



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/423254/2018
EMA/H/C/002720

Translarna (atalureno)

Información general sobre Translarna y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Translarna y para qué se utiliza?

Translarna es un medicamento que se utiliza para tratar a pacientes a partir de 2 años con distrofia muscular de Duchenne que son capaces de caminar. La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular. Translarna se usa en el pequeño grupo de pacientes cuya enfermedad está causada por un defecto genético específico (denominado «mutación sin sentido») en el gen de la distrofina.

La distrofia muscular de Duchenne es «rara», y Translarna ha sido designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 27 de mayo de 2005. Puede encontrar información adicional sobre la designación como medicamento huérfano en: ema.europa.eu/FindMedicine/HumanMedicines/RareDiseaseDesignation

¿Cómo se usa Translarna?

Translarna solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser iniciado por un médico especialista con experiencia en el manejo de la distrofia muscular de Duchenne/Becker.

Antes de comenzar el tratamiento con Translarna, los pacientes se someterán a una prueba genética para confirmar que su enfermedad se debe a una mutación sin sentido y que, por tanto, son adecuados para el tratamiento con Translarna.

Translarna está disponible en forma de gránulos (125, 250 y 1 000 mg) para tomar por vía oral después de mezclarlos con alimentos líquidos o semisólidos (como yogur). Translarna se toma tres veces al día y la dosis recomendada es de 10 mg/kg (10 mg por kilogramo de peso corporal) por la mañana, 10 mg/kg a mediodía y 20 mg/kg por la noche (lo que supone una dosis diaria total de 40 mg/kg).

Para mayor información sobre el uso de Translarna, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.



¿Cómo actúa Translarna?

Los pacientes con distrofia muscular de Duchenne carecen de distrofina normal, una proteína que se encuentra en los músculos. Puesto que esta proteína ayuda a proteger a los músculos de lesiones cuando estos se contraen y se relajan, en los pacientes con distrofia muscular de Duchenne, los músculos se dañan y finalmente dejan de funcionar.

La distrofia muscular de Duchenne puede estar causada por diversas anomalías genéticas. Translarna se usa en pacientes cuya enfermedad está causada por la presencia de determinados defectos (llamadas mutaciones sin sentido) en el gen de la distrofina, lo cual detiene prematuramente la producción de una proteína distrofina normal, dando lugar a una proteína distrofina acortada que no funciona correctamente. Translarna actúa en estos pacientes permitiendo al aparato de producción de proteínas en las células avanzar más allá del defecto, de modo que las células puedan producir una proteína distrofina funcional.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Translarna en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron 174 pacientes de 5 a 20 años de edad con distrofia muscular de Duchenne capaces de caminar, se compararon dos dosis de Translarna (40 mg/kg al día y 80 mg/kg al día) con placebo (un tratamiento ficticio). El principal criterio de valoración de la eficacia fue la variación en la distancia que el paciente podía caminar en seis minutos, tras 48 semanas de tratamiento.

Aunque un análisis inicial de los resultados de todos los datos del estudio no mostró una diferencia significativa en las distancias que podían caminar los pacientes en los grupos de Translarna y placebo, análisis posteriores indicaron que la capacidad para caminar se había reducido en menor medida con 40 mg/kg al día de Translarna que con placebo: al cabo de 48 semanas de tratamiento, los pacientes que recibían 40 mg/kg al día de Translarna podían caminar, como promedio, 32 metros más que los que recibieron placebo. El efecto fue más acusado en un subgrupo de pacientes cuya capacidad de caminar estaba empeorando, en el que los que tomaron 40 mg/kg de Translarna al día que pudieron caminar un promedio de 50 metros más que aquellos que tomaron placebo. El efecto beneficioso de la dosis inferior se vio respaldado por mejoras en otros parámetros relacionados con la eficacia, incluidos los vinculados directamente a las actividades diarias de los pacientes. No se observó mejora con la dosis mayor (80 mg/kg/día).

Otro estudio, en el que participaron 230 pacientes de 7 a 14 años de edad cuya capacidad de caminar estaba empeorando, se completó tras una autorización inicial pero sus resultados no se consideraron concluyentes. No obstante, las datos indicaron que Translarna tuvo un efecto positivo sobre distintos parámetros como el tiempo necesario para correr o caminar 10 metros, el tiempo para subir y bajar 4 escalones y el tiempo transcurrido hasta perder la capacidad de caminar. En ambos estudios, los efectos beneficiosos de Translarna parecían ser más evidentes en los pacientes con un empeoramiento moderado de la enfermedad.

Un estudio de tamaño reducido en el que participaron niños de 2 a 5 años de edad con distrofia muscular de Duchenne demostró que la dosis habitual de 40 mg/kg/día de Translarna era suficiente. Al parecer, Translarna fue eficaz en la evaluación de la actividad física de 12 pacientes en comparación con los registros anteriores de 11 pacientes de edades parecidas que no habían sido tratados con Translarna.

¿Cuál es el riesgo asociado a Translarna?

Los efectos adversos más frecuentes de Translarna (pueden afectar a más de 5 de cada 100 pacientes) son vómitos, diarrea, náuseas, dolor de cabeza, dolor de estómago y flatulencia.

No debe usarse Translarna al mismo tiempo que los antibióticos aminoglucósidos administrados mediante inyección o perfusión (goteo) en una vena.

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Translarna se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Translarna en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Translarna son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

A pesar de la necesidad de disponer de más información, la Agencia consideró que las pruebas apuntan a que Translarna ralentiza el avance de la enfermedad y que su perfil de seguridad no es motivo de gran preocupación. La Agencia reconoció que los pacientes con distrofia muscular de Duchenne presentan una necesidad de tratamiento no cubierta para esta grave enfermedad.

A Translarna se le ha concedido una «autorización condicional». Esta modalidad de aprobación implica que se espera obtener más información sobre este medicamento. La Agencia revisará cada año la información nueva que pueda estar disponible y esta información general se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Translarna?

Dado que a Translarna se le ha concedido una autorización condicional, la compañía que lo comercializa deberá presentar los resultados de un nuevo estudio en el que se compare Translarna con un placebo para confirmar su eficacia y seguridad.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Translarna?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Translarna se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Translarna se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Translarna son evaluados cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Translarna

Translarna ha recibido una autorización de comercialización condicional válida en toda la Unión Europea el 31 de julio de 2014.

Puede encontrar información adicional sobre Translarna en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Fecha de la última actualización de este resumen: 06-2018.