

PTC Therapeutics riceve l'approvazione condizionale nell'Unione Europea per Translarna™ per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione non senso.

-Il primo trattamento approvato per la DMD-

SOUTH PLAINFIELD, NJ – 4 agosto 2014 – PTC Therapeutics, Inc. ha annunciato che la Commissione Europea ha concesso l'approvazione condizionale alla commercializzazione di Translarna™ (ataluren) nell'Unione Europea per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da mutazione non senso (nmDMD) nei pazienti deambulanti di età eguale o superiore ai 5 anni.

Stuart W. Peltz, PhD, CEO di PTC Therapeutics, ha dichiarato: "Siamo lieti che Translarna sia stato approvato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da mutazione non senso. Agendo sul difetto responsabile della DMD, Translarna ha la potenzialità di cambiare il corso della patologia. Ci stiamo muovendo rapidamente per rendere questo prodotto disponibile ai pazienti nell'Unione Europea, e nello stesso tempo continuiamo ad impegnarci a livello globale per realizzare il nostro desiderio di rendere Translarna disponibile a tutti i pazienti che ne possono beneficiare. Siamo grati ai pazienti, alle famiglie, alle associazioni di pazienti e ai medici che hanno sostenuto PTC Therapeutics nel corso dei molti anni dedicati alla ricerca e allo sviluppo di Translarna. La comunità DMD ha atteso per molto tempo opportunità di trattamento, e questa approvazione condizionale segna un giorno importante per tutti noi".

L'autorizzazione permette a PTC di commercializzare Translarna nei 28 Paesi membri dell'Unione Europea, così come nei Paesi membri dell'area Economica Europea Islanda, Liechtenstein e Norvegia. Come parte dell'approvazione condizionale alla commercializzazione, PTC è obbligata a completare lo studio di conferma di fase 3 (ACT DMD) nei pazienti nmDMD e a sottomettere gli ulteriori dati di efficacia e sicurezza provenienti dalla sperimentazione.

L'approvazione si basa sui risultati relativi alla sicurezza e all'efficacia provenienti dallo studio multicentrico randomizzato e in doppio cieco condotto in 174 pazienti nmDMD per 48 settimane, e sulle nostre ulteriori analisi retrospettive dei dati provenienti dallo studio. L'obiettivo primario era la valutazione dell'effetto di Translarna sulla deambulazione, come misurato dalla variazione della distanza percorsa durante una camminata di 6 minuti (test del cammino dei sei minuti – 6MWT). Le analisi post-hoc hanno mostrato che rispetto al valore basale alla settimana 48, i pazienti che hanno ricevuto Translarna (40 mg/kg/die somministrati in 3 dosi) hanno avuto un declino medio di 12,9 metri nel 6MWT e i pazienti che hanno ricevuto il placebo hanno mostrato un declino medio di 44,1 metri nel 6MWT. Quindi il cambiamento medio osservato nel 6MWT dal valore basale alla 48° settimana consiste di 31,3 metri in più percorsi dal gruppo che ha ricevuto Translarna rispetto al gruppo placebo ($p=0,056$). Inoltre, nei pazienti più severamente affetti dalla patologia, il cui valore del 6MWT basale era inferiore ai 350 metri, il cambiamento medio osservato nel 6MWT tra il valore basale e quello a 48 settimane consisteva in 68 metri in più percorsi dal gruppo sotto trattamento rispetto al gruppo placebo. In base a quanto evidenziato dall'analisi del tempo necessario ad osservare un peggioramento del 10% nel 6MWT, i pazienti trattati con Translarna hanno anche mostrato un tasso di declino più lento della capacità deambulatoria.

Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) dell’Agenzia Europea del Farmaco (European Medicines Agency, EMA) ha trovato che questi risultati suggeriscono che Translarna rallenta la perdita della capacità di deambulazione nei pazienti nmDMD.

Inoltre, in base a un’analisi retrospettiva i pazienti che hanno ricevuto il trattamento, rispetto a quelli che hanno assunto il placebo, hanno anche mostrato un trend migliore negli endpoint secondari, quali i test funzionali a tempo di salita e discesa delle scale, che il CHMP ha trovato suggerissero un rallentamento della progressione della nmDMD . I risultati relativi alla sicurezza hanno mostrato che Translarna è stato generalmente ben tollerato. Gli eventi avversi seri sono stati rari, e nessuno è stato considerato come dovuto al trattamento con Translarna. Le reazioni avverse più frequenti alla dose raccomandata sono state nausea, vomito e mal di testa. Queste reazioni avverse non hanno richiesto generalmente un intervento medico, e nessuno dei pazienti ha interrotto il trattamento con Translarna a causa di qualsiasi reazione avversa.

Mark Rothera, Chief Commercial Officer, di PTC Therapeutics, ha affermato: “ L’approvazione del primo trattamento al mondo per la causa sottesa alla DMD, segna un momento molto importante per i pazienti e le loro famiglie. La nostra massima priorità è rendere Translarna disponibile ai pazienti e lavoreremo con gli enti regolatori, i finanziatori i clinici e le organizzazioni di pazienti per fare in modo che questo diventi una realtà”.

Traduzione a cura dell’ufficio scientifico di Parent Project onlus