



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 de octubre de 2019
EMA/565599/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Denegación de un cambio en la autorización de comercialización de Translarna (atalureno)

La denegación se confirma tras la revisión

Tras revisar su dictamen inicial, la Agencia Europea de Medicamentos ha confirmado su recomendación de denegar un cambio en la autorización de comercialización del medicamento Translarna (atalureno). El cambio se refería a una ampliación de las indicaciones para añadir el tratamiento de los pacientes con distrofia muscular de Duchenne que ya no son capaces de caminar.

La Agencia emitió su dictamen el 17 de octubre de 2019, tras concluir la revisión. El dictamen inicial había sido emitido el 27 de junio de 2019.

La empresa que había solicitado el cambio en la autorización de Translarna es PTC Therapeutics International Limited.

¿Qué es Translarna y para qué se utiliza?

Translarna es un medicamento que se utiliza para tratar a pacientes a partir de 2 años con distrofia muscular de Duchenne que son capaces de caminar. La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética que causa gradualmente debilidad y pérdida de la función muscular. Translarna se usa en el pequeño grupo de pacientes cuya enfermedad está causada por un defecto genético específico (denominado «mutación sin sentido») en el gen de la distrofina.

Translarna está autorizado en la UE desde julio de 2014. Contiene el principio activo atalureno y se presenta en forma de granulado para administración oral.

Se puede obtener más información sobre el uso actual de Translarna en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

¿Qué cambio había solicitado la empresa?

La empresa solicitó una ampliación de las indicaciones para añadir el tratamiento de los pacientes con distrofia muscular de Duchenne que ya no son capaces de caminar.

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



¿Cómo actúa Translarna?

Los pacientes con distrofia muscular de Duchenne carecen de distrofina normal, una proteína que se encuentra en los músculos. Puesto que esta proteína ayuda a proteger a los músculos de lesiones cuando estos se contraen y se relajan, en los pacientes con distrofia muscular de Duchenne, los músculos se dañan y finalmente dejan de funcionar.

La distrofia muscular de Duchenne puede estar causada por diversas anomalías genéticas. Translarna se usa en pacientes cuya enfermedad está causada por la presencia de determinados defectos (llamados mutaciones sin sentido) en el gen de la distrofina, lo cual detiene prematuramente la producción de la distrofina normal, dando lugar a una proteína distrofina acortada que no funciona correctamente. Translarna actúa en estos pacientes permitiendo al aparato de producción de proteínas en las células avanzar más allá del defecto, de modo que las células puedan producir una proteína distrofina funcional.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó datos para demostrar que el medicamento se comporta de forma similar en los pacientes que pueden caminar y en los que no.

Además, la empresa presentó los resultados de un estudio en el que participaron 94 pacientes con distrofia muscular de Duchenne con mutación sin sentido, 44 de los cuales ya no eran capaces de caminar. Aunque el objetivo principal del estudio era evaluar la seguridad a largo plazo de Translarna, en el estudio también se investigó la eficacia del tratamiento en pacientes incapaces de caminar, midiendo las variaciones observadas en la función pulmonar. A continuación, la empresa comparó los resultados con datos históricos de pacientes con distrofia muscular de Duchenne registrados en la base de datos del CINRG (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar el cambio en la autorización de comercialización?

El hecho de que Translarna se comporte de forma similar en los pacientes que pueden caminar y en los que no pueden hacerlo no fue suficiente para confirmar la eficacia de Translarna en estos pacientes. Esto se debe a que los pacientes incapaces de caminar se encuentran en una fase más avanzada de la enfermedad y tienen una masa muscular reducida, por lo que los beneficios del tratamiento pueden ser diferentes.

Los datos adicionales del estudio tampoco pudieron confirmar el efecto beneficioso de Translarna en los pacientes que ya no eran capaces de caminar, ya que se identificaron problemas con la forma en que se seleccionaron y analizaron los datos de la base de datos del CINRG, que se utilizó para comparar indirectamente los efectos de Translarna.

Por consiguiente, la Agencia estimó que no podía establecerse la relación entre beneficios y riesgos de Translarna en los pacientes incapaces de caminar y recomendó que se denegara el cambio en la autorización de comercialización. Esta denegación fue confirmada después de la revisión.

¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que reciben Translarna en ensayos clínicos.

Si participa usted en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico del ensayo.

¿En qué situación queda Translarna para el tratamiento de los pacientes con distrofia muscular de Duchenne que son capaces de caminar?

La denegación no tiene consecuencias sobre la utilización de Translarna en la indicación autorizada.