



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 ta' Ottubru 2019
EMA/565599/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Rifjut ta' bidla fl-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Translarna (ataluren)

Eżami mill-ġdid jikkonferma r-rifjut

Wara li eżaminata mill-ġdid l-opinjoni inizjali tagħha, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kkonfermat ir-rakkomandazzjoni tagħha li tirrifjuta bidla fl-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għall-medicina Translarna (ataluren). Il-bidla kienet tikkonċerna estensjoni tal-indikazzjoni biex tiżdied il-kura tal-pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne li ma għadhomx kapaci jimxu.

L-Aġenzija ħarġet l-opinjoni tagħha fis-17 ta' Ottubru 2019, wara li kkonkludiet l-eżami mill-ġdid. Din kienet ħarġet l-opinjoni inizjali tagħha fis-27 ta' Ġunju 2019.

Il-kumpanija li kienet applikat għal bidla fl-awtorizzazzjoni ta' Translarna hija PTC Therapeutics International Limited.

X'inhu Translarna u għal xiex jintuża?

Translarna huwa medicina li tintuża biex tikkura pazjenti minn età ta' sentejn 'il fuq b'distrofija muskolari Duchenne u li jistgħu jimxu. Distrofija muskolari Duchenne hija marda ġenetika li gradwalment tikkawża dgħufija u telf tal-funzjoni tal-muskoli. Translarna jintuża fil-grupp żgħir ta' pazjenti li l-marda tagħhom hija kkawżata minn difett ġenetiku speċifiku (imsejjaħ 'mutazzjoni nonsens') fil-ġene distrofin.

Translarna ilu awtorizzat fl-UE sa minn Lulju 2014. Dan fih is-sustanza attiva ataluren u jiġi bħala granuli li għandhom jittieħdu mill-ħalq.

Aktar informazzjoni dwar l-użu attwali ta' Translarna tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Għal liema bidla kienet applikat il-kumpanija?

Il-kumpanija applikat għal estensjoni tal-indikazzjoni biex tiżdied il-kura tal-pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne li ma għadhomx kapaci jimxu.

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



Kif jaħdem Translarna?

Il-pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne għandhom nuqqas ta' distrofin normali, proteina li tinstab fil-muskoli. Minħabba li din il-proteina tgħin biex tiproteġi l-muskoli minn korriment waqt li l-muskoli jikkontrattaw u jirrilassaw, f'pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne, il-muskoli ssirihom il-ħsara u eventwalment jieqfu jaħdmu.

Distrofija muskolari Duchenne tista' tiġi kkawżata minn numru ta' anormalitajiet ġenetiċi. Translarna huwa għal użu f'pazjenti li l-marda tagħhom hija minħabba l-preżenza ta' ċerti difetti (imsejha mutazzjonijiet nonsens) fil-ġene distrofin li jwaqqfu b'mod prematur il-produzzjoni ta' distrofin, li twassal għal proteina distrofin imqasra li ma taħdimx sew. Translarna jaħdem f'dawn il-pazjenti billi jippermetti lill-apparat li jagħmel il-proteini fiċ-ċelloli jaqbez id-difett, u dan iħalli liċ-ċelluli jipproduċu proteina distrofin li taħdem.

X'ipprezentat il-kumpanija biex tappoġġja l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprovdiet *data* biex turi li l-ġisem jittratta l-medicina b'mod simili f'pazjenti li jistgħu jimxu u dawk li ma jistgħux.

Barra minn hekk, il-kumpanija pprezentat ir-riżultati ta' studju li involva 94 pazjent b'mutazzjoni nonsens ta' distrofija muskolari Duchenne, li 44 minnhom ma kinux għadhom kapaċi jimxu. Għalkemm l-objettiv ewlieni tal-istudju kien li jivvaluta s-sigurtà fit-tul ta' Translarna, l-istudju investiga wkoll l-effikaċja tal-kura f'pazjenti li ma setgħux jimxu, billi kejjel il-bidliet fil-funzjoni tal-pulmun. Il-kumpanija mbagħad qabblat ir-riżultati ma' *data* storika minn pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne rreġistrata fil-bażi tad-*data* tas-CINRG (Grupp ta' Riċerka Newromuskolari Internazzjonali Kooperattiv).

Liema kienu r-raġunijiet ewlenin għar-rifjut tal-bidla fl-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq?

Il-fatt li Translarna jiġi ttrattat mill-ġisem b'mod simili f'pazjenti li jistgħu jimxu u dawk li ma jistgħux ma kienx biżżejjed biex tiġi kkonfermata l-effettività ta' Translarna f'dawn il-pazjenti. Dan minħabba li l-pazjenti li ma jistgħux jimxu qegħdin fi stadju aktar avvanzat tal-marda u għandhom massa muskolari mnaqqa u għalhekk il-benefiċċji tal-kura jistgħu jkunu differenti.

Id-*data* addizzjonali mill-istudju lanqas ma setgħet tikkonferma l-benefiċċju ta' Translarna f'pazjenti li ma għadhomx jistgħu jimxu minħabba li kien hemm problemi fil-mod kif id-*data* mill-bażi tad-*data* tas-CINRG, li ntużat indirettament biex jitqabblu l-effetti ta' Translarna, ġiet magħżula u analizzata.

Għalhekk, l-Aġenzija kienet tal-opinjoni li l-bilanċ tal-benefiċċji u r-riskji ta' Translarna f'pazjenti li ma jistgħux jimxu ma setax jiġi stabbilit u rakkomandat li l-bidla fl-awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq tiġi rifjutata. Ir-rifjut ġie kkonfermat wara l-eżami mill-ġdid.

Dan ir-rifjut jaffettwa lill-pazjenti fi provi kliniċi?

Il-kumpanija informat lill-Aġenzija li ma kien hemm l-ebda konsegwenza għal pazjenti li qed jirċievu Translarna fi provi kliniċi.

Jekk inti qed tieħu sehem fi prova klinika u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, kellek lit-tabib tal-prova klinika tiegħek.

X'qed jìgri b'Translarna għall-kura ta' pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne li jistgħu jimxu?

Ma hemm l-ebda konsegwenza għall-użu ta' Translarna fl-indikazzjoni awtorizzata tiegħu.