



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. října 2019
EMA/600880/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Zamítnutí změny registrace přípravku Translarna (ataluren)

Přezkoumání potvrdilo zamítnutí registrace.

Po přezkoumání svého původního stanoviska potvrdila Evropská agentura pro léčivé přípravky své doporučení zamítnout změnu registrace přípravku Translarna (ataluren). Změna se týkala rozšíření indikace o léčbu pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří již nejsou schopni chůze.

Agentura vydala své stanovisko dne 17. října 2019 po dokončení přezkoumání. Svě původní stanovisko vydala dne 27. června 2019.

Společností, která požádala o změnu registrace přípravku Translarna, je společnost PTC Therapeutics International Limited.

Co je přípravek Translarna a k čemu se používá?

Translarna je léčivý přípravek, který se používá k léčbě pacientů ve věku 2 let a starších s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří jsou schopni chůze. Duchenneova svalová dystrofie je genetické onemocnění, které postupně způsobuje oslabení a ztrátu svalové funkce. Přípravek Translarna se používá u malé skupiny pacientů, jejichž onemocnění je způsobeno specifickým genetickým defektem (zvaným „nonsense mutace“) v genu pro dystrofin.

Přípravek Translarna je v EU registrován od července 2014. Obsahuje léčivou látku ataluren a je k dispozici ve formě granulí k užití ústy.

Další informace o stávajících použitích přípravku Translarna naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

O jakou změnu společnost žádala?

Společnost žádala o rozšíření indikace o léčbu pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří již nejsou schopni chůze.

Jak přípravek Translarna působí?

Pacientům s Duchenneovou svalovou dystrofií chybí normální dystrofin, což je protein (bílkovina) nacházející se ve svalech. Jelikož tento protein pomáhá chránit svaly při jejich stahování a uvolňování

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



před zraněním, u pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií dochází k poškození svalů a v konečném důsledku k jejich nefunkčnosti.

Duchenneova svalová dystrofie může být způsobena celou řadou genetických abnormalit. Přípravek Translarna je určen k použití u pacientů, jejichž onemocnění je způsobeno přítomností určitých defektů (zvaných nonsense mutace) v genu pro dystrofin, jež předčasně zastavují tvorbu dystrofinu, což vede ke vzniku zkráceného dystrofinu, který nefunguje správně. Přípravek Translarna působí u těchto pacientů tak, že buněčnému mechanismu tvorby proteinů umožňuje tento defekt obejít, čímž buňkám umožňuje produkovat funkční protein dystrofin.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost poskytla údaje dokládající, že tělo nakládá s přípravkem u pacientů, kteří jsou schopni chůze, podobně jako u těch, kteří chůze schopni nejsou.

Kromě toho předložila společnost výsledky studie zahrnující 94 pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií způsobenou nonsense mutací, z nichž 44 již nebylo schopno chůze. Přestože hlavním cílem studie bylo posoudit bezpečnost přípravku Translarna z dlouhodobého hlediska, studie zkoumala také účinnost léčby u pacientů, kteří nebyli schopni chůze, pomocí měření změn ve funkci plic. Společnost poté porovnávala výsledky se staršími údaji o pacientech s Duchenneovou svalovou dystrofií zaznamenanými v databázi skupiny CINRG (Mezinárodní skupiny pro spolupráci při výzkumu neuromuskulárních onemocnění).

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí změny registrace?

Skutečnost, že tělo nakládá s přípravkem Translarna u pacientů, kteří jsou schopni chůze, podobně jako u těch, kteří chůze schopni nejsou, nebyla dostačující k potvrzení účinnosti přípravku Translarna u pacientů, kteří nejsou schopni chůze. Důvodem je to, že tito pacienti se nacházejí v pokročilejším stadiu onemocnění a svalová hmota je u nich více oslabena, přínosy léčby se tudíž mohou lišit.

Dodatečné údaje ze studie rovněž nedokázaly potvrdit přínosy přípravku Translarna u pacientů, kteří již nejsou schopni chůze, neboť se vyskytly problémy se způsobem, jakým byly údaje z databáze skupiny CINRG použité k nepřímému porovnání účinků přípravku Translarna vybrány a analyzovány.

Agentura byla proto toho názoru, že poměr přínosů a rizik přípravku Translarna u pacientů, kteří nejsou schopni chůze, nelze stanovit a doporučila registraci zamítnout. Zamítnutí agentura potvrdila i po přezkoumání.

Jaké jsou důsledky zamítnutí pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí nemá žádné důsledky pro pacienty, jimž je přípravek Translarna podáván v rámci klinických studií.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.

Jaké jsou důsledky pro použití přípravku Translarna k léčbě pacientů s Duchenneovou svalovou dystrofií, kteří jsou schopni chůze?

Toto zamítnutí nemá vliv na použití přípravku Translarna v rámci jeho schválené indikace.