

Aggiornamento del 25 ottobre 2024

A seguito del secondo riesame dei dati disponibili, il Comitato per la valutazione dei medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMA ha confermato la sua precedente raccomandazione a non rinnovare la autorizzazione all'immissione in commercio (AIC), subordinata a condizioni, di Translarna (ataluren) indicato per il trattamento di pazienti da 2 anni in su affetti dalla distrofia muscolare di Duchenne che sono in grado di camminare e la cui condizione è causata da un tipo di anomalia genetica definita 'mutazione non senso' nel gene della distrofina. Questa ultima fase della valutazione ha concluso che l'efficacia di Translarna non è stata confermata.

Il CHMP aveva rilasciato un iniziale parere negativo su Translarna a settembre 2023, che era stato confermato a gennaio 2024 a seguito del primo riesame richiesto dal titolare dell'AIC.

A giugno 2024, il CHMP aveva rivalutato il suo parere sulla base della richiesta dalla Commissione europea di considerare ulteriori dati di real-world portati all'attenzione della Commissione durante il processo decisionale, e se i dati disponibili fossero completi; era stato acquisito il punto di vista di un nuovo gruppo di esperti clinici. Dopo questa valutazione, la raccomandazione del CHMP è rimasta negativa.

Successivamente, il titolare dell'AIC ha richiesto un secondo riesame da parte del CHMP, che ha rivalutato i risultati dello studio post-autorizzativo 041, il cui obiettivo era valutare se il sottogruppo di pazienti con un declino progressivo della capacità di camminare fosse più sensibile al trattamento con Translarna, e una nuova analisi presentata dal titolare dei dati di registro STRIDE.

Pur riconoscendo l'elevato bisogno medico di un efficace trattamento farmacologico dei pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne, sulla base di tutte le informazioni raccolte, il CHMP ha concluso che l'efficacia di Translarna non è stata confermata.

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

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, che tuttavia il 24 maggio 2024 ha chiesto al Comitato di valutare ulteriormente se i dati disponibili su Translarna fossero sufficientemente completi per trarre conclusioni sul rapporto benefici/rischi del medicinale e se ulteriori dati di real-world portati all'attenzione della Commissione durante il processo decisionale avrebbero potuto influire sulle conclusioni del CHMP. Inoltre, a seguito della sentenza d'appello della Corte di giustizia dell'Unione europea del 14 marzo 2024 nella causa C-291/22 P, l'EMA ha deciso di convocare un nuovo gruppo consultivo scientifico sulla neurologia per Translarna. La valutazione è stata pertanto riportata alla fase dell'ultimo rinnovo del 15 settembre 2023.

In relazione alla richiesta della Commissione Europea, il CHMP ha esaminato alcune recenti

pubblicazioni relative: all'analisi dei dati combinati di tre studi clinici con Translarna già valutati dal CHMP (meta-analisi); il livello di accordo tra 12 medici sull'uso di Translarna; un'iniziativa per raccogliere dati sui disturbi neuromuscolari rari (EURO-NMD registry). Inoltre, il CHMP ha tenuto in considerazione il parere del nuovo gruppo consultivo scientifico sulla neurologia composto da medici neurologi e persone con esperienza vissuta di distrofia muscolare di Duchenne. Pur riconoscendo l'elevato bisogno medico insoddisfatto di un trattamento efficace per i pazienti affetti da questa malattia rara, il CHMP ha ritenuto che i dati disponibili su Translarna, come sopra descritti, siano esaurienti e ha concluso che il rapporto benefici/rischi per questo medicinale è negativo.

Pertanto, il 27 giugno 2024 il CHMP ha raccomandato di non rinnovare l'autorizzazione all'immissione in commercio di Translarna nell'UE. Il comunicato EMA del 28 giugno 2024 è consultabile al Box "Link correlati". L'EMA ha inviato il parere del CHMP sulla domanda di rinnovo alla Commissione Europea per una decisione finale giuridicamente vincolante applicabile in tutti gli Stati membri dell'UE. Tuttavia, il titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio di Translarna ha richiesto un riesame.

Pubblicato il: 25 ottobre 2024