



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zavrnitev vloge za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom Translarna (ataluren)

Zavrnitev po ponovni presoji potrjena

Evropska agencija za zdravila je po ponovni presoji prvotnega mnenja potrdila svoje priporočilo za zavrnitev vloge za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom Translarna (ataluren). Sprememba zadeva razširitev indikacije, v katero naj bi bilo vključeno zdravljenje bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo, ki ne morejo več hoditi.

Agencija je po zaključku ponovne presoje svoje mnenje izdala 17. oktobra 2019. Svoje prvotno mnenje je izdala 27. junija 2019.

Za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom Translarna je zaprosilo podjetje PTC Therapeutics International Limited.

Kaj je zdravilo Translarna in za kaj se uporablja?

Translarna je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo, ki so starejši od dveh let in lahko hodijo. Duchennova mišična distrofija je genetska bolezen, ki postopoma povzroči šibkost in prenehanje delovanja mišic. Zdravilo Translarna se uporablja pri majhni skupini bolnikov, pri katerih je bolezen posledica posebne genetske okvare (imenovane „nesmiselna mutacija“) gena za distrofin.

Zdravilo Translarna je v EU odobreno od julija 2014. Vsebuje učinkovino ataluren in je na voljo v obliki zrn, ki se jemljejo peroralno.

Več informacij o trenutnih uporabah zdravila Translarna je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Za katero spremembo je podjetje zaprosilo?

Podjetje je zaprosilo za razširitev indikacije, v katero naj bi bilo vključeno zdravljenje bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo, ki ne morejo več hoditi.



Kako zdravilo Translarna deluje?

Bolnikom z Duchennovo mišično distrofijo primanjkuje normalnega distrofina, tj. beljakovine, ki je prisotna v mišicah. Ker ta beljakovina pomaga ščititi mišice pred poškodbami ob njihovem krčenju in sproščanju, se mišice pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo poškodujejo in sčasoma prenehajo delovati.

Duchennovo mišično distrofijo lahko povzročijo številne genetske anomalije. Zdravilo Translarna je namenjeno za uporabo pri bolnikih, pri katerih je bolezen posledica prisotnosti določenih okvar (imenovanih nesmiselne mutacije) gena za distrofin, ki predčasno zaustavijo tvorbo distrofina, zaradi česar nastane skrajšana oblika beljakovine distrofin, ki ne deluje pravilno. Zdravilo Translarna pri teh bolnikih deluje tako, da omogoči mehanizmom v celicah, ki sodelujejo pri tvorbi beljakovine, da premostijo okvaro, s čimer omogoči celicam, da izdelajo funkcionalno beljakovino distrofin.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo podatke, ki dokazujejo, da se zdravilo presnavlja podobno pri bolnikih, ki lahko hodijo, in bolnikih, ki ne morejo hoditi.

Poleg tega je podjetje predložilo rezultate študije, ki je vključevala 94 bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo z nesmiselno mutacijo, od katerih jih 44 ne more več hoditi. Čeprav je bil glavni cilj študije oceniti dolgoročno varnost zdravila Translarna, so preučevali tudi učinkovitost zdravljenja pri bolnikih, ki ne morejo hoditi, in sicer z merjenjem sprememb v delovanju pljuč. Podjetje je nato primerjalo rezultate s starimi podatki pri bolnikih z Duchennovo mišično distrofijo iz zbirke podatkov CINRG (kooperativne mednarodne skupine za živčno-mišične raziskave).

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za spremembo dovoljenja za promet?

Dejstvo, da se zdravilo Translarna pri bolnikih, ki lahko hodijo, in bolnikih, ki ne morejo hoditi, presnavlja podobno, ne zadošča za potrditev učinkovitosti zdravila Translarna pri teh bolnikih. Bolezen pri bolnikih, ki ne morejo hoditi, je namreč v bolj napredovalem stadiju, bolniki pa imajo manjšo mišično maso, zato so koristi zdravljenja lahko drugačne.

Z dodatnimi podatki iz študije prav tako niso mogli dokazati koristi zdravila Translarna pri bolnikih, ki ne morejo več hoditi, saj so bile težave pri izboru in analizi podatkov iz zbirke podatkov CINRG, ki so jih uporabili za posredno primerjavo učinkov zdravila Translarna.

Zato je agencija menila, da razmerja med koristmi in tveganji zdravila Translarna pri bolnikih, ki ne morejo več hoditi, ni mogoče določiti, in je priporočila zavrnitev vloge za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom. Ta zavrnitev je bila po ponovni presoji potrjena.

Ali ta zavrnitev vpliva na bolnike v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je obvestilo agencijo, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki zdravilo Translarna prejemajo v kliničnih preskušanjih.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.

Kaj to pomeni za nadaljnjo uporabo zdravila Translarna za zdravljenje bolnikov z Duchennovo mišično distrofijo, ki lahko hodijo?

Zavrnitev vloge nima nobenih posledic za uporabo zdravila Translarna pri odobreni indikaciji.

Zdravilo nima več dovoljenja za promet