



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 listopada 2016
EMA/740317/2016

Translarna: przedłużenie ważności warunkowego dopuszczenia do obrotu

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) zakończył ocenę naukową corocznego przedłużenia ważności warunkowego dopuszczenia do obrotu produktu Translarna (artaluren) i zaleca przedłużenie ważności warunkowego dopuszczenia do obrotu. W ramach swojej oceny Komitet przeprowadził przegląd wszystkich dostępnych danych, w tym wyników badania przeprowadzonego przez podmiot odpowiedzialny, stanowiącego warunek przedłużenia ważności dopuszczenia do obrotu po udzieleniu wstępnego zezwolenia. Choć dostępne dane w dalszym ciągu wskazują, że produkt Translarna spowalnia postęp choroby i nie istnieją żadne istotne zastrzeżenia dotyczące bezpieczeństwa, Komitet uznał, że niezbędne jest pozyskanie dalszych kompleksowych danych, aby w pełni potwierdzić, że stosunek korzyści do ryzyka dla tego leku jest pozytywny. W związku z tym Komitet złożył wniosek o przeprowadzenie przez podmiot odpowiedzialny dla produktu Translarna nowego 18-miesięcznego randomizowanego badania z kontrolą placebo u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a, po którym powinien nastąpić 18-miesięczny okres, w którym wszyscy pacjenci będą otrzymywali produkt Translarna. Oczekuje się, że wyniki badania będą dostępne w pierwszym kwartale 2021 r.

Produkt Translarna stosuje się w leczeniu pacjentów w wieku co najmniej pięciu lat cierpiących na dystrofię mięśniową Duchenne'a – ciężką i rzadko występującą chorobę, na którą obecnie nie ma zatwierdzonego leczenia. Lek ma być stosowany u pacjentów, którzy mogą chodzić i u których choroba jest wywołana przez określoną wadę genetyczną (zwaną „mutacją nonsensowną”) w genie kodującym białko mięśniowe – dystrofina.

Warunkowe dopuszczenie do obrotu umożliwia EMA zalecenie wydania dopuszczenia do obrotu dla leków, w przypadku których korzyści dla zdrowia publicznego płynące z natychmiastowej dostępności przeważają nad ryzykiem związanym z faktem, że w dalszym ciągu niezbędne są dodatkowe dane. Te leki podlegają określonym zobowiązaniom po wydaniu zgody na dopuszczenie do obrotu, które mają na celu zgromadzenie kompleksowych danych na ich temat. Warunkowe dopuszczenie do obrotu jest ważne przez jeden rok i może zostać przedłużone lub zamienione na standardowe pięcioletnie dopuszczenie do obrotu, gdy zgromadzone dodatkowe dane potwierdzą, że stosunek korzyści do ryzyka dla tego leku jest pozytywny.

Raport z oceny przedłużenia ważności warunkowego dopuszczenia do obrotu dla produktu Translarna zostanie opublikowany po wydaniu przez Komisję Europejską decyzji w sprawie przedłużenia ważności.

