



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarnan (atalureeni) myyntilupaa koskevan muutoksen epääminen

Epääminen vahvistettu uudelleenarvioinnissa

Euroopan lääkevirasto on alkuperäisen lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen vahvistanut suosituksensa evätä Translarna-valmisteen (atalureeni) myyntiluvan muutos. Muutos koski käyttöaiheen laajentamista siten, että siihen lisättäisiin sellaisten Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden hoito, jotka eivät pysty enää kävelemään.

Virasto antoi lausuntonsa 17. lokakuuta 2019 saatuaan uudelleenarvioinnin päätökseen. Se oli antanut alkuperäisen lausuntonsa 27. kesäkuuta 2019.

Translarnan myyntiluvan muutosta hakenut yhtiö on PTC Therapeutics International Limited.

Mitä Translarna on ja mihin sitä käytetään?

Translarna on lääke, jota käytetään Duchennen lihasdystrofian hoitoon vähintään kahden vuoden ikäisillä potilailla, jotka pystyvät kävelemään. Duchennen lihasdystrofia on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa vähitellen lihasheikkoutta ja surkastuttaa lihakset. Translarnaa käytetään niiden potilaiden pienessä joukossa, joiden sairaus on tietyn dystrofiinigeenissä olevan geenivaurion ("nonsense-mutaation") aiheuttama.

Translarnalla on ollut myyntilupa EU:ssa heinäkuusta 2014 lähtien. Sen vaikuttava aine on atalureeni, ja sitä on saatavana suun kautta otettavina rakeina.

Lisätietoja Translarnan nykyisistä käyttöaiheista on viraston verkkosivustolla:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Mitä muutosta yhtiö on hakenut?

Yhtiö on hakenut käyttöaiheen laajentamista siten, että siihen lisättäisiin sellaisten Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden hoito, jotka eivät pysty enää kävelemään.

Miten Translarna vaikuttaa?

Duchennen lihasdystrofiaa sairastavilta potilailta puuttuu normaali dystrofiini, eräs lihaksissa oleva proteiini. Tämä proteiini auttaa lihaksia suojautumaan vaurioilta, kun ne supistuvat ja rentoutuvat.

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



Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden lihakset vaurioituvat ja lakkaavat lopulta toimimasta, koska heillä ei ole tätä proteiinia.

Duchennen lihasdystrofiaa voivat aiheuttaa monet geneettiset poikkeavuudet. Translarna on tarkoitettu niille potilaille, joiden sairaus johtuu tietyistä dystrofiinigeenin vaurioista (nonsense-mutaatioista). Niiden vuoksi dystrofiinin tuotanto lakkaa ennenaikaisesti, jolloin tuloksena on normaalia lyhyempi dystrofiiniproteiini, joka ei toimi kunnolla. Näillä potilailla Translarna vaikuttaa siten, että solujen proteiineja valmistava koneisto pystyy ohittamaan vaurion, jolloin solut voivat valmistaa toimintakykyistä dystrofiiniproteiinia.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö toimitti tietoja osoittaakseen, että elimistö käsittelee lääkettä samalla tavoin potilailla, jotka pystyvät kävelemään, ja potilailla, jotka eivät pysty.

Lisäksi yhtiö esitti tulokset tutkimuksesta, johon osallistui 94 nonsense-mutaatiosta johtuvaa Duchennen lihasdystrofiaa sairastavaa potilasta, joista 44 ei pystynyt enää kävelemään. Vaikka tutkimuksen päätavoitteena oli arvioida Translarnan pitkäaikaista turvallisuutta, tutkimuksessa tarkasteltiin myös hoidon tehoa sellaisilla potilailla, jotka eivät kyenneet kävelemään, mittaamalla keuhkojen toiminnan muutoksia. Yhtiö vertasi sitten näitä tuloksia aikaisempiin tietoihin, joita oli tallennettu Duchennen lihasdystrofiaa sairastavista potilaista CINRG-tietokantaan (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan muutoksen epäämiseen?

Se tieto, että elimistö käsittelee Translarnaa samalla tavoin potilailla, jotka pystyvät kävelemään, ja potilailla, jotka eivät pysty, ei riittänyt vahvistamaan Translarnan tehoa näiden potilaiden hoidossa. Tämä johtuu siitä, että kävelemään kykenemättömien potilaiden sairaus on edennyt pidemmälle ja heidän lihasmassansa on pienentynyt, joten hoidon hyöty saattaa olla erilainen.

Muut tutkimuksesta saadut tiedot eivät myöskään voineet vahvistaa Translarnan hyötyä potilailla, jotka eivät pysty enää kävelemään, koska CINRG-tietokannasta kerättyjen tietojen, joita käytettiin Translarnan vaikutusten epäsuorassa vertailussa, valinnassa ja analysoinnissa oli ongelmia.

Siksi virasto katsoi, että Translarnan riski-hyötytasapainoa sellaisten potilaiden hoidossa, jotka eivät pysty kävelemään, ei voitu osoittaa, ja suositteli myyntiluvan muutoksen epäämistä. Epääminen vahvistettiin uudelleenarvioinnin jälkeen.

Vaikuttaako tämä epääminen kliinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei epäämisestä ole mitään seurauksia potilaille, jotka saavat Translarnaa kliinisissä tutkimuksissa.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriisi.

Mitä tapahtuu Translarnan käytölle sellaisten Duchennen lihasdystrofiaa sairastavien potilaiden hoidossa, jotka pystyvät kävelemään?

Tämä ei vaikuta Translarnan käyttöön sen jo hyväksytyssä käyttöaiheessa.