



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (ataluren)

A Translarna nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Translarna és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Translarna-t olyan, 2 éves vagy idősebb, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák, akik képesek járni. A Duchenne-féle muszkuláris disztrófia egy genetikai betegség, amely fokozatosan gyengeséget és az izomfunkció elvesztését okozza. A Translarna-t a betegek azon kis csoportjánál alkalmazzák, akiknél a betegséget a disztrofin gén speciális genetikai defektusa (úgynevezett „nonszensz mutáció”) okozza.

Mivel a Duchenne-féle muszkuláris disztrófia ritkának minősül, ezért a Translarna-t 2005. május 27-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt található: ema.europa.eu/FindMedicine/HumanMedicines/RareDiseaseDesignation.

Hogyan kell alkalmazni a Translarna-t?

A Translarna csak receptre kapható, és kizárólag a Duchenne/Becker-féle muszkuláris disztrófia kezelésében tapasztalattal rendelkező szakorvos kezheti meg a kezelést.

A Translarna-val végzett kezelés megkezdése előtt a betegeknél genetikai vizsgálatot végeznek annak megerősítésére, hogy a betegséget egy nonszensz mutáció okozza, és ezért alkalmasak a Translarna-kezelésre.

A Translarna granulátum (125, 250 és 1000 mg) formájában kapható, amelyet folyadékba vagy félig folyékony ételbe (például joghurt) keverve, szájon át kell bevenni. A Translarna-t naponta háromszor kell bevenni, és a javasolt adag 10 mg/kg (10 mg testtömeg-kilogrammonként) reggel, 10 mg/kg délben és 20 mg/kg este (összesen 40 mg/kg napi adag).

További információért a Translarna alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.



Hogyan fejti ki hatását a Translarna?

A Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegeknél hiányzik a normális disztrofin, amely az izmokban található fehérje. Mivel ez a fehérje segít megvédeni az izmokat a sérüléstől, ahogy azok összehúzódnak és elernyednek, a Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegeknél az izmok károsodnak, és végül leáll a működésük.

A Duchenne-féle muszkuláris disztrófiát számos genetikai elváltozás okozhatja. A Translarna olyan betegeknél alkalmazható, akiknél a betegséget bizonyos defektusok (úgynevezett nonszensz mutációk) okozzák a disztrofin génben, amelyek idő előtt leállítják a normális disztrofin fehérje termelését, és egy rövidebb disztrofin fehérjét eredményeznek, amely nem működik megfelelően. A Translarna azáltal hat ezeknél a betegeknél, hogy lehetővé teszi a sejtekben a fehérjetermelő rendszer számára, hogy továbbhaladjon a defektuson, így a sejtek képessé válnak egy működőképes disztrofin fehérje előállítására.

Milyen előnyei voltak a Translarna alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban, amelyben 174, 5–20 éves, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő, járóképes beteg vett részt, kétféle dózisz Translarna-t (40 mg/kg naponta, illetve 80 mg/kg naponta) hasonlítottak össze placebóval (hatóanyag nélküli kezelés). A fő hatékonysági mutató a beteg által hat perc alatt lesétált távolságban, 48 hetes kezelést követően bekövetkezett változás volt.

Bár a vizsgálatból származó összes adat eredményeinek kezdeti elemzése nem igazolt szignifikáns különbséget a távolságban, amelyet a Translarna, illetve placebo csoportban lévő betegek képesek voltak megtenni, a további elemzések arra utaltak, hogy a járóképesség kisebb mértékben csökkent a napi 40 mg/kg Translarna esetén, mint placebóval: a 48 hetes kezelést követően a napi 40 mg/kg Translarna-t kapó betegek átlagosan 32 méterrel többet tudtak megtenni, mint a placebóval kezelt betegek. Jelentősebb hatást észleltek azon betegek alcsoportjában, akiknél a járóképesség romlott: a napi 40 mg/kg Translarna-t kapó betegek átlagosan 50 méterrel többet tudtak megtenni, mint a placebóval kezelt betegek. Az alacsonyabb dózis előnyös hatását a hatékonyság egyéb mutatóinak javulása is alátámasztotta, beleértve azokat, amelyek közvetlenül kapcsolódnak a betegek napi tevékenységeihez. A magasabb dózis (napi 80 mg/kg) esetében nem mutattak ki további javulást.

Az eredeti engedélyezést követően egy további vizsgálatot végeztek 230, olyan 7–14 éves beteg bevonásával, akiknél a járóképesség romlott, azonban a vizsgálat eredményei nem voltak meggyőzőek. Mindemellett az adatok azt mutatták, hogy a Translarna előnyösen hatott a különféle mértékekre, így a 10 méteres futás/gyaloglás idejére, a 4 lépcsőn fel- és lemenés idejére és a járóképesség fenntartásának idejére is. Mindkét vizsgálatban a Translarna előnyös hatásai nyilvánvalóbbak voltak azoknál a betegeknél, akiknél a betegség mérsékelten súlyosbodott.

Egy, 2–5 éves, Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő gyermekekkel végzett vizsgálatban a Translarna szokásos adagja, vagyis a napi 40 mg/kg elegendőnek bizonyult. A Translarna hatékonynak tűnt egy, 12 beteg fizikai aktivitásával kapcsolatos értékelésen, amelynek során 11 hasonló korú, ám Translarna-kezelést nem kapó beteg korábbi adataival hasonlították össze őket.

Milyen kockázatokkal jár a Translarna alkalmazása?

A Translarna leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül több mint 5-nél jelentkezhettek) a hányás, hasmenés, hányinger, fejfájás, gyomorfájdalom és a felfúvódás.

A Translarna nem alkalmazható egyidejűleg vénás injekcióban vagy infúzióban adott aminoglikozid antibiotikumokkal.

A Translarna alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás, valamint a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Translarna forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Translarna alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

Annak ellenére, hogy további adatok szükségesek, az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy van tudományos bizonyíték arra, hogy a Translarna lassítja a betegség súlyosbodását, és biztonságossági profilja nem jelent jelentősebb problémát. Az Ügynökség elismerte, hogy a Duchenne-féle muszkuláris disztrófiában szenvedő betegeknek kielégítetlen igényük van ennek a súlyos betegségnek a kezelésére.

A Translarna-t „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a gyógyszerrel kapcsolatban további tudományos bizonyítékok várhatók, amelyek benyújtására kötelezték a vállalatot. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az áttekintést.

Milyen információk várhatók még a Translarna-val kapcsolatban?

Mivel a Translarna forgalomba hozatalát feltételes forgalombahozatali engedéllyel engedélyezték, a forgalmazó vállalat új vizsgálatot végez, amelyben a Translarna-t placebóval hasonlítják össze a gyógyszer hatékonysága és biztonságossága megerősítése érdekében.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Translarna biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Translarna biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Translarna alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Translarna alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Translarna-val kapcsolatos egyéb információ

2014. július 31-én a Translarna megkapta az Európai Unió egész területére érvényes, feltételes forgalombahozatali engedélyt.

További információ a Translarna gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 06-2018.