



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Translarna (ataluren)

Ħarsa ġenerali lejn Translarna u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Translarna u għal xiex jintuża?

Translarna huwa mediċina li tintuża biex tikkura pazjenti li għandhom sentejn u aktar b'distrofija muskolari Duchenne, u li jistgħu jimxu. Distrofija muskolari Duchenne hija marda ġenetika li gradwalment tikkawża dgħufija u telf tal-funzjoni tal-muskoli. Translarna jintuża fil-grupp żgħir ta' pazjenti li l-marda tagħhom hija kkawżata minn difett ġenetiku speċifiku (imsejjaħ 'mutazzjoni nonsens') fil-ġene distrofin.

Distrofija muskolari Duchenne hija rari, u Translarna ġie denominat bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-27 ta' Mejju 2005. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab hawn: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Kif jintuża Translarna?

Translarna jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda minn tabib speċjalista b'esperjenza fil-ġestjoni ta' distrofija muskolari Duchenne/Becker.

Qabel jibdew kura b'Translarna, il-pazjenti ser isirihom test ġenetiku biex jiġi kkonfermat li l-marda tagħhom hija minħabba mutazzjoni nonsens u li għalhekk huma xierqa għal kura b'Translarna.

Translarna jiġi bħala granuli (125, 250 u 1,000 mg) li għandhom jittieħdu mill-ħalq wara li jithalltu ma' likwidu jew ma' ikel semisolidu (bħal jogurt). Translarna jittieħed tliet darbiet kuljum, u d-doża rakkomandata hija ta' 10 mg/kg (10 mg għal kull kilogramma ta' piż tal-ġisem) filgħodu, 10 mg/kg f'nofsinhar u 20 mg/kg filgħaxija (li jagħmlu doża totali ta' 40 mg/kg).

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Translarna, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja tabib jew spiżjar.

Kif jaħdem Translarna?

Il-pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne għandhom nuqqas ta' distrofin normali, proteina li tinstab fil-muskoli. Minħabba li din il-proteina tgħin biex tipprotegi l-muskoli minn korriment waqt li l-muskoli



jikkontrattaw u jirrilassaw, f'pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne, il-muskoli ssirilhom il-ħsara u eventwalment jieqfu jaħdmu.

Distrofija muskolari Duchenne tista' tiġi kkawżata minn numru ta' anormalitajiet ġenetiċi. Translarna jintuża f'pazjenti li l-marda tagħhom hija minħabba l-preżenza ta' ċerti difetti (imsejhin mutazzjonijiet nonsens) fil-gene distrofin li jwaqqfu b'mod prematur il-produzzjoni ta' proteina distrofin normali, li twassal għal proteina distrofin imqassra li ma taħdimx sew. Translarna jaħdem f'dawn il-pazjenti billi jippermetti lill-apparat li jagħmel il-proteini fiċ-ċelluli jaqbeż id-difett, u dan iħalli liċ-ċelluli jipproduċu proteina distrofin li taħdem.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Translarna li ħarġu mill-istudji?

Fi studju ewlieni wieħed, li involva 174 pazjent ta' bejn 5 u 20 sena b'distrofija muskolari Duchenne li setgħu jimxu, żewġ dożi ta' Translarna (40 mg/kg kuljum u 80 mg/kg kuljum) tqabblu ma' placebo (kura finta). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fid-distanza li seta' jimxi l-pazjent f'sitt minuti wara 48 ġimgħa ta' kura.

