



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Translarna-ra (ataluren) vonatkozó forgalombahozatali engedély módosításának elutasítása

A felülvizsgálat megerősíti az elutasítást

Az Európai Gyógyszerügynökség eredeti véleményének felülvizsgálatát követően megerősítette a Translarna (ataluren) készítményre vonatkozó forgalombahozatali engedély módosítását elutasító ajánlását. A módosítás a javallatnak az olyan, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegek kezelésére történő kiterjesztésére vonatkozott, akik már járásképtelenek.

Az Ügynökség a felülvizsgálat befejezése után, 2019. október 17-én adta ki véleményét. Az Ügynökség az eredeti véleményét 2019. június 27-én adta ki.

A Translarna engedélyének módosításáért folyamodó vállalat a PTC Therapeutics International Limited.

Milyen típusú gyógyszer a Translarna és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Translarna-t olyan, 2 éves vagy idősebb, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák, akik képesek járni. A Duchenne-féle muszkuláris disztrófia egy genetikai betegség, amely fokozatosan gyengeséget és az izomfunkció elvesztését okozza. A Translarna-t a betegek azon kis csoportjánál alkalmazzák, akiknél a betegséget a disztrofin gén speciális genetikai defektusa (úgynevezett „nonszensz mutáció”) okozza.

A Translarna 2014 július óta engedélyezett az EU-ban. Hatóanyaga az ataluren, és szájon át bevehető granulátum formájában kapható.

A Translarna jelenlegi alkalmazására vonatkozó további információ az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Milyen módosítás iránti kérelmet nyújtott be a vállalat?

A vállalat a javallatnak a Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő, már járásképtelen betegek kezelésére történő kiterjesztése iránti kérelmet nyújtott be.

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



Hogyan fejti ki hatását a Translarna?

A Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegeknél hiányzik a normális disztrofin, amely az izmokban található fehérje. Mivel ez a fehérje segít megvédeni az izmokat a sérüléstől, ahogy azok összehúzódnak és elernyednek, a Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegeknél az izmok károsodnak, és végül leáll a működésük.

A Duchenne-féle muszkuláris disztrófiát számos genetikai elváltozás okozhatja. A Translarna olyan betegeknél alkalmazható, akiknél a betegséget bizonyos defektusok (úgynevezett nonszensz mutációk) okozzák a disztrofin génben, amelyek idő előtt leállítják a normális disztrofin fehérje termelését, és egy rövidebb disztrofin fehérjét eredményeznek, amely nem működik megfelelően. A Translarna azáltal hat ezeknél a betegeknél, hogy lehetővé teszi a sejtekben a fehérjetermelő rendszer számára, hogy továbbhaladjon a defektuson, így a sejtek képessé válnak egy működőképes disztrofin fehérje előállítására.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat adatokat szolgáltatott annak bizonyítására, hogy a szervezet hasonló módon kezeli a készítményt a járásképes és járásképtelen betegek esetében.

A vállalat továbbá benyújtotta egy olyan vizsgálat eredményeit, amelyben 94, nonszensz mutációval rendelkező, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő beteg vett részt, akik közül 44 már járásképtelen volt. Bár a vizsgálat fő célja a Translarna hosszú távú biztonságosságának kiértékelése volt, a tanulmány – a légzésfunkció változásának mérésével – a járásképtelen betegek kezelésének hatásosságát is vizsgálta. A vállalat ezután az eredményeket összehasonlította a CINRG (Cooperative International Neuromuscular Research Group, Nemzetközi Együttműködési Neuromuskuláris Kutatócsoport) adatbázisában rögzített, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegektől származó korábbi adatokkal.

Melyek voltak a fő okai a forgalombahozatali engedély módosítása elutasításának?

Az a tény, hogy a Translarna-t a járásképes és a járásképtelen betegek szervezete hasonló módon kezeli, nem elegendő a Translarna ezen betegcsoportnál való hatásosságának igazolásához. Ennek oka az, hogy a járásképtelen betegek a betegség előrehaladottabb stádiumában vannak, izomtömegük csökkent, és így a kezelés előnyei eltérőek lehetnek.

A vizsgálatból származó további adatok sem erősítik meg a Translarna előnyét már járásképtelen betegeknél, mivel problémák merültek fel a Translarna hatásainak közvetett összehasonlítására használt, a CINRG adatbázisból származó adatok kiválasztásával és elemzésével kapcsolatban.

Így az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy a járásképtelen betegeknél a Translarna előny/kockázat aránya nem állapítható meg, és ezért a forgalombahozatali engedély módosításának elutasítását javasolta. Az elutasítást a felülvizsgálat után megerősítették.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a klinikai vizsgálatokban Translarna-kezelésben részesülő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, beszéljen a vizsgálatban részt vevő kezelőorvosával.

Mi történik a Translarna-val a Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő, járásképes betegek kezelése tekintetében?

A Translarna engedélyezett javallatban való alkalmazására nézve nincsenek következmények.

A gyógyszerkészítmény forgalomba hozatali engedélye megszűnt