



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. október 2019  
EMA/565599/2019  
EMA/H/C/002720/II/0047

## Zamietnutie zmeny povolenia na uvedenie na trh pre liek Translarna (ataluren)

Opätovné preskúmania potvrdilo zamietnutie

Po preskúmaní svojho pôvodného stanoviska Európska agentúra pre lieky potvrdila svoje odporúčanie zamietnuť zmenu povolenia na uvedenie na trh pre liek Translarna (ataluren). Zmena zahŕňala rozšírenie indikácie o liečbu pacientov s Duchennovou svalovou dystrofiou, ktorí už nie sú schopní chodiť.

Agentúra vydala svoje stanovisko 17. októbra 2019 po ukončení opätovného preskúmania. Svoje pôvodné stanovisko vydala 27. júna 2019.

Spoločnosť, ktorá požiadala o zmenu povolenia lieku Translarna, je spoločnosť PTC Therapeutics International Limited.

### Čo je liek Translarna a na čo sa používa?

Translarna je liek, ktorý sa používa na liečbu pacientov vo veku dvoch rokov a starších s Duchennovou svalovou dystrofiou, ktorí sú schopní chodiť. Duchennova 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.

Liek Translarna je v EÚ povolený od júla 2014. Obsahuje liečivo ataluren a je k dispozícii vo forme granulátu, ktorý sa má užívať cez ústa.

Viac informácií o súčasných použitíach lieku Translarna sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna).

### O akú zmenu spoločnosť požiadala?

Spoločnosť požiadala o rozšírenie indikácie o liečbu pacientov s Duchennovou svalovou dystrofiou, ktorí už nedokážu chodiť.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## **Akým spôsobom liek Translarna účinkuje?**

Pacientom s Duchennovou 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 Duchennovou svalovou dystrofiou sa svaly poškodzujú a napokon prestanú fungovať.

Duchennova 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 dystrofínu, 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.

## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Spoločnosť predložila údaje, ktoré preukazujú, že telo reaguje na liek podobným spôsobom u pacientov, ktorí sú schopní chodiť, aj u tých, ktorí nedokážu chodiť.

Spoločnosť okrem toho predložila výsledky štúdie zahŕňajúcej 94 pacientov s nezmyselnou mutáciou Duchennovej svalovej dystrofie, z ktorých 44 už nemohlo chodiť. Hoci hlavným cieľom štúdie bolo posúdiť bezpečnosť lieku Translarna z dlhodobého hľadiska, skúmala sa v nej aj účinnosť liečby u pacientov, ktorí nemôžu chodiť, a merali sa v nej zmeny vo funkcii pľúc. Spoločnosť potom porovnala výsledky s historickými údajmi od pacientov s Duchennovou svalovou dystrofiou zaznamenanými v databáze siete CINRG (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

## **Aké boli hlavné dôvody zamietnutia zmeny povolenia na uvedenie na trh?**

To, že telo reaguje na liek Translarna podobným spôsobom u pacientov, ktorí sú schopní chodiť, aj u tých, ktorí nedokážu chodiť, nestačilo na potvrdenie účinnosti lieku Translarna u týchto pacientov. Je tomu tak preto, lebo pacienti, ktorí nie sú schopní chodiť, sú v pokročilom štádiu ochorenia a majú zníženú svalovú hmotu. Prínosy liečby sa tým pádom môžu líšiť.

Ani dodatočnými údajmi zo štúdie sa nemohol potvrdiť prínos lieku Translarna u pacientov, ktorí už nedokážu chodiť, pretože spôsob, akým sa údaje z databázy CINRG vybrali a analyzovali a ktorý sa použil na nepriame porovnanie účinkov lieku Translarna, bol problematický.

Agentúra preto dospela k názoru, že pomer prínosu a rizika lieku Translarna pri liečbe pacientov, ktorí nemôžu chodiť, nemožno stanoviť, a odporučila zamietnuť zmenu povolenia na uvedenie na trh. Po opätovnom preskúmaní sa zamietnutie potvrdilo.

## **Má stiahnutie žiadosti dôsledky na pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach?**

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, pozhovárajte sa so svojím lekárom, u ktorého klinické skúšanie podstupujete.

## **Čo sa stane s liekom Translarna, ktorý sa používa na liečbu pacientov s Duchennovou svalovou dystrofiou, ktorí sú schopní chodiť?**

Na používanie lieku Translarna v jeho povolenej indikácii nevyplývajú žiadne dôsledky.