



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019 m. spalio 18 d.  
EMA/565599/2019  
EMA/H/C/002720/II/0047

## Rekomendacija neleisti keisti Translarna (atalureno) registracijos pažymėjimo sąlygų

Po pakartotinio nagrinėjimo patvirtinta nepalanki nuomonė

Pakartotinai išnagrinėjusi savo pirminę nuomonę, Europos vaistų agentūra patvirtino savo rekomendaciją neleisti keisti vaisto Translarna (atalureno) registracijos pažymėjimo sąlygų. Prašytas registracijos pažymėjimo sąlygų pakeitimas buvo susijęs su indikacijos išplėtimu, kad šiuo vaistu taip pat būtų galima gydyti Diušeno (Duchenne) raumenų distrofija sergančius pacientus, kurie nebegali paeiti.

Užbaigusi pakartotinio nagrinėjimo procedūrą, 2019 m. spalio 17 d. agentūra paskelbė savo nuomonę. Savo pirminę nuomonę agentūra buvo paskelbusi 2019 m. birželio 27 d.

Paraišką dėl Translarna registracijos pažymėjimo sąlygų pakeitimo pateikė bendrovė „PTC Therapeutics International Limited“.

### Kas yra Translarna ir kam jis vartojamas?

Translarna – tai vaistas, kuriuo gydomi Diušeno raumenų distrofija sergantys, paeiti galintys 2 metų ir vyresni pacientai. Diušeno raumenų distrofija yra genetinė liga, kuria sergant palaipsniui silpnėja ir nyksta raumenų funkcija. Translarna skiriamas nedidelei grupei pacientų, kurių ligą sukelia ypatingas distrofino geno defektas (vadinamoji nonsense tipo mutacija).

Europos Sąjungoje Translarna įregistruotas nuo 2014 m. liepos mėn. Jo sudėtyje yra veikliosios medžiagos atalureno ir jis tiekiamas per burną vartojamų granulių forma.

Daugiau informacijos apie šiuo metu patvirtintas Translarna vartojimo indikacijas rasite agentūros tinklalapyje adresu: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna).

### Dėl kokio pakeitimo bendrovė teikė paraišką?

Bendrovė prašė leisti išplėsti indikaciją, kad šiuo vaistu taip pat būtų galima gydyti Diušeno raumenų distrofija sergančius pacientus, kurie nebegali paeiti.



## Kaip veikia Translarna?

Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų organizme nėra normalaus distrofino – raumenyse randamo baltymo. Kadangi šis baltymas padeda apsaugoti raumenis nuo sužeidimo, kai jie susitraukia ir atsipalaiduoja, Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų raumenys pažeidžiami ir galiausiai nustoja funkcionuoti.

Diušeno raumenų distrofiją gali sukelti keletas genetinių anomalijų. Translarna skirtas pacientams, kurių ligą sukėlė tam tikri distrofino geno defektai (vadinami nonsense tipo mutacijomis), dėl kurių pirmiau laiko nutrūksta distrofino gamyba, todėl distrofino baltymas sutrumpėja ir neveikia taip, kaip turėtų. Tokių pacientų organizme Translarna „įgalina“ baltymą gaminantį aparatą apeiti šį defektą, suteikdamas galimybę ląstelėms gaminti funkcionuojantį distrofino baltymą.

## Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė duomenis, kuriais siekė įrodyti, kad paeiti galinčių ir paeiti negalinčių pacientų organizme šis vaistas įsisavinamas panašiai.

Be to, bendrovė pateikė tyrimo, kuriame dalyvavo 94 nonsense tipo mutacijų sukelta Diušeno raumenų distrofija sergantys pacientai, iš kurių 44 nebegalėjo paeiti, rezultatus. Nors pagrindinis tyrimo tikslas buvo įvertinti ilgalaikį Translarna saugumą, atliekant šį tyrimą taip pat tirtas gydymo šiuo vaistu veiksmingumas paeiti negalintiems pacientams, kuris vertintas pagal jų plaučių funkcijos pokyčius. Vėliau bendrovė palygino rezultatus su anksčiau surinktais Diušeno raumenų distrofija sergančių pacientų tyrimų duomenimis, įtrauktais į Tarptautinės bendradarbiavimo nervų ir raumenų sutrikimų mokslinių tyrimų srityje grupės (angl. CINRG) duomenų bazę.

## Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota neleisti keisti registracijos pažymėjimo sąlygų?

Fakto, kad Translarna panašiai įsisavinamas paeiti galinčių ir paeiti negalinčių pacientų organizme, nepakako, siekiant patvirtinti, kad Translarna yra veiksmingas gydant paeiti negalinčius pacientus, nes šių pacientų liga yra labiau pažengusios stadijos ir jų raumenų masė sumažėjusi, todėl gydymo nauda šiems pacientams gali skirtis.

Šio tyrimo metu surinktais papildomais duomenimis taip pat nebuvo galima patvirtinti Translarna naudos nebegalintiems paeiti pacientams, nes buvo nustatyta trūkumų, susijusių su tuo, kaip buvo atrinkti ir analizuojami CINRG duomenų bazės duomenys (jie naudoti siekiant netiesiogiai palyginti duomenis apie Translarna poveikį).

Todėl agentūra laikėsi nuomonės, kad negalima nustatyti Translarna naudos ir rizikos santykio gydant paeiti negalinčius pacientus ir rekomendavo neleisti keisti registracijos pažymėjimo sąlygų. Pakartotinai išnagrinėjus priimtą nuomonę, patvirtinta rekomendacija neleisti keisti registracijos pažymėjimo sąlygų.

## Ar ši rekomendacija neleisti keisti registracijos pažymėjimo sąlygų turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė agentūrai, kad ši rekomendacija neleisti keisti registracijos pažymėjimo sąlygų neturės įtakos klinikiniuose tyrimuose dalyvaujantiems, Translarna vartojantiems pacientams.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.

**Ar keičiasi Translarna vartojimas pagal Diušeno raumenų distrofija sergančių, paeiti galinčių pacientų gydymo indikaciją?**

Translarna vartojimas pagal patvirtintą indikaciją nesikeičia.

Vaistinis preparatas neberegistruotas