

FROMCeO LOMBARDIA Federazione  
Regionale degli Ordini dei Medici Chirurghi  
e degli Odontoiatri della Lombardia  
Via Massenzio Masia 30  
22100 COMO (CO)  
Email: presidenza.co@pec.omceo.it

Segretario regionale AIOP Associazione  
Italiana  
Via Timavo, 24  
20124 MILANO (Mi)  
Email: aioplombardia@cert.aconet.it

SEGRETARIO REGIONALE ANISAP  
via Martiri delle Foibe 1  
20900 MONZA ()  
Email: amministrazione@anisap-  
lombardia.com

SEGRETARIO REGIONALE ARIS  
Via Mantova, 113  
26100 CREMONA (CR)  
Email: arislombardia@arisassociazione.it

FEDERFARMA LOMBARDIA  
Viale Piceno, 18  
20129 MILANO (MILANO)  
Email: lombardia@pec.federfarma.it

ASSOFARM LOMBARDIA C/O  
CONSERVIZI MILANO  
Palazzo Q7 - Strada 4  
20129 ROZZANO (Milano)  
Email: segreteria@confservizilombardia.it

FARMACIE UNITE  
Email: farmacieunite@pec.farmacieunite.it

Federazione Ordini dei Farmacisti della  
Lombardia  
Viale Piceno, 18  
20129 MILANO (MI)  
Email: ordinefarmacistimilomb@pec.fofi.it

AI DIRETTORI GENERALI ASST  
AI DIRETTORI GENERALI ATS  
AI DIRETTORI GENERALI DEGLI IRCCS  
DI DIRITTO PUBBLICO  
AI LEGALI RAPPRESENTANTI DEGLI  
IRCCS DI DIRITTO PRIVATO

AI LEGALI RAPPRESENTANTI DELLE  
STRUTTURE PRIVATE ACCREDITATE  
AI SERVIZI FARMACEUTICI ATS, ASST,  
IRCCS E STRUTTURE PRIVATE  
ACCREDITATE

CENTRO COORDINAMENTO RETE  
MALATTIE RARE - ISTITUTO MARIO  
NEGRI

Via Camozzi, 3  
24020 RANICA ( )  
Email: raredis@marionegri.it

e, p.c.

AIFA DIREZIONE GENERALE  
Via del Tritone, 181  
187 ROMA ( )  
Email: protocollo@pec.aifa.gov.it

**Oggetto: AIFA e informazione in merito al medicinale Translarna (ataluren)**

Sul sito di AIFA in data 14 maggio è stata pubblicata “Informazione in merito al medicinale Translarna (ataluren)” che si riporta di seguito.

<https://www.aifa.gov.it/-/informazione-in-merito-al-medicinale-translarna-ataluren->

Il medicinale Translarna (ataluren), indicato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne conseguente a una mutazione nonsense nel gene della distrofina (nonsense mutation Duchenne Muscular Dystrophy, nmDMD) nei pazienti deambulanti di età pari ad almeno 5 anni, è stato reso disponibile con autorizzazione all'immissione in commercio (AIC) subordinata a condizioni (CMA) la prima volta il 19 maggio 2014 e successivamente con i relativi rinnovi.

In data 15 settembre 2023 il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) di EMA ha raccomandato di non rinnovare l'AIC condizionata di Translarna (ataluren), sulla base di una rivalutazione completa dei benefici e dei rischi che non ha confermato l'efficacia del medicinale. Tale parere, come comunicato da EMA in data 25 gennaio 2024, è stato confermato da parte del CHMP anche dopo aver condotto il riesame, analizzando i dati di uno studio post-autorizzativo.

Come previsto dalla normativa, tale parere espresso dal CHMP è stato successivamente trasmesso alla Commissione Europea, tuttavia, alla data del presente comunicato, l'emanazione della decisione finale non è ancora avvenuta.

Pertanto, il Translarna deve considerarsi a tutti gli effetti autorizzato e prescrivibile ai pazienti, così come deve considerarsi garantita la continuità terapeutica nei pazienti già in trattamento.

Distinti Saluti

Il Dirigente  
IDA FORTINO

**Referente per l'istruttoria della pratica: IDA FORTINO Tel. 02/6765.8042**