

03/10/2023

FARMACOVIGILANCIA

Información destinada a los profesionales de la salud

Translarna® (ataluren). Revocación de autorización de comercialización. AEMPS

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA, por sus siglas en inglés) ha recomendado no renovar la autorización de comercialización de Translarna® (ataluren), un medicamento autorizado en 2014 para el tratamiento de pacientes ambulatorios con distrofia muscular de Duchenne, una enfermedad causada por una mutación sin sentido en el gen de la distrofina.

El CHMP concluyó que el estudio 041 —un ensayo clínico fase 3, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo en 360 pacientes de 7 años y mayores— no ha confirmado la eficacia de Translarna®. A la fase de doble ciego, que duró 72 semanas, le siguió otra fase de 72 semanas en la que los pacientes que inicialmente recibieron placebo pasaron a recibir Translarna®. Estos resultados se consideraron particularmente relevantes, ya que el estudio incluyó una población que se esperaba fuera más sensible a los efectos del medicamento.

En su revisión, el CHMP también consideró la comparación de los resultados en los pacientes tratados con Translarna® e incluidos en el registro STRIDE (estudio 0250) con los datos de la historia natural de la enfermedad. El CHMP tuvo en cuenta los resultados que se observaron en el retraso en la pérdida de deambulación, pero no pudo llegar a una conclusión, dadas las dudas metodológicas y la incertidumbre generada por las comparaciones indirectas. Asimismo, no se vio un beneficio claro en los resultados de otros parámetros. Por último, el comité también consideró los estudios pediátricos 045 y 046.

Por todo ello, el CHMP ha concluido que, de acuerdo a los datos generados y proporcionados, la eficacia de Translarna® no se ha demostrado y, por tanto, no se puede renovar la autorización de comercialización.

Fuente: Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Información de la AEMPS sobre Translarna (ataluren): el CHMP recomienda la revocación de su autorización de comercialización. 19/09/2023. Disponible en: <https://www.aemps.gob.es/informa/informacion-de-la-aemps-sobre-translarna-ataluren-el-chmp-recomienda-la-revocacion-de-su-autorizacion-de-comercializacion/>

Se recuerda la importancia de notificar todas las sospechas de reacciones adversas mediante **la hoja amarilla**. Puede solicitarse en el DAP o acceder a la misma a través de la página web del Colegio www.colfarsfe.org.ar en el apartado **Profesionales > Farmacovigilancia > Comunicación de Eventos Adversos**