



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Odbijanje izmjene odobrenja za stavljanje u promet lijeka Translarna (ataluren)

Odbijanje se potvrđuje nakon preispitivanja

Nakon preispitivanja svojeg prvotnog mišljenja Europska agencija za lijekove potvrdila je svoju preporuku za odbijanje izmjene odobrenja za stavljanje u promet lijeka Translarna (ataluren). Izmjena se odnosila na proširenje indikacije kako bi se dodalo liječenje bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji više ne mogu hodati.

Nakon što je završila preispitivanje, Agencija je objavila mišljenje 17. listopada 2019. Prvotno mišljenje objavila je 27. lipnja 2019.

Zahtjev za promjenu odobrenja za lijek Translarna podnijela je tvrtka PTC Therapeutics International Limited.

### Što je Translarna i za što se koristi?

Translarna je lijek koji se koristi u liječenju bolesnika u dobi od dvije godine i starijih oboljelih od Duchenneove mišićne distrofije koji mogu hodati. Duchenneova mišićna distrofija genska je bolest koja postupno uzrokuje slabljenje i gubitak mišićne funkcije. Translarna se koristi u liječenju male skupine bolesnika čija je bolest uzrokovana određenim genskim nedostatkom (naziva „besmislena mutacija“) u genu za distrofin.

Lijek Translarna odobren je u Europskoj uniji (EU) od srpnja 2014. Sadržava djelatnu tvar ataluren i dostupan je u obliku granula koje se uzimaju kroz usta.

Dodatne informacije o trenutačnim primjenama lijeka Translarna nalaze se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna).

### Kakvu je izmjenu tvrtka zatražila?

Tvrtka je podnijela zahtjev za proširenje indikacije kako bi se dodalo liječenje bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji više ne mogu hodati.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Kako djeluje Translarna?**

Bolesnicima oboljelima od Duchenneove mišićne distrofije nedostaje normalan distrofin, protein koji je prisutan u mišićima. Budući da taj protein pomaže u zaštiti mišića od ozljeda kada se mišići stežu i opuštaju, u bolesnika oboljelih od Duchenneove mišićne distrofije dolazi do oštećenja mišića i oni naposljetku prestaju funkcionirati.

Duchenneovu mišićnu distrofiju može uzrokovati niz genskih abnormalnosti. Translarna se koristi u bolesnika čija je bolest uzrokovana prisutnošću određenih nedostataka (koji se nazivaju besmislene mutacije) gena za distrofin koji prijevremeno prekidaju proizvodnju distrofina, što uzrokuje skraćivanje distrofina koji ne funkcionira ispravno. Translarna djeluje u tih bolesnika tako što omogućuje staničnom mehanizmu koji proizvodi protein da prebrodi nedostatak, što stanicama omogućuje proizvodnju funkcionalnog distrofina.

## **Što je tvrtka dostavila u prilog svojem zahtjevu?**

Tvrtka je dostavila podatke koji pokazuju da tijelo bolesnika koji mogu hodati i bolesnika koji ne mogu hodati podnosi lijek na sličan način.

Osim toga, tvrtka je predstavila rezultate ispitivanja u kojem su sudjelovala 94 bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom s besmislenom mutacijom, od kojih 44 bolesnika više nisu mogla hodati. Tako je glavni cilj ispitivanja bio procijeniti dugoročnu sigurnost lijeka Translarna, u ispitivanju je ujedno istražena učinkovitost liječenja u bolesnika koji ne mogu hodati, i to mjerenjem promjena u funkciji pluća. Tvrtka je zatim usporedila rezultate s povijesnim podacima u bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji su zabilježeni u bazi podataka CINRG (Cooperative International Neuromuscular Research Group).

## **Koji su bili glavni razlozi za odbijanje izmjene odobrenja za stavljanje lijeka u promet?**

Činjenica da tijelo bolesnika koji mogu hodati i bolesnika koji ne mogu hodati podnosi lijek Translarna na sličan način nije bila dovoljna za potvrdu učinkovitosti lijeka Translarna u tih bolesnika. To je zbog toga što su bolesnici koji ne mogu hodati u uznapredovaloj fazi bolesti i imaju smanjenu mišićnu masu te stoga koristi od liječenja mogu biti različite.

Također, na temelju dodatnih podataka iz ispitivanja korist od liječenja lijekom Translarna u bolesnika koji više ne mogu hodati nije se mogla potvrditi zbog problema s načinom na koji su odabrani i analizirani podatci iz baze podataka CINRG koji su korišteni za neizravnu usporedbu učinaka lijeka Translarna.

Stoga Agencija smatra da nije moguće utvrditi povoljan omjer koristi i rizika lijeka Translarna u bolesnika koji ne mogu hodati te je preporučila odbijanje izmjene odobrenja za stavljanje u promet. Odbijanje je potvrđeno nakon preispitivanja.

## **Ima li ovo odbijanje posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?**

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji u okviru kliničkih ispitivanja primaju lijek Translarna.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vas liječi.

## **Što se događa s lijekom Translarna kada je riječ o liječenju bolesnika s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji mogu hodati?**

Nema posljedica za primjenu lijeka Translarna za odobrenu indikaciju.