



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (ataluren)

Pregled informacija o lijeku Translarna i zašto je odobren u EU-u

Što je Translarna i za što se primjenjuje?

Translarna je lijek koji se primjenjuje u liječenju bolesnika u dobi od 2 godine i starijih oboljelih od Duchenneove mišićne distrofije, koji mogu hodati. Duchenneova mišićna distrofija genetska je bolest koja postupno uzrokuje slabljenje i gubitak mišićne funkcije. Lijek Translarna primjenjuje se u liječenju male skupine bolesnika čija je bolest uzrokovana određenim genetskim nedostatkom (naziva „besmislena mutacija“) u genu za distrofin.

Duchenneova mišićna distrofija rijetka je bolest, a lijek Translarna je 27. svibnja 2005. dobio status „lijeka za rijetku bolest“. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Kako se Translarna koristi?

Translarna se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje treba započeti liječnik specijalist s iskustvom u liječenju Duchenneove/Beckerove mišićne distrofije.

Prije početka liječenja lijekom Translarna potrebno je provesti genetsko testiranje bolesnika kako bi se potvrdilo da je njihovu bolest uzrokovala besmislena mutacija te da je stoga terapija lijekom Translarna za njih prihvatljiva.

Lijek Translarna dostupan je u granulama (od 125, 250 i 1 000 mg) koje se uzimaju kroz usta nakon što se pomiješaju s tekućom ili polukrutom hranom (npr. s jogurtom). Translarna se uzima tri puta na dan, a preporučena doza je 10 mg/kg (10 mg po kilogramu tjelesne težine) ujutro, 10 mg/kg u podne i 20 mg/kg uvečer (što čini ukupnu dnevnu dozu od 40 mg/kg).

Više informacija o primjeni lijeka Translarna pročitajte u uputi o lijeku ili se obratite liječniku ili ljekarniku.

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 genetskih abnormalnosti. Lijek Translarna primjenjuje se u bolesnika čija je bolest uzrokovana prisutnošću određenih nedostataka (koji se nazivaju besmislene mutacije) gena za distrofin koji prijevremeno prekidaju proizvodnju normalnog proteina 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.

Koje su koristi od lijeka Translarna utvrđene u ispitivanjima?

U jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 174 bolesnika u dobi od 5 do 20 godina s Duchenneovom mišićnom distrofijom koji mogu hodati dvije doze lijeka Translarna (40 mg/kg dnevno i 80 mg/kg dnevno) uspoređene su s placebom (prividnim liječenjem). Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena udaljenosti koju je bolesnik mogao prehodati u roku od šest minuta nakon 48 tjedana liječenja.

Iako početnom analizom rezultata svih podataka ispitivanja nije utvrđena značajna razlika između udaljenosti koje su mogli prehodati bolesnici u skupini koja je uzimala lijek Translarna i one koja je primala placebo, dodatna analiza uputila je na činjenicu da se sposobnost hodanja pogoršala manje pri dozi od 40 mg/kg dnevno lijeka Translarna nego pri primjeni placeba: nakon 48 tjedana liječenja bolesnici koji su primali 40 mg/kg dnevno lijeka Translarna mogli su prosječno prehodati 32 metara više od onih koji su primali placebo. Izraženiji učinak primijećen je u podskupini bolesnika čija se sposobnost hodanja pogoršavala, pri čemu su bolesnici koji su primali lijek Translarna u dozi od 40 mg/kg mogli prosječno prehodati 50 metara više od onih koji su primali placebo. U prilog povoljnom učinku manje doze govore i poboljšanja ostalih mjerila učinkovitosti lijeka, uključujući ona koja su izravno povezana s dnevnim aktivnostima bolesnika. Nikakva poboljšanja nisu uočena kod većih doza (80 mg/kg na dan).

Nakon početnog odobrenja provedeno je dodatno ispitivanje na skupini od 230 bolesnika u dobi od 7 do 14 godina čija se sposobnost hodanja pogoršavala, ali rezultati su bili nejasni. Međutim, podatci upućuju na činjenicu da lijek Translarna ima pozitivan učinak na različita mjerila, kao što je vrijeme u kojem bolesnik može pretrčati ili prehodati 10 metara, u kojem se može popeti i spustiti uz/niz 4 stepenice te vrijeme do gubitka sposobnosti hodanja. U oba ispitivanja koristi od lijeka Translarna bile su očitije u onih bolesnika u kojih je bolest umjereno napredovala.

Malim ispitivanjem u djece u dobi od 2 do 5 godina oboljelih od Duchenneove mišićne distrofije ustanovilo se da je uobičajena doza od 40 mg/kg lijeka Translarna dnevno dovoljna. Lijek Translarna činio se učinkovitim u procjeni fizičke aktivnosti 12 bolesnika u usporedbi s prethodnim rezultatima kod 11 bolesnika slične dobi koji nisu bili liječeni lijekom Translarna.

Koji su rizici povezani s lijekom Translarna?

Najčešće nuspojave lijeka Translarna (koje se mogu javiti u više od 5 na 100 osoba) su povraćanje, proljev, mučnina (osjećaj slabosti), glavobolja, bol u želucu i nadutost.

Translarna se ne smije koristiti istovremeno s antibioticima pod nazivom aminoglikozidi ako se oni primjenjuju injekcijom ili infuzijom (drip) u venu.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja za lijek Translarna potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Translarna odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Translarna nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u Europskoj uniji.

Iako su potrebni dodatni podatci, Agencija smatra da postoje dokazi koji upućuju na to da lijek Translarna usporava napredovanje bolesti te da njegov sigurnosni profil ne izaziva veću zabrinutost. Agencija je također potvrdila da bolesnici s Duchenneovom mišićnom distrofijom imaju nezadovoljenu potrebu za liječenjem tog ozbiljnog stanja.

Za lijek Translarna izdano je „uvjetno odobrenje“. To znači da se očekuju dodatni podatci o lijeku koje tvrtka mora dostaviti. Svake godine Agencija ocjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Translarna?

Budući da je lijek Translarna dobio uvjetno odobrenje, tvrtka koja ga stavlja u promet mora dostaviti rezultate novog ispitivanja u kojem će se lijek Translarna usporediti s placebom kako bi se potvrdila njegova učinkovitost i sigurnost primjene.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Translarna?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Translarna nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Translarna kontinuirano se prate. Nuspojave prijavljene za lijek Translarna pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Translarna

Lijek Translarna dobio je uvjetno odobrenje za stavljanje lijeka u promet koje je na snazi u Europskoj uniji od 31. srpnja 2014.

Više informacija o lijeku Translarna možete naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Ovaj pregled informacija posljednji je put ažuriran u 6. 2018.