



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (atalurenas)

Translarna apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Translarna ir kam jis vartojamas?

Translarna – tai vaistas, kuriuo gydomi Diušeno (*Duchenne*) raumenų distrofija sergantys, paeiti galintys 2 metų ir vyresni pacientai. Diušeno raumenų distrofija yra genetinė liga, kuria sergant laipsniškai silpnėja ir nyksta raumenų funkcija. Translarna skiriamas nedidelei grupei pacientų, kurių ligą sukelia ypatingas distrofino geno defektas (vadinamoji *nonsense* tipo mutacija).

Diušeno raumenų distrofija laikoma reta, todėl 2005 m. gegužės 27 d. Translarna buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Kaip vartoti Translarna?

Translarna galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą gali pradėti tik gydytojai specialistai, turintys Diušeno ar Bekerio (*Becker*) raumenų distrofijos gydymo patirties.

Prieš pradėdant gydymą Translarna, *nonsense* tipo distrofino geno mutacija turi būti patvirtinta genetiniais tyrimais, siekiant įsitikinti, kad pacientus galima gydyti Translarna.

Gaminamos Translarna granulės (125, 250 ir 1 000 mg), kurias reikia vartoti sumaišytas su skysčiu ar tirštu maistu (pavyzdžiui, jogurtu). Translarna vartojamas tris kartus per parą; rekomenduojama dozė iš ryto yra 10 mg/kg (10 mg vienam kilogramui kūno svorio), vidurdienį – 10 mg/kg, o vakare – 20 mg/kg (iš viso 40 mg/kg per parą).

Daugiau informacijos apie Translarna vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Translarna?

Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų organizme nėra normalaus distrofino – raumenyse randamo baltymo. Kadangi šis baltymas padeda apsaugoti raumenis nuo sužeidimo, kai jie susitraukia



ir atsipalaiduoja, Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų raumenys pažeidžiami ir galiausiai nustoja funkcionuoti.

Diušeno raumenų distrofiją gali sukelti keletas genetinių anomalijų. Translarna skirtas pacientams, kurių ligą sukėlė tam tikri distrofino geno defektai (vadinami *nonsense* tipo mutacijomis), dėl kurių pirmiau laiko nutrūksta normalaus distrofino baltymo gamyba, todėl distrofino baltymas sutrumpėja ir neveikia taip, kaip turėtų. Tokių pacientų organizme Translarna „įgalina“ baltymą gaminantį aparatą apeiti šį defektą, suteikdamas galimybę ląstelėms gaminti funkcionuojantį distrofino baltymą.

Kokia Translarna nauda nustatyta tyrimų metu?

Atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 174 paeiti galintys, Diušeno raumenų distrofija sergantys pacientai, dvi Translarna dozės (40 ir 80 mg/kg per parą) buvo lyginamos su placebo (netikru vaistu). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo atstumo, kurį pacientai galėjo nueiti per šešias minutes po 48 gydymo savaitių, pokytis.

Nors atlikus pirminę visų tyrimo metu surinktų duomenų analizę, reikšmingo atstumo, kurį pavyko nueiti Translarna ir placebo vartojusiems pacientams, skirtumo nenustatyta, tolesnės analizės parodė, kad vartojant 40 mg/kg Translarna per parą, gebėjimas vaikščioti susilpnėjo mažiau, nei vartojant placebo: po 48 gydymo savaitių 40 mg/kg Translarna per parą vartoję pacientai nuėjo vidutiniškai 32 metrus daugiau, nei vartoję placebo. Didesnis poveikis nustatytas tame pacientų pogrupyje, kurių gebėjimas vaikščioti prastėjo – kasdien 40 mg/kg Translarna dozę vartoję pacientai vidutiniškai galėjo nueiti 50 metrų toliau, nei vartoję placebo. Šį naudingą mažesnės dozės poveikį taip pat patvirtino pagerėję kiti veiksmingumo rodikliai, įskaitant rodiklius, tiesiogiai susijusius su pacientų kasdiene veikla. Vartojant didesnę dozę (80 mg/kg per parą), teigiamas poveikis nesustiprėjo.

Įregistravus vaistą, buvo atliktas dar vienas tyrimas su 230 pacientų nuo 7 iki 14 metų amžiaus, kurių vaikščiojimo gebėjimas silpo, bet nuspręsta, kad tyrimo rezultatai neįtikimi. Vis dėlto iš duomenų matyti, kad Translarna teigiamai veikia įvairius rodiklius, pvz., laiką, per kurį nueinama (nubėgama) 10 metrų, laiką, per kurį užlipama ar nulipama 4 laiptus, ir laiką iki tol, kol pacientas nebegali paeiti. Atliekant abu tyrimus, atrodė, kad stipresnis teigiamas Translarna poveikis pasireiškė gydant tuos pacientus, kurių liga progresavo greitai.

Atlikus nedidelės apimties tyrimą su 2–5 metų vaikais, kuriems buvo diagnozuota Diušeno raumenų distrofija, nustatyta, kad įprastinė 40 mg/kg Translarna paros dozė yra pakankama. Įvertinus 12 pacientų fizinį aktyvumą ir jų duomenis palyginus su anksčiau surinktais duomenimis apie 11 panašaus amžiaus pacientų, kurie nebuvo gydomi Translarna, šis vaistas atrodė veiksmingas.

Kokia rizika susijusi su Translarna vartojimu?

Dažniausias Translarna šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 5 žmonėms iš 100) yra vėmimas, viduriavimas, pykinimas (šleikštulys), galvos skausmas, pilvo skausmas ir pilvo pūtimas.

Translarna negalima vartoti kartu su aminoglikozidų grupės antibiotikais, kurie švirkščiami arba lašinami į veną.

Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų vartojant Translarna sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Translarna buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Translarna nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Nepaisydama to, kad reikia surinkti daugiau duomenų, Agentūra laikėsi nuomonės, kad turimi duomenys leidžia manyti, jog Translarna sulėtina ligos progresavimą, ir kad vaisto saugumo charakteristikos nekelia didelio susirūpinimo. Agentūra pripažino, kad Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų, kurie neturi vaistų nuo šios sunkios ligos, poreikiai nepatenkinti.

Translarna registracija yra sąlyginė. Tai reiškia, kad ateityje bendrovė privalės pateikti daugiau duomenų apie šį vaistą. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Translarna?

Kadangi Translarna registracija yra sąlyginė, šiuo vaistu prekiaujanti bendrovė pateiks naujo tyrimo rezultatus; šio tyrimo metu Translarna bus lyginamas su placebo, siekiant patvirtinti šio vaisto veiksmingumą ir saugumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Translarna vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Translarna vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Translarna vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Translarna šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Translarna

Translarna buvo registruotas sąlyginiu būdu visoje ES 2014 m. liepos 31 d.

Daugiau informacijos apie Translarna rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2018-06.