



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Translarna (ataluren)

Sammanfattning av Translarna och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Translarna och vad används det för?

Translarna är ett läkemedel som används för att behandla patienter i åldern 2 år eller äldre med Duchennes muskeldystrofi som kan gå. Duchennes muskeldystrofi är en genetisk sjukdom som leder till en gradvis ökande svaghet och förlorad muskelfunktion. Translarna används i den lilla gruppen av patienter vars sjukdom är en följd av en specifik genetisk defekt (en s.k. nonsensmutation) i dystrofinenen.

Duchennes muskeldystrofi är sällsynt och Translarna klassificerades som säriläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 27 maj 2005. Mer information om klassificeringen som säriläkemedel finns här: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

### Hur används Translarna?

Translarna är receptbelagt och behandling ska sättas in av en läkare med erfarenhet av att behandla Duchennes och Beckers muskeldystrofi.

Innan behandlingen med Translarna sätts in får patienterna genomgå ett genetiskt test för att bekräfta att deras sjukdom är en följd av en nonsensmutation och att de därför är lämpliga för behandling med Translarna.

Translarna finns som granulat (125 mg, 250 mg och 1 000 mg) och tas via munnen efter att granulaten blandats med vätska eller halvfast föda (till exempel yoghurt). Translarna tas tre gånger om dagen. Den rekommenderade dosen är 10 mg/kg (10 mg per kg kroppsvikt) på morgonen, 10 mg/kg mitt på dagen och 20 mg/kg på kvällen (en sammanlagd total daglig dos om 40 mg/kg).

För att få mer information om hur du använder Translarna, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

### Hur verkar Translarna?

Patienter med Duchennes muskeldystrofi saknar normalt dystrofin, ett protein som finns i musklerna. Eftersom detta protein hjälper till att skydda musklerna mot skador när de dras samman och slappnar



av, skadas musklerna hos patienter som har Duchennes muskeldystrofi och slutar så småningom att fungera.

Duchennes muskeldystrofi kan orsakas av många olika genetiska avvikelser. Translarna ges till patienter vars sjukdom är en följd av vissa defekter (s.k. nonsensmutationer) i dystrofingenen som i förtid avbryter produktionen av normalt dystrofinprotein, vilket leder till ett förkortat dystrofinprotein som inte fungerar som det ska. Translarna verkar hos dessa patienter genom att låta den proteinskapande apparaten i cellerna gå förbi defekten, så att cellerna kan producera ett fungerande dystrofinprotein.

## **Vilken nytta med Translarna har visats i studierna?**

I en huvudstudie omfattande 174 patienter i åldern 5 till 20 år med Duchennes muskeldystrofi som kunde jämfördes två doser med Translarna (40 mg/kg per dag och 80 mg/kg per dag) med placebo (en överksam behandling). Det viktigaste effektmåttet var förändringen av den sträcka patienten kunde gå på sex minuter efter 48 veckors behandling.

Trots att en första analys av resultaten av samtliga uppgifter från studien inte visade på en signifikant skillnad i de avstånd som patienterna i Translarna- och placebogrupperna kunde gå, visade ytterligare analyser att gångförmågan försämrades i mindre grad med 40 mg/kg Translarna per dag än med placebo: efter 48 veckors behandling kunde patienterna som fick 40 mg/kg Translarna per dag i genomsnitt gå 32 meter längre än de som fick placebo. Effekten var mer uttalad i en undergrupp av patienter med minskande gångförmåga: de patienter som tog 40 mg/kg Translarna per dag kunde i genomsnitt gå 50 meter längre än de som fick placebo. Den gynnsamma effekten med den lägre dosen fick även stöd av förbättringar av andra effektmått, däribland de som är direkt kopplade till patienternas dagliga aktiviteter. Ingen förbättring sågs med den högre dosen (80 mg/kg per dag).

Ytterligare en studie på 230 patienter i åldern 7 till 14 år med minskande gångförmåga slutfördes efter det första godkännandet, men resultaten från denna ansågs oklara. Uppgifter tydde dock på att Translarna har en positiv inverkan på olika effektmått, till exempel tiden att springa eller gå 10 meter, tiden att gå upp och ner 4 trappsteg och tiden fram till förlorad gångförmåga. I båda studierna tycktes de gynnsamma effekterna av Translarna vara mer uppenbara hos patienter med måttlig sjukdomsförsämring.

I en liten studie på barn i åldern 2 till 5 år med Duchennes muskeldystrofi fann man att den vanliga dosen Translarna på 40 mg/kg per dag var tillräcklig. Translarna verkade vara effektivt vid en bedömning av fysisk aktivitet hos 12 patienter jämfört med tidigare register över 11 patienter i samma ålder som inte hade behandlats med Translarna.

## **Vilka är riskerna med Translarna?**

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Translarna (kan uppträda hos fler än 5 av 100 personer) är kräkningar, diarré, illamående, huvudvärk, magont och gaser i magen.

Translarna får inte användas samtidigt med aminoglykosid-antibiotika som ges genom injektion eller infusion (dropp) i en ven.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Translarna finns i bipacksedeln.

## **Varför är Translarna godkänt i EU?**

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Translarna är större än riskerna och att Translarna kan godkännas för försäljning i EU.

Trots ett behov av ytterligare uppgifter fann EMA att beläggen tyder på att Translarna saktar ner sjukdomens utveckling och att Translarnas säkerhetsprofil inte ger någon större anledning till oro. EMA bekräftade att patienter med Duchennes muskeldystrofi har ett ouppfyllt medicinskt behov till följd av denna allvarliga sjukdom.

Translarna har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att det ska komma in ytterligare evidens för detta läkemedel och att företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. Läkemedelsmyndigheten går varje år igenom all ny information som kan ha kommit fram och uppdaterar denna sammanfattning när det behövs.

### **Vilken information om Translarna saknas för närvarande?**

Eftersom Translarna har godkänts enligt reglerna om "villkorat godkännande" ska företaget som marknadsför det lämna in resultaten från en ny studie där Translarna jämförs med placebo för att bekräfta dess effekt och säkerhet.

### **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Translarna?**

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Translarna har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Translarna utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienter vidtas.

### **Mer information om Translarna**

Den 31 juli 2014 beviljades Translarna ett villkorat godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Translarna finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2018.