



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 oktober 2019
EMA/565599/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Avslag på ansökan om en ändring av godkännandet för försäljning av Translarna (ataluren)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Efter att ha omprövat sitt ursprungliga yttrande har Europeiska läkemedelsmyndigheten bekräftat sin rekommendation att avslå ansökan om en ändring av godkännandet för försäljning av läkemedlet Translarna (ataluren). Ändringen avsåg en utökning av indikationen till att även omfatta behandling av patienter med Duchennes muskeldystrofi som inte längre kan gå.

Myndigheten utfärdade sitt yttrande den 17 oktober 2019 efter att ha avslutat omprövningen. Den hade utfärdat sitt ursprungliga yttrande den 27 juni 2019.

Företaget som hade ansökt om ändringen av Translarnas godkännande är PTC Therapeutics International Limited.

Vad är Translarna och vad används det för?

Translarna är ett läkemedel som används för att behandla patienter i åldern 2 år eller äldre med Duchennes muskeldystrofi som kan gå. Duchennes muskeldystrofi är en genetisk sjukdom som leder till en gradvis ökande svaghet och förlorad muskelfunktion. Translarna används i den lilla gruppen av patienter vars sjukdom är en följd av en specifik genetisk defekt (en s.k. nonsensmutation) i dystrofingenen.

Translarna har varit godkänt i EU sedan juli 2014. Det innehåller den aktiva substansen ataluren och finns som granulat som tas genom munnen.

Mer information om Translarnas nuvarande användningar finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte om en utökning av indikationen till att även omfatta behandling av patienter med Duchennes muskeldystrofi som inte längre kan gå.



Hur verkar Translarna?

Patienter med Duchennes muskeldystrofi saknar normalt dystrofin, ett protein som finns i musklerna. Eftersom detta protein hjälper till att skydda musklerna mot skador när de dras samman och slappnar av, skadas musklerna hos patienter som har Duchennes muskeldystrofi och slutar så småningom att fungera.

Duchennes muskeldystrofi kan orsakas av många olika genetiska avvikelser. Translarna ges till patienter vars sjukdom är en följd av vissa defekter (s.k. nonsensmutationer) i dystrofingenen som i förtid avbryter produktionen av dystrofin, vilket leder till ett förkortat dystrofinprotein som inte fungerar som det ska. Translarna verkar hos dessa patienter genom att låta den proteinskapande apparaten i cellerna gå förbi defekten, så att cellerna kan producera ett fungerande dystrofinprotein.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in data för att visa att kroppen hanterar läkemedlet på samma sätt hos patienter som kan gå som hos dem som inte kan gå.

Dessutom lade företaget fram resultaten från en studie på 94 patienter med nonsensmutationen av Duchennes muskeldystrofi, varav 44 inte längre kunde gå. Även om studiens främsta målsättning var att bedöma Translarnas långsiktiga säkerhet, undersökte den även behandlingens effekt hos patienter som inte kan gå, genom att mäta förändringar i lungfunktion. Företaget jämförde sedan resultaten med historiska data från patienter med Duchennes muskeldystrofi som registrerats i databasen till CINRG (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om ändring av godkännandet för försäljning?

Det faktum att Translarna hanteras av kroppen på samma sätt hos patienter som kan gå som hos dem som inte kan gå var inte tillräckligt för att bekräfta Translarnas effekt hos dessa patienter. Detta beror på att patienter som inte kan gå befinner sig i ett mer framskridet stadium av sjukdomen och har en nedsatt muskelmassa, varför nyttan med behandlingen kan vara en annan.

De kompletterande uppgifterna från studien kunde heller inte bekräfta nyttan med Translarna hos patienter som inte längre kan gå, på grund av problem med valet och analysen av data från CINRG-databasen, vilken användes för att indirekt jämföra Translarnas effekter.

Därför ansåg myndigheten att Translarnas nytta-riskförhållande hos patienter som inte kan gå inte kunde fastställas och rekommenderade avslag på ansökan om ändring av godkännandet för försäljning. Avslaget bekräftades efter omprövning.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att detta inte får några följder för patienter som får Translarna i kliniska prövningar.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.

Vad händer med Translarna vid behandlingen av patienter med Duchennes muskeldystrofi som kan gå?

Avslaget får inga följder för användningen av Translarna vid dess godkända indikation.