



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 октомври 2019 г.
EMA/565599/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Отказ на промяна в разрешението за употреба на Translarna (ataluren)

Отказът е потвърден след преразглеждането

След като преразглежда първоначалното си становище, Европейската агенция по лекарствата потвърди препоръката за отказ на промяна в разрешението за употреба на лекарствения продукт Translarna (ataluren). Промяната е свързана с разширяване на показанието с цел да се добави лечение при пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен, които вече не могат да ходят.

Агенцията издаде становище на 17 октомври 2019 г., след като приключи преразглеждането. Първоначалното становище е издадено на 27 юни 2019 г.

Фирмата, подала заявлението за промяна в разрешението за употреба на Translarna, е PTC Therapeutics International Limited.

Какво представлява Translarna и за какво се използва?

Translarna е лекарство, което се използва за лечение на пациенти на възраст 2 и повече години с мускулна дистрофия тип Дюшен, които са в състояние да ходят. Мускулната дистрофия тип Дюшен е генетично заболяване, което причинява постепенно отслабване и загуба на мускулната функция. Translarna се използва при малка група пациенти, чието заболяване се причинява от специфичен генетичен дефект (наречен „нонсенс мутация“) в дистрофиновия ген.

Translarna е разрешен в ЕС от юли 2014 г. Съдържа активното вещество аталурен (ataluren) и се предлага под формата на гранули, които се приемат през устата.

Допълнителна информация за настоящите употреби на Translarna може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

За каква промяна е кандидатствала фирмата?

Фирмата е подала заявление за разширяване на показанието с цел добавяне на лечение при пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен, които вече не могат да ходят.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Как действа Translarna?

При пациентите с мускулна дистрофия тип Дюшен липсва нормалният дистрофин — протеин, намиращ се в мускулите. Тъй като този протеин помага за защита на мускулите от нараняване, когато мускулите се съкращават и отпускат, при пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен мускулите се увреждат и в крайна сметка спират да функционират.

Възможна причина за мускулната дистрофия тип Дюшен са различни генетични аномалии. Translarna е показан за употреба при пациенти, чието заболяване се дължи на наличието на определени дефекти (наречени „нонсенс мутации“) в дистрофиновия ген, който преждевременно спира синтеза на дистрофин, в резултат на което се синтезира скъсен протеин дистрофин, който не функционира правилно. Действието на Translarna при тези пациенти се изразява във възможността протеин-синтезиращият апарат в клетките да заобикаля дефекта, което позволява на клетките да произведат функционален протеин дистрофин.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата представя данни, които показват, че организмът обработва лекарството по сходен начин при пациенти, които са в състояние да ходят, и при пациенти, които не могат да ходят.

В допълнение, тя представя резултатите от проучване, обхващащо 94 пациенти с „нонсенс мутация“ при мускулна дистрофия тип Дюшен, от които 44 вече не са в състояние да ходят. Въпреки че основната цел на проучването е да се оцени дългосрочната безопасност на Translarna, проучването изследва също ефективността на лечението при пациенти, които не могат да ходят, измервайки промените в белодробната функция. След това фирмата сравнява резултатите с данни от миналото за пациенти с мускулна дистрофия тип Дюшен, записани в базата данни на CINRG (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

Какви са основните причини за отказа на промяна в разрешението за употреба?

Фактът, че Translarna се обработва от организма по сходен начин при пациенти, които могат и които не могат да ходят, не е достатъчен, за да потвърди ефективността на Translarna при пациентите от втората група. Причината е, че пациентите, които не са в състояние да ходят, са в по-напреднал стадий на заболяването и имат намалена мускулна маса. Следователно ползите от лечението могат да бъдат различни.

Допълнителните данни от проучването също не могат да потвърдят ползата от Translarna при пациенти, които вече не са в състояние да ходят, тъй като има проблеми с начина, по който са подбрани и анализирани данните от базата данни CINRG, използвана за индиректно сравнение на ефектите от Translarna.

Поради това становището на Агенцията е, че съотношението полза/риск за Translarna при пациентите, неспособни да ходят, не може да бъде установено, и тя препоръчва отказ на промяната в разрешението за употреба. Отказът е потвърден след преразглеждането.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата уведомява Агенцията, че няма последствия за пациентите, приемащи Translarna в клинични изпитвания.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.

Какви са последствията за Translarna за лечение на пациенти с мускулна дистрофия на Дюшен, които са в състояние да ходят?

Няма последствия за употребата на Translarna при разрешеното показание.