



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (atalureen)

Ülevaade ravimist Translarna ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Translarna ja milleks seda kasutatakse?

Translarna on ravim, mida kasutatakse Duchenne'i lihasdüstroofia raviks vähemalt 2-aastastel kõndimisvõimelistel patsientidel. Duchenne'i lihasdüstroofia on geneetiline haigus, mis põhjustab progresseeruvat lihasnõrkust ja lihasfunktsiooni kadu. Translarnat kasutatakse düstrofiini geeni spetsiifilisest geenidefektist (nonsenss-mutatsioonist) põhjustatud lihasdüstroofiaga patsientide väikeses rühmas.

Duchenne'i lihasdüstroofia esineb harva ja Translarna nimetati 27. mail 2005 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kuidas Translarnat kasutatakse?

Translarna on retseptiravim ja ravi Translarnaga peab alustama eriarst, kes on kogenud Duchenne'i/Beckeri lihasdüstroofia ravis.

Enne ravi alustamist Translarnaga tehakse patsientidele geenitest, et kontrollida, kas nende haigus on tingitud nonsenss-mutatsioonist ja kas seega ravi Translarnaga sobib neile.

Translarnat turustatakse graanulitena (125, 250 ja 1000 mg), mis manustatakse suukaudselt pärast segamist vedela või poolvedela toiduga (nt jogurtiga). Translarnat manustatakse kolm korda ööpäevas ja soovitatav annus on 10 mg/kg (10 mg kehamassi kg kohta) hommikul, 10 mg/kg keskpäeval ja 20 mg/kg õhtul (ööpäevane koguanus 40 mg/kg).

Lisateavet Translarna kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige arsti või apteekriga.

Kuidas Translarna toimib?

Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientidel puudub normaalne düstrofiin, mis on üks lihasevalkudest. Et see valk aitab kaitsta lihaseid kokkutõmbumisel ja lõdvestumisel vigastuste eest, kahjustuvad Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientide lihased ja lakkavad lõpuks töötamast.



Duchenne'i lihasdüstroofiat võivad põhjustada mitmed geneetilised anomaaliad. Translarna on näidustatud kasutamiseks patsientidel, kelle haigus on põhjustatud düstrofiini geeni teatud defektidest (nonsenss-mutatsioonidest), mis peatavad enneaegselt normaalse düstrofiinvalgu tootmise, mistõttu düstrofiinvalk on lühem ega toimi korralikult. Translarna toimib neil patsientidel viisil, mis võimaldab rakkude valgusünteesi süsteemil defekti parandada, mistõttu rakud saavad toota toimivat düstrofiinvalku.

Milles seisneb uuringute põhjal Translarna kasulikkus?

Ühes põhiuuringus, milles osales 174 Duchenne'i lihasdüstroofiaga kõndimisvõimelist 5–20-aastast patsienti, võrreldi Translarna kahte annust (40 mg/kg ööpäevas ja 80 mg/kg ööpäevas) platseeboga (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli patsiendi 6 minuti jooksul kõndides läbitud kauguse muutus pärast 48-nädalast ravi.

Kuigi kõigi uuringuandmete esialgse analüüsi tulemused ei näidanud Translarna uuringurühma ja platseeborühma patsientidel kõndimiskauguse olulist erinevust, osutas edasine analüüs, et kõndimisvõime halvenes Translarna 40 mg/kg ööpäevase annuse kasutamisel vähem kui platseeboga: pärast 48 ravinädalat suutsid Translarnat annuses 40 mg/kg ööpäevas saanud patsiendid kõndida keskmiselt 32 m rohkem kui platseebot saanud patsiendid. Mõju oli väljendunud halveneva kõndimisvõimega patsientide alarühmas, kus patsiendid, kes võtsid Translarnat annuses 40 mg/kg ööpäevases, suutsid kõndida keskmiselt 50 m rohkem kui platseebot saanud patsiendid. Väiksema annuse kasulikkust mõju kinnitas ka teiste efektiivsusnäitajate, sealhulgas patsientide igapäevaste tegevustega otseselt seotud näitajate paranemine. Suurema annusega (80 mg/kg ööpäevas) paranemist ei täheldatud.

Pärast esialgset heakskiitu tehti täiendav uuring 230-l halveneva kõndimisvõimega 7–14-aastasel patsiendil, kuid selle uuringu tulemusi peeti ebaselgeteks. Andmetest selgus siiski, et Translarnal oli positiivne mõju erinevatele näitajatele, nt 10 meetri joostes või kõndides läbimise aeg, trepil neli astet üles-alla liikumise aeg ning kõndimisvõime kaotamiseni kulunud aeg. Mõlemas uuringus oli Translarna kasulik mõju väljendunud patsientidel, kelle haigus mõõdukalt halvenes.

2–5-aastaste Duchenne'i lihasdüstroofiaga laste väikesearvulises uuringus tuvastati, et Translarna tavapärane annus 40 mg/kg ööpäevas on piisav. 12 patsiendi füüsilise aktiivsuse hindamise alusel tundus Translarna olevat efektiivne, võrreldes varasemate andmetega 11 sarnases vanuses patsiendi kohta, keda ei ravitud Translarnaga.

Mis riskid Translarnaga kaasnevad?

Translarna kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 5 patsiendil 100st) on oksendamine, kõhulahtisus, iiveldus, peavalu, kõhuvalu ja kõhupuhitus.

Translarnat ei tohi kasutada samaaegselt aminoglükosiidantibiootikumidega, mida manustatakse veeni süstides või infusiooniga.

Translarna kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Translarnale väljastatud müügiloa põhjendus

Euroopa Raviamet otsustas, et Translarna kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Vaatamata täiendavate andmete vajadusele otsustas amet, et tõendid viitavad sellele, et Translarna aeglustab haiguse progresseerumist ja et ravimi ohutusprofiil ei ole probleem. Amet märkis ka, et Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientide vajadus selle raske haiguse raviks ei ole täidetud.

Translarna on saanud müügiloo tingimusliku heakskiidu alusel. See tähendab, et ettevõtte peab esitama ravimi kohta veel andmeid. Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat ülevaadet.

Mis teavet Translarna kohta veel oodatakse?

Et Translarna on saanud müügiloo tingimusliku heakskiidu alusel, esitab Translarna turustaja uue uuringu tulemused, milles Translarnat võrreldakse platseboga, et kinnitada selle efektiivsust ja ohutust.

Mis meetmed võetakse, et tagada Translarna ohutu ja efektiivne kasutamine?

Translarna ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Translarna kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Translarna kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Translarna kohta

Translarna on saanud müügiloo tingimusliku heakskiidu alusel, mis kehtib kogu ELis, 31. juulil 2014.

Lisateave Translarna kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06.2018