusta Duchennen/Beckerin lihasdystrofian hoidosta.

Ennen Translarna-hoidon aloittamista potilaille tehdään geenikoe, jolla varmistetaan, että heidän sairautensa on nonsense-mutaation aiheuttama ja että he näin ollen soveltuvat Translarna-hoitoon.

Translarnaa on saatavana suun kautta otettavina rakeina (125, 250 ja 1 000 mg), jotka sekoitetaan nesteeseen tai puolikiinteään ruokaan (esimerkiksi jogurttiin). Translarnaa otetaan kolmesti päivässä. Suositeltu annos on 10 mg painokiloa kohti aamulla, 10 mg/kg päivällä ja 20 mg/kg illalla (jolloin päivittäinen kokonaisannos on 40 mg/kg).

Lisätietoja Translarnan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Translarna vaikuttaa?

Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu normaali dystrofiini, eräs lihaksissa oleva proteiini. Tämä proteiini auttaa lihaksia suojautumaan vaurioilta, kun ne supistuvat ja rentoutuvat. Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden lihakset vaurioituvat ja lakkaavat lopulta toimimasta, koska heillä ei ole tätä proteiinia.



Duchennen lihasdystrofiaa voivat aiheuttaa monet geneettiset poikkeavuudet. Translarna on tarkoitettu niille potilaille, joiden sairaus johtuu tietyistä dystrofiinigeenissä olevista vaurioista (eli nonsense-mutaatioista). Niiden vuoksi normaalin dystrofiiniproteiinin tuotanto lakkaa ennenaikaisesti, jolloin tuloksena on normaalia lyhyempi dystrofiiniproteiini, joka ei toimi kunnolla. Näillä potilailla Translarna vaikuttaa siten, että solujen proteiineja valmistava koneisto pystyy ohittamaan vaurion, jolloin solut voivat valmistaa toimintakykyistä dystrofiiniproteiinia.

Mitä hyötyä Translarnasta on havaittu tutkimuksissa?

Yhteen päätutkimukseen osallistui 174 5–20-vuotiasta Duchennen lihasdystrofiaa sairastavaa liikuntakykyistä potilasta. Tutkimuksessa Translarnan kahta annosta (40 mg/kg päivässä ja 80 mg/kg päivässä) verrattiin lumelääkkeeseen. Tehon pääasiallisena mittana oli muutos sen matkan pituudessa, jonka potilas pystyi kävelemään kuudessa minuutissa 48 hoitoviikon jälkeen.

Vaikka kaikkien tutkimusaineistosta saatujen tulosten alustava analyysi ei osoittanut merkittävää eroa matkoissa, jotka Translarna- ja lumelääkeryhmien potilaat pystyivät kävelemään, tarkemmat analyysit viittasivat siihen, että kävelykyky heikkeni vähemmän niillä potilailla, jotka saivat Translarnaa 40 mg/kg päivässä, lumelääkettä saaneisiin potilaisiin verrattuna: 48 hoitoviikon jälkeen 40 mg/kg Translarnaa päivässä saaneet potilaat kykenivät kävelemään keskimäärin 32 metriä pidemmälle kuin lumelääkettä saaneet potilaat. Vaikutus oli voimakkaampi sellaisten potilaiden alaryhmässä, joiden kävelykyky oli huononemassa. Päivittäin 40 mg/kg Translarnaa saaneet potilaat kykenivät kävelemään keskimäärin 50 metriä pidemmälle kuin lumelääkettä saaneet potilaat. Pienemmän annoksen suotuisaa vaikutusta tukivat myös muissa tehon mitoissa havaitut parantumiset, myös niissä, jotka liittyivät suoraan potilaan päivittäisiin toimiin. Kävelykyvyn paranemista ei havaittu suuremmalla annoksella (80 mg/kg päivässä).

Valmisteen alustavan hyväksynnän jälkeen tehtiin toinen koe 230 potilaalla, jotka olivat iältään 7–14-vuotiaita ja joiden kävelykyky oli huononemassa. Tämän kokeen tuloksia ei pidetty vakuuttavina. Tutkimuksesta saadut tiedot osoittavat kuitenkin, että Translarnalla oli positiivinen vaikutus eri mittaustuloksiin kuten aikaan, jossa potilas juoksee tai kävelee 10 metriä tai nousee ja laskee 4 porrasaskelta tai aikaan, jonka kuluessa potilas menettää kävelykykynsä. Molemmissa tutkimuksissa Translarnalla todettiin olevan enemmän suotuisia vaikutuksia potilaille, joiden sairaus huononi kohtalaisesti.

Pienessä tutkimuksessa, jossa tarkasteltiin 2–5-vuotiaita Duchennen lihasdystrofiaa sairastavia lapsia, todettiin, että tavallinen päiväannos (40 mg/kg) oli riittävä. Translarna todettiin tehokkaaksi fyysisen toiminnan arvioinnissa 12 potilaalla, joita verrattiin aiempiin tietoihin 11 samanikäisestä potilaasta, joita ei ollut hoidettu Translarnalla.

Mitä riskejä Translarnaan liittyy?

Translarnan yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin viidelle potilaalle sadasta) ovat oksentelu, ripuli, pahoinvointi, päänsärky, mahakipu ja ilmavaivat.

Translarnaa ei saa käyttää samanaikaisesti aminoglykosidien ryhmään kuuluvien injektiona tai infuusiona (tippa) annettavien antibioottien kanssa.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Translarnan sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Translarna on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Translarnan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Lisätietojen tarpeesta huolimatta virasto katsoi, että on olemassa näyttöä siitä, että Translarna hidastaa sairauden etenemistä ja ettei sen turvallisuusprofiiliin liity suuria huolenaiheita. Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilla potilailla on ollut tähän saakka vain vähän hoitovaihtoehtoja.

Translarnalle annettiin ehdollinen myyntilupa. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoa, minkä yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä katsausta päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Translarnasta odotetaan vielä saatavan?

Koska Translarnalle on annettu ehdollinen myyntilupa, Translarnaa markkinoiva yhtiö toimittaa tulokset uudesta tutkimuksesta, jossa Translarnaa verrataan lumehoitoon sen tehon ja turvallisuuden vahvistamiseksi.

Miten voidaan varmistaa Translarnan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Translarnan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältävät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Translarnan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Translarnasta ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Translarnasta

Translarna sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 31. heinäkuuta 2014.

Lisää tietoa Translarnasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2018.