



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (ataluren)

Prehľad o lieku Translarna a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Translarna a na čo sa používa?

Liek Translarna sa používa na liečbu pacientov vo veku dva roky a starších s Duchenneovou svalovou dystrofiou, ktorí sú schopní chodiť. Duchenneova svalová dystrofia je genetické ochorenie, ktoré postupne spôsobuje slabosť a stratu svalovej funkcie. Liek Translarna sa používa pri malej skupine pacientov, ktorých ochorenie je zapríčinené špecifickou genetickou poruchou (tzv. nezmyselnou mutáciou) dystrofínového génu.

Duchenneova svalová dystrofia je zriedkavá, a preto bol liek Translarna dňa 27. mája 2005 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Ako sa liek Translarna užíva?

Výdaj lieku Translarna je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať špecializovaný lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Duchenneovej/Beckerovej svalovej dystrofie.

Pred začatím liečby liekom Translarna sa pacientom urobí genetický test na potvrdenie, že ich ochorenie je zapríčinené nezmyselnou (nonsense) mutáciou, a teda že je pre nich liečba liekom Translarna vhodná.

Liek Translarna je dostupný vo forme granulátu (125 mg, 250 mg a 1 000 mg) a užíva sa ústami po zamiešaní do tekutého alebo polotekutého jedla (napr. jogurtu). Liek Translarna sa užíva trikrát denne a odporúčaná dávka je 10 mg/kg (10 mg na kilogram telesnej hmotnosti) ráno, 10 mg/kg na obed a 20 mg/kg večer (čím sa dosiahne celková denná dávka 40 mg/kg).

Viac informácií o používaní lieku Translarna si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte lekára alebo lekárnika.



Akým spôsobom liek Translarna účinkuje?

Pacientom s Duchenneovou svalovou dystrofiou chýba bežný dystrofín, proteín nachádzajúci sa v svaloch. Keďže tento proteín pomáha chrániť svaly pred poškodením, keď sa sťahujú a uvoľňujú, u pacientov s Duchenneovou svalovou dystrofiou sa svaly poškodzujú a napokon prestanú fungovať.

Duchenneova svalová dystrofia môže byť zapríčinená viacerými genetickými abnormalitami. Liek Translarna je určený pacientom, ktorých ochorenie je zapríčinené výskytom určitých porúch (nazývaných nezmyselné mutácie) dystrofínového génu, v dôsledku ktorých sa predčasne zastaví produkcia bežného dystrofínového proteínu, čo vedie k skrátenému dystrofínovému proteínu, ktorý nefunguje správne. Liek Translarna účinkuje u týchto pacientov tak, že umožňuje mechanizmu tvorby proteínov v bunkách obísť poruchu, vďaka čomu môžu bunky produkovať funkčný dystrofínový proteín.

Aké prínosy lieku Translarna boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii zahŕňajúcej 174 pacientov vo veku od 5 do 20 rokov s Duchenneovou svalovou dystrofiou, ktorí boli schopní chodiť, sa dve dávky lieku Translarna (40 mg/kg denne a 80 mg/kg denne) porovnávali s placebo (zdanlivým liekom). Hlavným meradlom účinnosti bola zmena vo vzdialenosti, akú bol pacient schopný prejsť za šesť minút po 48 týždňoch liečby.

Hoci z prvej analýzy výsledkov všetkých údajov zo štúdie nevyplýval výrazný rozdiel vo vzdialenostiach, ktoré boli schopní prejsť pacienti v skupine liečenej liekom Translarna a v skupine užívajúcej placebo, z ďalších analýz vyplynulo, že schopnosť chôdze sa zhoršila v menšom rozsahu pri dennej dávke 40 mg/kg lieku Translarna než pri placebe: po 48 týždňoch liečby pacienti užívajúci dennú dávku 40 mg/kg lieku Translarna boli schopní prejsť v priemere o 32 metrov viac než pacienti užívajúci placebo. Účinok bol výraznejší v podskupine pacientov, ktorých schopnosť chôdze sa zhoršovala, pričom pacienti užívajúci dennú dávku 40 mg/kg lieku Translarna boli schopní prejsť v priemere o 50 metrov viac než pacienti užívajúci placebo. Priaznivý účinok nižšej dávky podporili aj zlepšenia iných meradiel účinnosti vrátane tých, ktoré priamo súvisia s každodennými činnosťami pacientov. Pri vyššej dávke (80 mg/kg denne) sa nepozorovalo zlepšenie.

Ďalšia štúdia, na ktorej sa zúčastnilo 230 pacientov vo veku od 7 do 14 rokov so zhoršujúcou sa schopnosťou chôdze, bola dokončená po prvotnom povolení, jej výsledky sa však považovali za nepresvedčivé. Z údajov však vyplynulo, že liek Translarna mal pozitívny vplyv na rôzne meradlá, ako je čas prebehnutia alebo prejdenia 10 metrov, čas vyjdenia a zídenia po štyroch schodoch, ako aj čas do straty schopnosti chôdze. V oboch štúdiách sa priaznivé účinky lieku Translarna zdali zjavnejšie u pacientov s miernym zhoršením ochorenia.

V malej štúdii zahŕňajúcej deti vo veku od 2 do 5 rokov s Duchenneovou svalovou dystrofiou sa zistilo, že zvyčajná dávka lieku Translarna 40 mg/kg denne je dostatočná. Na základe posúdenia fyzickej aktivity u 12 pacientov sa zdalo, že liek Translarna je účinný v porovnaní so záznamami 11 pacientov podobného veku z minulosti, ktorí neboli liečení liekom Translarna.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Translarna?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Translarna (ktoré môžu postihnúť viac ako 5 osôb zo 100) sú vracanie, hnačka, nauzea (pocit nevoľnosti), bolesť hlavy, bolesť žalúdka a plynatosť.

Liek Translarna sa nesmie používať súčasne s aminoglykozidovými antibiotikami podávanými formou injekcie alebo infúzie (kvapkania) do žily.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Translarna a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Translarna povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Translarna sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Napriek potrebe ďalších údajov agentúra usúdila, že z dôkazov vyplýva, že liek Translarna spomaľuje zhoršovanie ochorenia a že jeho bezpečnostný profil nevyvoláva závažné výhrady. Agentúra uznala, že pacienti s Duchenneovou svalovou dystrofiou potrebujú nový liek na liečbu tohto závažného ochorenia.

Liek Translarna bol povolený s tzv. podmienkou. To znamená, že sa čaká na ďalšie dôkazy o lieku, ktoré musí spoločnosť predložiť. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Translarna dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Translarna bol povolený s podmienkou, spoločnosť, ktorá liek uvádza na trh, predloží výsledky novej štúdie porovnávajúcej liek Translarna s placebom na potvrdenie účinnosti a bezpečnosti lieku.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Translarna?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Translarna boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch aj údaje o používaní lieku Translarna sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Translarna sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Translarna

Lieku Translarna bolo dňa 31. júla 2014 udelené povolenie na uvedenie na trh s podmienkou platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Translarna sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2018