



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (ataluren)

Przegląd wiedzy na temat leku Translarna i uzasadnienie udzielenia
Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Co to jest lek Translarna i w jakim celu się go stosuje

Translarna to lek przeznaczony do stosowania w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a u pacjentów chodzących w wieku od 2 lat. Dystrofia mięśniowa Duchenne'a to choroba genetyczna, w przebiegu której stopniowo postępuje osłabienie i zanik mięśni. Lek Translarna stosuje się w małej grupie pacjentów, u których choroba jest spowodowana przez określoną wadę genetyczną (nazywaną mutacją nonsensowną) w genie dystrofiny.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 27 maja 2005 r. lek Translarna uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierociego można znaleźć tutaj: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Jak stosować lek Translarna

Lek Translarna jest wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz specjalista z doświadczeniem w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a/Beckera.

Przed rozpoczęciem leczenia preparatem Translarna u pacjentów zostanie wykonane badanie genetyczne w celu potwierdzenia, że ich choroba jest wynikiem mutacji nonsensownej i w związku z tym mogą przyjmować lek Translarna.

Lek Translarna jest dostępny w postaci granulek (125, 250 i 1000 mg) do przyjmowania doustnego po zmieszaniu z płynnym lub półpłynnym jedzeniem (takim jak jogurt). Lek Translarna przyjmuje się trzy razy na dobę, a zalecana dawka wynosi 10 mg/kg (10 mg na kilogram masy ciała) w godzinach porannych, 10 mg/kg w południe i 20 mg/kg w godzinach wieczornych (całkowita dawka dobową wynosi 40 mg/kg).

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Translarna znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.



Jak działa lek Translarna

U pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a brakuje prawidłowej dystrofiny, białka znajdującego się w mięśniach. Ponieważ białko to pomaga chronić mięśnie przed urazami podczas skurczu i rozkurczu, u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a dochodzi do uszkodzenia mięśni, a w końcu do utraty ich funkcjonalności.

Dystrofię mięśniową Duchenne'a może powodować wiele różnych nieprawidłowości genetycznych. Lek Translarna jest przeznaczony do stosowania u pacjentów, u których choroba jest spowodowana przez określone wady (tzw. mutacje nonsensowne) w genie dystrofiny, powodujące przedwczesne zatrzymanie wytwarzania białka dystrofiny, w wyniku czego powstaje skrócone białko, które nie funkcjonuje prawidłowo. Lek Translarna działa u tych pacjentów poprzez umożliwienie mechanizmom wytwarzającym białka w komórkach ominięcia wady, co pozwala komórkom wytwarzać funkcjonalną dystrofinę.

Korzyści ze stosowania leku Translarna wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym z udziałem 174 pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a w wieku od 5 do 20 lat, będących w stanie chodzić, dwie dawki leku Translarna (40 mg/kg na dobę i 80 mg/kg na dobę) porównywano z placebo (leczenie pozorowane). Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana odległości, którą pacjent był w stanie przejść w ciągu sześciu minut po 48 tygodniach leczenia.

Choć wstępna analiza wyników wszystkich danych z badania nie wykazała istotnej różnicy w odległości, którą byli w stanie przejść pacjenci należący do grup przyjmujących lek Translarna lub placebo, na podstawie dodatkowych analiz stwierdzono, że zdolność chodzenia uległa pogorszeniu w mniejszym stopniu u pacjentów przyjmujących lek Translarna w dawce 40 mg/kg na dobę w porównaniu z pacjentami, którym podawano placebo: po 48 tygodniach leczenia pacjenci przyjmujący lek Translarna w dawce 40 mg/kg na dobę byli w stanie przejść odległość dłuższą średnio o 32 metry niż pacjenci otrzymujący placebo. Bardziej wyraźny efekt zaobserwowano w podgrupie pacjentów, których zdolność chodzenia pogarszała się: pacjenci przyjmujący lek Translarna w dawce 40 mg/kg na dobę byli w stanie przejść odległość dłuższą średnio o 50 metrów niż pacjenci otrzymujący placebo. Korzystny efekt niższej dawki został również potwierdzony przez poprawę w zakresie innych kryteriów oceny skuteczności, m.in. kryteriów bezpośrednio związanych z codziennymi czynnościami wykonywanymi przez pacjentów. Nie stwierdzono poprawy po zastosowaniu większej dawki (80 mg/kg/dobę).

Kolejne badanie z udziałem 230 pacjentów z pogarszającą się zdolnością chodzenia, w wieku od 7 do 14 lat, ukończono po uzyskaniu wstępnego zatwierdzenia, ale jego wyniki uznano za nierozstrzygające. Jednakże uzyskane dane wskazują, że lek Translarna miał pozytywny wpływ w zakresie różnych kryteriów, takich jak czas potrzebny na przebiegnięcie lub przejście 10 metrów, czas potrzebny na wejście/zejście po schodach o 4 stopnie i czas do utraty zdolności do chodzenia. W obu badaniach korzystny wpływ leku Translarna uznano za bardziej widoczny u pacjentów z umiarkowanym stopniem nasilenia choroby.

W małym badaniu z udziałem dzieci z dystrofią mięśniową Duchenne'a w wieku od 2 do 5 lat stwierdzono, że podawanie leku Translarna w standardowej dawce 40 mg/kg było wystarczające. Lek Translarna wydawał się skuteczny w ocenie aktywności fizycznej u 12 pacjentów w analizie porównawczej z dotychczasowymi wynikami dla 11 pacjentów w podobnym wieku, nieleczonych lekiem Translarna.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Translarna

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Translarna (mogące wystąpić u więcej niż 5 na 100 pacjentów) to: wymioty, biegunka, nudności (uczucie mdłości), ból głowy, ból brzucha i wzdęcia.

Leku Translarna nie należy stosować jednocześnie z antybiotykami aminoglikozydowymi podawanymi w postaci iniekcji lub infuzji dożylniej (wlewu dożylnego).

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Translarna znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Translarna w UE

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Translarna przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Pomimo konieczności uzyskania dodatkowych danych Agencja uznała, że istnieją dowody sugerujące, że lek Translarna spowalnia postęp choroby i że jego profil bezpieczeństwa stosowania nie wzbudza większych obaw. Agencja uznała, że pacjenci z dystrofią mięśniową Duchenne'a mają niezaspokojone potrzeby w zakresie leczenia tego poważnego schorzenia.

Lek Translarna uzyskał „warunkowe dopuszczenie do obrotu”. Oznacza to, że będą gromadzone dodatkowe informacje na temat tego leku, które firma ma obowiązek dostarczyć. Co roku Agencja dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze ogólne informacje.

Jakich informacji jeszcze brakuje na temat leku Translarna

W związku z tym, że lek Translarna uzyskał warunkowe dopuszczenie do obrotu, firma wprowadzająca lek Translarna do obrotu dostarczy wyniki nowego badania porównującego lek Translarna z placebo w celu potwierdzenia jego skuteczności i bezpieczeństwa stosowania.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Translarna

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Translarna w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Translarna są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Translarna są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Translarna

Lek Translarna otrzymał warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne w całej UE od dnia 31 lipca 2014 r.

Dalsze informacje na temat leku Translarna znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Data ostatniej aktualizacji: 06.2018.