

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

Translarna (atalureno)

Um resumo sobre Translarna e porque está autorizado na UE

O que é Translarna e para que é utilizado?

Translarna é um medicamento utilizado no tratamento de doentes a partir dos 2 anos de idade com distrofia muscular de Duchenne que apresentam capacidade de marcha. A distrofia muscular de Duchenne é uma doença genética que causa gradualmente fraqueza e perda da função muscular. Translarna é utilizado no pequeno grupo de doentes de Duchenne cuja doença é causada por um defeito genético específico (conhecido por «mutação nonsense») no gene distrofina.

A distrofia muscular de Duchenne é uma doença rara, e Translarna foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 27 de maio de 2005. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas aqui: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation

Como se utiliza Translarna?

Translarna só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado por um médico especialista com experiência no tratamento da distrofia muscular de Duchenne/Becker.

Antes do início do tratamento com Translarna, os doentes serão submetidos a um teste genético para confirmar que a sua doença se deve a uma mutação «nonsense» e que são, por conseguinte, adequados para o tratamento com Translarna.

Translarna está disponível na forma de granulado (125, 250 e 1000 mg) a ser tomado por via oral (pela boca), após a mistura com líquidos ou alimentos semissólidos (tais como o iogurte). Translarna é tomado três vezes por dia e a dose recomendada é de 10 mg/kg (10 mg por quilograma de peso corporal) de manhã, 10 mg/kg a meio do dia e 20 mg/kg à noite (ou seja, uma dose diária total de 40 mg/kg).

Para mais informações sobre a utilização de Translarna, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Translarna?

Os doentes que sofrem de distrofia muscular de Duchenne têm falta de distrofina normal, uma proteína presente nos músculos. Dado esta proteína ajudar a proteger os músculos de danos durante a contração e a descontração musculares, nos doentes com distrofia muscular de Duchenne, os músculos sofrem lesões e acabam por deixar de funcionar.

A distrofia muscular de Duchenne pode ser causada por uma série de anomalias genéticas. Translarna destina-se a ser utilizado em doentes cuja doença se deve à presença de determinados defeitos (as chamadas mutações «nonsense») no gene distrofina, que interrompem de forma prematura a produção de uma proteína distrofina normal, gerando uma proteína distrofina encurtada que não funciona devidamente. O modo de funcionamento de Translarna nestes doentes permite que o sistema de produção de proteínas nas células transponha o defeito, permitindo que estas passem a produzir uma proteína distrofina funcional.

Quais os benefícios demonstrados por Translarna durante os estudos?

Num estudo principal que incluiu 174 doentes com idades entre os 5 e os 20 anos com distrofia muscular de Duchenne e com capacidade de marcha, foram comparadas duas doses de Translarna (40 mg/kg por dia e 80 mg/kg por dia) com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a modificação da distância que os doentes eram capazes de percorrer a passo, em seis minutos, após 48 semanas de tratamento.

Ainda que uma análise inicial dos resultados de todos os dados do estudo não tenha demonstrado uma diferença significativa em termos de distâncias que os grupos tratados com Translarna e placebo conseguiam percorrer, as análises adicionais indicaram que a capacidade de marcha sofreu uma redução mais pequena com 40 mg/kg por dia de Translarna do que com placebo: decorridas 48 semanas de tratamento, os doentes que receberam 40 mg/kg por dia de Translarna conseguiram caminhar, em média, mais 32 metros do que os doentes que receberam o placebo. O efeito foi mais acentuado num subgrupo de doentes cuja capacidade de caminhar estava a piorar. Neste subgrupo, os doentes que tomaram 40 mg/kg por dia de Translarna conseguiram caminhar em média 50 metros mais do que os que tomaram o placebo. Este efeito benéfico da dose mais baixa foi igualmente acompanhado por melhorias noutros parâmetros de eficácia, incluindo aqueles diretamente ligados às atividades diárias dos doentes. Não se observou qualquer melhoria com a dose mais alta (80 mg/kg por dia).

Após a aprovação inicial, foi realizado um estudo adicional em 230 doentes com idades entre os 7 e 14 anos com agravamento da capacidade de marcha. Porém, os resultados deste estudo foram considerados inconclusivos. No entanto, os dados indicaram que Translarna tinha um efeito positivo em vários parâmetros tais como o tempo necessário para correr ou caminhar uma distância de 10 metros, e o tempo necessário para subir e descer 4 degraus e para perder a capacidade de marcha. Em ambos os estudos, os efeitos benéficos de Translarna apareceram ser mais evidentes nos doentes com um declínio moderado da sua doença.

Um pequeno estudo em crianças entre os 2 e 5 anos de idade com distrofia muscular de Duchenne demonstrou que a dose habitual de 40 mg/kg por dia é suficiente. Translarna apareceu ser eficaz numa avaliação da atividade física em 12 doentes quando comparados com os resultados anteriores de 11 doentes da mesma faixa etária que não foram tratados com Translarna.

Quais são os riscos associados a Translarna?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Translarna (que podem afetar mais de 5 em cada 100 pessoas) são vômitos, diarreia, náuseas (sensação de enjoo), dor de cabeça, dor de barriga e flatulência.

Translarna não pode ser utilizado concomitantemente com antibióticos aminoglicosidos administrados por injeção ou por perfusão (administraçãogota a gota) numa veia.

Para a lista completa das restrições de utilização e dos efeitos secundários comunicados relativamente a Translarna, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Translarna autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Translarna são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Apesar da necessidade de informações suplementares, a Agência considerou que os dados sugerem que Translarna abrandaria a progressão da doença e que o respetivo perfil de segurança não representa uma preocupação importante. A Agência considerou que os doentes com distrofia muscular de Duchenne têm necessidades de tratamento não satisfeitas para esta doença grave.

Foi concedida a Translarna uma autorização condicional. Isto significa que se aguardam dados adicionais sobre este medicamento, que a empresa está obrigada a fornecer. A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre Translarna?

Dado que foi concedida uma autorização condicional a Translarna, a empresa que comercializa Translarna irá fornecer os resultados de um novo estudo que compara Translarna com placebo, de modo a confirmar a sua eficácia e segurança.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Translarna?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Translarna.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Translarna são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Translarna são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Translarna

Em 31 de julho de 2014, Translarna recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado condicional, válida para toda a UE.

Mais informações sobre Translarna podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2018.