



Data: 29/1/2024

Referència: 2024009

AR

## NOTA INFORMATIVA

**La AEMPS actualitza la informació sobre Translarna (ataluren): el CHMP confirma la recomanació de no renovar l'autorització de comercialització.**

Tipus d'alerta: **Seguretat**

Tipus de producte: **Medicament d'ús humà**

\* Acadèmia de Ciències Mèdiques i de la Salut de Catalunya i de Balears \* Col·legis de farmacèutics \*  
Col·legis de metges \* Dipòsits de medicaments intrahospitalaris \* Serveis de farmàcia hospitalària \*

Com a continuació de l'alerta 2023104 emesa el passat 20 de setembre de 2023, en relació amb Translarna i la recomanació del CHMP de revocació de la seva autorització de comercialització, us informem que l'Agència Espanyola de Medicaments i Productes Sanitaris (AEMPS) ha emès una nova Nota Informativa actualitzada on es confirma la recomanació de no renovar l'autorització.

Servei d'Ordenació  
i Qualitat Farmacèutiques

## La AEMPS actualiza la información sobre Translarna (ataluren): el CHMP confirma la recomendación de no renovar la autorización de comercialización

**Fecha de publicación: 26 de enero de 2024**

Categoría: medicamentos de uso humano

Referencia: MUH, 01/2024

- Como consecuencia de la recomendación final del CHMP, Translarna dejará de estar disponible en la Unión Europea
- No se ha podido demostrar la eficacia del medicamento tras la revisión de los datos disponibles, incluyendo los resultados del estudio 041, realizado como una obligación específica tras la autorización, así como los resultados de un análisis en el que se compararon dos registros de pacientes
- Los profesionales sanitarios no deben iniciar nuevos tratamientos con este medicamento
- La AEMPS informará de la decisión final de la Comisión Europea y, en su caso, de la fecha efectiva de la retirada de la comercialización
- El CHMP reconoció la enorme necesidad médica no cubierta de un tratamiento eficaz para la distrofia muscular de Duchenne

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA, en inglés), del que forma parte la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), ha confirmado la recomendación de no renovar la autorización de Translarna (ataluren), un medicamento autorizado para tratar la distrofia muscular de Duchenne causada por un tipo de defecto genético llamado «mutación sin sentido» en el gen de la distrofina.

La **recomendación inicial de no renovar la autorización de comercialización** se produjo tras la reevaluación completa de los beneficios y riesgos de Translarna durante la renovación de su autorización de comercialización, que concluyó que no se había confirmado su eficacia. En un nuevo examen solicitado por el laboratorio comercializador, el CHMP volvió a evaluar los datos del estudio 041, realizado como una obligación específica tras la autorización, así como los resultados de un análisis en el que se compararon dos registros de pacientes.

El CHMP concluyó que los resultados del estudio 041 no demostraron que el medicamento fuera eficaz en pacientes con una disminución progresiva de su capacidad para caminar, en los

que se esperaba mayor beneficio del tratamiento con Translarna en comparación con otros pacientes incluidos en el estudio. En los pacientes tratados con Traslarna, la distancia que podían caminar en seis minutos después de 18 meses de tratamiento se redujo en unos 82 metros desde al inicio del estudio en comparación a los 90 metros en el grupo de placebo. Esta diferencia no fue estadísticamente significativa.

Una parte importante del nuevo examen del CHMP fue la evaluación de los datos de un análisis en el que se compararon los resultados de salud de los pacientes seguidos en dos registros. Los pacientes del registro STRIDE recibieron tratamiento con Translarna durante un promedio de 5.5 años entre 2015 y 2022, mientras que los pacientes del registro CINRG DNHS no fueron tratados con Translarna y fueron seguidos entre 2006 y 2016.

Los resultados indicaron que los pacientes en el registro STRIDE perdieron su capacidad de caminar aproximadamente 3.5 años más tarde que los pacientes en el registro CINRG DNHS. Sin embargo, debido a varios problemas e incertidumbres relacionados con los datos de estos registros, el CHMP no pudo concluir que la diferencia observada entre los dos registros se debiera al efecto de Translarna. Una incertidumbre importante se relaciona con el hecho de que el registro STRIDE se realizó más recientemente que el registro CINRG DNHS, y por ello, los pacientes seguidos en STRIDE pudieron beneficiarse de los avances más recientes en tratamientos no farmacológicos, que les habría proporcionado beneficios adicionales. También hubo incertidumbres sobre cómo se tuvieron en cuenta en el análisis las diferencias en el uso de esteroides, la opción de tratamiento principal para estos pacientes. El comité también observó diferencias entre las poblaciones de pacientes de los dos registros en cuanto a las mutaciones genéticas que causaban la distrofia muscular de Duchenne, lo que podría haber sesgado los resultados a favor de los tratados con Translarna. Debido a todas estas limitaciones, el CHMP no pudo extraer conclusiones sobre los beneficios de Translarna a partir de los datos del registro.

El CHMP también señaló que el mecanismo de acción de Translarna no se confirmó en estudios adicionales, que mostraron solo un efecto muy pequeño de Translarna en la producción de la proteína distrofina. Durante este nuevo examen, el CHMP ha consultado a un grupo de expertos en neurología, así como a representantes de los pacientes. También se tuvieron en cuenta varias contribuciones recibidas de familias, médicos individuales, pacientes y asociaciones de profesionales sanitarios.

El CHMP reconoció la enorme necesidad médica no cubierta de un tratamiento eficaz para la distrofia muscular de Duchenne. Sin embargo, basándose en todas las pruebas acumuladas desde la autorización inicial del medicamento, el comité ha concluido que la eficacia de Translarna no se ha confirmado en pacientes con distrofia muscular de Duchenne con “mutación sin sentido”, incluidos aquellos en los que se esperaba que tuvieran una mejor respuesta al tratamiento. Por lo tanto, ha llegado a la conclusión de que la relación beneficio/riesgo de Translarna es negativa y ha recomendado no renovar su autorización de comercialización en la UE. La EMA enviará la opinión del CHMP a la Comisión Europea, que emitirá una decisión final jurídicamente vinculante aplicable en todos los Estados miembros de la UE.

## **Información para pacientes y personas cuidadoras**

- El CHMP, tras evaluar los datos disponibles sobre los beneficios y los riesgos de Translarna, ha llegado a la conclusión de que no se ha confirmado la eficacia de Translarna en el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne causada por un tipo de defecto genético llamado «mutación sin sentido» en el gen de la distrofina, y ha recomendado que no se renueve su autorización de comercialización.
- Una vez que esta recomendación sea confirmada por la Comisión Europea, el medicamento dejará de estar autorizado en la UE.
- Si usted o la persona a su cargo está recibiendo Translarna, debe hablar con su profesional médico sobre esta decisión y lo que significa para su tratamiento.

## **Información para profesionales sanitarios**

- Una revisión completa de todos los datos disponibles sobre los beneficios y riesgos de Translarna ha concluido que no se ha confirmado la eficacia del medicamento. En consecuencia, el CHMP ha recomendado no renovar su autorización de comercialización.
- Una vez que esta recomendación sea confirmada por la Comisión Europea, el medicamento dejará de estar autorizado en la UE. Los profesionales de la salud no deben iniciar ningún tratamiento con Translarna para nuevos pacientes.
- En el caso de los pacientes que actualmente usan Translarna, los profesionales de la salud deben explicar por qué existe una recomendación de no renovar la autorización de comercialización del medicamento y discutir las terapias de apoyo adecuadas.