



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (ataluren)

Pregled zdravila Translarna in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Translarna in za kaj se uporablja?

Translarna je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo, ki so starejši od dveh let in lahko hodijo. Duchennova mišična distrofija je genetska bolezen, ki postopoma povzroči šibkost in prenehanje delovanja mišic. Zdravilo Translarna se uporablja pri majhni skupini bolnikov, pri katerih je bolezen posledica posebne genetske okvare (imenovane „nesmiselna mutacija“) gena za distrofin.

Duchennova mišična distrofija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Translarna 27. maja 2005 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Kako se zdravilo Translarna uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Translarna je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti zdravnik specialist, ki ima izkušnje z zdravljenjem Duchennove/Beckerjeve mišične distrofije.

Pred začetkom zdravljenja z zdravilom Translarna bodo pri bolnikih opravili genetsko preiskavo, s katero bodo ugotovili, ali je njihova bolezen posledica nesmiselne mutacije in so torej primerni za zdravljenje z zdravilom Translarna.

Zdravilo Translarna je na voljo v obliki zrnč (125 mg, 250 mg in 1 000 mg), ki se jemljejo skozi usta, potem ko se zmešajo s tekočino ali mehko hrano (na primer z jogurtom). Jemlje se trikrat na dan, pri čemer je priporočeni odmerek 10 mg/kg (10 mg na kilogram telesne mase) zjutraj, 10 mg/kg opoldne in 20 mg/kg zvečer (kar je skupaj 40 mg/kg na dan).

Za več informacij glede uporabe zdravila Translarna glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.



Kako zdravilo Translarna deluje?

Bolniki z Duchennovo mišično distrofijo imajo pomanjkanje normalnega distrofina, tj. beljakovine, ki je prisotna v mišicah. Ker ta beljakovina pomaga ščititi mišice pred poškodbami ob njihovem krčenju in sproščanju, se mišice pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo poškodujejo in sčasoma prenehajo delovati.

Duchennovo mišično distrofijo lahko povzročijo številne genetske nepravilnosti. Zdravilo Translarna je namenjeno za uporabo pri bolnikih, pri katerih je bolezen posledica prisotnosti določenih okvar (imenovanih nesmiselne mutacije) gena za distrofin, ki predčasno zaustavijo tvorbo normalne beljakovine distrofina, zaradi česar nastane skrajšana oblika beljakovine distrofin, ki ne deluje pravilno. Zdravilo Translarna pri teh bolnikih deluje tako, da omogoči mehanizmom v celicah, ki sodelujejo pri tvorbi beljakovine, da premostijo okvaro, s čimer omogoči celicam, da izdelajo funkcionalno beljakovino distrofin.

Kakšne koristi zdravila Translarna so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji, v katero je bilo vključenih 174 bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo, starih od 5 do 20 let, ki so lahko hodili, so dva odmerka zdravila Translarna (40 mg/kg na dan in 80 mg/kg na dan) primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba razdalje, ki jo je bolnik po 48 tednih zdravljenja lahko prehodil v šestih minutah.

Čeprav prvotna analiza rezultatov vseh podatkov iz študije ni pokazala pomembne razlike med razdaljami, ki so jih lahko prehodili bolniki iz skupine, ki je jemala zdravilo Translarna, in bolniki iz skupine, ki je jemala placebo, so dodatne analize pokazale, da se je zmožnost hoje pri uporabi zdravila Translarna v odmerku 40 mg/kg na dan poslabšala manj kot pri uporabi placeba: po 48 tednih zdravljenja so bolniki, ki so prejeli zdravilo Translarna v odmerku 40 mg/kg na dan, v povprečju lahko prehodili 32 metrov več kot tisti, ki so prejeli placebo. Učinek je bil izrazitejši v podskupini bolnikov, pri katerih se je zmožnost hoje poslabšala, pri čemer so bolniki, ki so jemali zdravilo Translarna v odmerku 40 mg/kg na dan, lahko prehodili v povprečju 50 metrov več kot tisti, ki so jemali placebo. Koristen učinek manjšega odmerka so potrdila tudi izboljšanja pri drugih merilih za oceno učinkovitosti, vključno s tistimi, ki so bila neposredno povezana z vsakodnevnimi dejavnostmi bolnikov. Pri uporabi večjega odmerka (80 mg/kg/dan) niso opazili nobenega izboljšanja.

Nadaljnja študija, v katero je bilo vključenih 230 bolnikov, starih od 7 do 14 let, pri katerih se je zmožnost hoje poslabšala, je bila zaključena po prvotni odobritvi, vendar so bili njihovi izidi obravnavani kot neopredeljivi. Vseeno so podatki pokazali, da je imelo zdravilo Translarna pozitiven učinek na različna merila, kot so na primer čas teka ali hoje na 10 metrov, čas vzpenjanja in spuščanja po štirih stopnicah ter čas izgube zmožnosti hoje. V obeh študijah je bil učinek zdravila Translarna bolj očiten pri bolnikih z zmernim poslabšanjem bolezni.

Z manjšo študijo pri otrocih z Duchennovo mišično distrofijo, starih od 2 do 5 let, je bilo ugotovljeno, da zadostuje običajni odmerek zdravila Translarna 40 mg/kg dnevno. Zdravilo Translarna je bilo učinkovito glede na oceno telesne dejavnosti pri 12 bolnikih v primerjavi s preteklimi poročili za 11 bolnikov podobne starosti, ki niso bili zdravljeni z zdravilom Translarna.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Translarna?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Translarna (ki se lahko pojavijo pri več kot petih osebah od 100) so bruhanje, driska, navzeja (slabost), glavobol, bolečine v trebuhu in flatulenca.

Zdravilo Translarna se ne sme uporabljati sočasno z aminoglikozidnimi antibiotiki, ki se dajejo z injiciranjem ali (kapalno) infuzijo v veno.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Translarna glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Translarna odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Translarna večje od z njim povezanih tveganj in da se odobri za uporabo v EU.

Kljub potrebi po dodatnih podatkih je agencija menila, da obstajajo dokazi, da zdravilo Translarna upočasni napredovanje bolezni, in da varnostni profil zdravila ni posebej skrb vzbujajoč. Agencija priznava, da imajo bolniki z Duchennovo mišično distrofijo neizpolnjeno potrebo po zdravljenju te težke bolezni.

Zdravilo Translarna je pridobilo „pogojno dovoljenje za promet“. To pomeni, da se pričakujejo dodatni dokazi o zdravilu, ki jih mora zagotoviti podjetje. Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo. Če bo potrebno, bo posodobljen tudi ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Translarna še pričakujemo?

Ker je zdravilo Translarna pridobilo pogojno dovoljenje za promet, bo podjetje, ki ga trži, zagotovilo rezultate nove študije o primerjavi zdravila Translarna s placebom za potrditev njegove učinkovitosti in varnosti.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Translarna?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Translarna upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Translarna stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Translarna, se skrbno ovrednotijo in po potrebi sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Translarna

Za zdravilo Translarna je bilo 31. julija 2014 izdano pogojno dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Translarna so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Pregled je bil nazadnje posodobljen 06-2018.