Għalkemm analiżi inizjali tar-riżultati tad-data kollha mill-istudju ma wriet l-ebda differenza sinifikanti fid-distanzi li pazjenti fil-gruppi ta' Translarna u placebo setgħu jimxu, analiżi ulterjuri indikaw li l-abbiltà tal-mixi naqset fuq livell inqas b'40 mg/kg ta' Translarna kuljum milli bi placebo: wara 48 ġimgħa ta' kura, il-pazjenti li ngħataw 40 mg/kg ta' Translarna kuljum setgħu jimxu medja ta' 32 metru iktar minn dawk li ngħataw il-placebo. L-effett inħass iktar fis-sottogrupp ta' pazjenti li l-abbiltà tagħhom biex jimxu kienet qiegħda taggrava, fejn il-pazjenti li kienu qed jieħdu 40 mg/kg Translarna kuljum setgħu jimxu medja ta' 50 metru aktar minn dawk li kienu qed jieħdu l-placebo. L-effett benefiċjali tad-doża aktar baxxa ġie appoġġjat ukoll minn titjib f'kejl ieħor tal-effikaċja, inkluż dak marbut direttament mal-attivitajiet ta' kuljum tal-pazjenti. Ma deher l-ebda titjib bid-doża oġġla (80 mg/kg kuljum).

Studju ieħor f'230 pazjent ta' bejn 7 sa 14-il sena b'abbiltà tal-mixi li kienet qiegħda taggrava tlesta wara approvazzjoni inizjali, iżda r-riżultati tiegħu tqiesu inkonklużivi. Madankollu, id-data indikat li Translarna kellu effett pożittiv fuq kejl differenti bħall-ħin għall-ġiri jew mixi ta' 10 metri, ħin għat-tluġħ u għall-inżul ta' 4 targiet u l-ħin għat-telf tal-abbiltà tal-mixi. Fiż-żewġ studji, l-effetti benefiċjali ta' Translarna dehru li kienu iktar evidenti f'pazjenti li kellhom il-marda sejra lura b'mod moderat.

Studju żgħir fi tfal ta' bejn sentejn sa 5 snin b'distrofija muskolari Duchenne sab li d-doża tas-soltu ta' Translarna 40 mg/kg kuljum kienet biżżejjed. Translarna deher effettiv wara valutazzjoni tal-attività fiżika fi 12-il pazjent meta tqabbel ma' rekords fil-passat ta' 11-il pazjent ta' età simili li ma kinux ġew ikkurati b'Translarna.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Translarna?

L-effetti sekondarji l-aktar komuni bi Translarna (li jistgħu jaffettwaw aktar minn 5 persuni minn kull 100) huma rimettar, dijarea, nawsja (tħossok ma tiflaħx), uġiġħ ta' ras, uġiġħ fl-istonku u flatulenza.

Translarna m'għandux jintuża fl-istess ħin ma' antibijotiċi ta' aminoglikosid li jingħataw permezz ta' injezzjoni jew infużjoni (dripp) ġo vina.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet ta' Translarna, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex Translarna ġie awtorizzat fl-UE?

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini ddeċidiet li l-benefiċċji ta' Translarna huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Minkejja l-ħtieġa għal iktar data, l-Aġenzija kkunsidrat li l-evidenza tissuggerixxi li Translarna jnaqqas il-progressjoni tal-marda u li l-profil tas-sigurtà tiegħu mhux ta' tħassib kbir. L-Aġenzija rrikonossiet li pazjenti b'distrofija muskolari Duchenne għandhom ħtieġa mhux issodisfata għall-kura ta' din il-kondizzjoni serja.

Translarna ngħata "awtorizzazzjoni kondizzjonali". Dan ifisser li għad hemm iktar evidenza x'tingħata dwar il-medicina, li l-kumpanija hija mitluba tipprovdi. Kull sena, l-Aġenzija ser tirrevedi kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u din il-ħarsa ġenerali ser tiġi aġġornata kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Translarna?

Minħabba li Translarna ngħata awtorizzazzjoni kondizzjonali, il-kumpanija li tqiegħdu fis-suq ser tipprovdi riżultati ta' studju ġdid li jqabbel Translarna ma' placebo sabiex tiġi kkonfermata l-effikaċja u s-sigurtà tiegħu.

X'mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Translarna?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif, ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Translarna.

Bħal għall-medicini kollha, id-data dwar l-użu ta' Translarna hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji rrapportati bi Translarna huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Translarna

Translarna rċieva awtorizzazzjoni kondizzjonali għat-tqiegħid fis-suq valida fl-UE kollha fil-31 ta' Lulju 2014.

Aktar informazzjoni fuq Translarna tinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'06-2018.