



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 octombrie 2019
EMA/565599/2019
EMA/H/C/002720/II/0047

Refuzul modificării autorizației de punere pe piață pentru Translarna (ataluren)

Reexaminarea confirmă refuzul

În urma reexaminării avizului său inițial, Agenția Europeană pentru Medicamente a confirmat recomandarea privind refuzul modificării autorizației de punere pe piață pentru medicamentul Translarna (ataluren). Modificarea viza extinderea indicației pentru a include tratament pacienților cu distrofie musculară Duchenne care nu se mai pot deplasa.

Agenția a emis avizul la 17 octombrie 2019, după finalizarea reexaminării. Avizul inițial fusese emis la 27 iunie 2019.

Compania care solicitase modificarea autorizației pentru Translarna este PTC Therapeutics International Limited.

Ce este Translarna și pentru ce se utilizează?

Translarna este un medicament care se utilizează pentru tratamentul pacienților cu vârsta de cel puțin 2 ani cu distrofie musculară Duchenne care se pot deplasa. Distrofia musculară Duchenne este o boală genetică care duce treptat la slăbiciune și la pierderea funcției musculare. Translarna se utilizează la un grup mic de pacienți, la care boala este cauzată de un anumit defect genetic (numit „mutație nonsens”) la nivelul genei distrofinei.

Translarna este autorizat în UE din iulie 2014. Conține substanța activă ataluren și este disponibil sub formă de granule cu administrare orală.

Mai multe informații despre utilizările actuale ale Translarna se pot găsi pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/translarna.

Ce modificare solicitase compania?

Compania solicitase extinderea indicației pentru a include tratamentul pacienților cu distrofie musculară Duchenne care nu se mai pot deplasa.

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



Cum acționează Translarna?

Pacienților cu distrofie musculară Duchenne le lipsește distrofina normală, o proteină care se găsește în mușchi. Deoarece această proteină ajută la protejarea împotriva leziunilor musculare când mușchii se contractă și se relaxează, la pacienții cu distrofie musculară Duchenne mușchii se degradează și, în cele din urmă, nu mai funcționează.

Distrofia musculară Duchenne poate fi cauzată de o serie de anomalii genetice. Translarna se utilizează la pacienții la care boala este determinată de prezența în gena distrofinei a anumitor defecte (numite mutații nonsens) care opresc prematur producerea distrofinei, având ca rezultat o proteină distrofină mai scurtă care nu funcționează corespunzător. La acești pacienți, Translarna acționează ajutând aparatul celular care produce proteina să depășească defectul, ceea ce face ca celulele să producă o proteină distrofină funcțională.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat date pentru a arăta că medicamentul este metabolizat în organism în mod asemănător la pacienții care se pot deplasa și la cei care nu se pot deplasa.

În plus, compania a prezentat rezultatele unui studiu la care au participat 94 de pacienți cu distrofie musculară Duchenne cu mutație nonsens, dintre care 44 nu mai puteau să se deplaseze. Deși principalul obiectiv al studiului era evaluarea siguranței pe termen lung a Translarna, studiul a investigat și eficacitatea tratamentului la pacienții care nu se mai puteau deplasa, măsurând modificările funcției pulmonare. Compania a comparat apoi rezultatele cu datele istorice ale pacienților cu distrofie musculară Duchenne, înregistrate în baza de date a CINRG (Grupul internațional de cercetare neuromusculară cooperativă).

Care au fost principalele motive pentru refuzul modificării autorizației de punere pe piață?

Faptul că Translarna este metabolizat în organism în mod asemănător la pacienții care se pot deplasa și la cei care nu se pot deplasa nu a fost suficient pentru a confirma eficacitatea medicamentului la acești pacienți. Deoarece pacienții care nu se pot deplasa sunt într-un stadiu mai avansat al bolii și au o masă musculară redusă, beneficiile tratamentului pot fi diferite.

Datele suplimentare obținute în urma studiului nu au putut să confirme nici beneficiul Translarna la pacienții care nu se mai pot deplasa, inclusiv din cauza existenței unor probleme în modul de selectare și analizare a datelor din baza de date CINRG utilizate pentru a compara indirect efectele Translarna.

Prin urmare, agenția a considerat că nu se poate stabili un raport beneficiu-risc pentru Translarna la pacienții care nu se pot deplasa și a recomandat refuzul modificării autorizației de punere pe piață. Refuzul a fost confirmat în urma reexaminării.

Refuzul afectează pacienții din studii clinice?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții care primesc Translarna în studii clinice.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.

Ce se întâmplă cu Translarna pentru tratarea pacienților cu distrofie musculară Duchenne care se pot deplasa?

Nu există consecințe asupra utilizării Translarna în indicația autorizată.