



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 Novembre 2016
EMA/740317/2016

Translarna: rinnovo dell'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata

Il Comitato per i medicinali ad uso Umano (CHMP) ha completato la sua valutazione scientifica del rinnovo annuale dell'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata per Translarna (ataluren) e ha raccomandato che l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata venga rinnovata. Come parte della valutazione del CHMP, il Comitato ha esaminato tutti i dati disponibili, inclusi i risultati di uno studio condotto dal titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio come requisito all'immissione in commercio condizionata dopo l'approvazione iniziale. Anche se i dati disponibili ad oggi continuano a indicare che Translarna rallenta la progressione della malattia e non ci sono rilevanti problemi di sicurezza, il comitato ha ritenuto che sono ancora necessari dati più completi per confermare pienamente che il rapporto rischio-beneficio del farmaco è positivo. Il CHMP ha quindi chiesto che il titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Translarna conduca un nuovo studio di 18 mesi, randomizzato, controllato con placebo in pazienti con distrofia muscolare di Duchenne, seguito da un periodo di 18 mesi in cui tutti i pazienti saranno passati a Translarna. I risultati dello studio dovrebbero essere disponibili nel primo trimestre del 2021.

Translarna è usato per il trattamento di pazienti dai cinque anni di età in poi affetti da distrofia muscolare di Duchenne, una condizione grave e rara per la quale non sono attualmente disponibili trattamenti autorizzati. Il farmaco deve essere usato in pazienti che sono in grado di camminare e la cui malattia è causata da uno specifico difetto genetico (chiamato 'mutazione nonsenso') nel gene per la proteina muscolare distrofina.

L'approvazione condizionata permette all'EMA di raccomandare un farmaco per l'autorizzazione all'immissione in commercio, nell'interesse della salute pubblica, quando il beneficio della sua immediata disponibilità sia superiore al rischio inerente al fatto che sono ancora necessari dati aggiuntivi. Questi farmaci sono soggetti a specifici obblighi di post-autorizzazione che mirano a generare dati completi sul medicinale. Le autorizzazioni all'immissione in commercio condizionate sono valide per un anno e possono essere rinnovate o convertite ad uno standard di autorizzazione all'immissione in commercio di cinque anni quando i dati aggiuntivi generati confermano che il rapporto rischio-beneficio del farmaco è positivo.

Il rapporto di valutazione del rinnovo all'immissione in commercio condizionata per Translarna sarà pubblicato dopo che la Commissione Europea avrà emesso la propria decisione sul rinnovo.