

Negatief advies voor Translarna als medicijn voor Duchenne

Het Europees geneesmiddelenbureau (EMA) heeft geadviseerd de voorwaardelijke goedkeuring van ataluren (Translarna®) niet te verlengen. Een gunstig effect van ataluren kon volgens de beoordelaars in uitgebreid nieuw onderzoek namelijk niet bevestigd worden.

Ataluren (Translarna®) is een geneesmiddel dat ontwikkeld is voor een klein deel van de patiënten met Duchenne spierdystrofie, namelijk degenen die een nonsense mutatie hebben in het dystrofine gen (*DMD* gen). Zo'n nonsense mutatie wordt ook wel een stop mutatie genoemd en zorgt ervoor dat het vertalen van het dystrofine eiwit voortijdig stopt, zodat er geen functioneel dystrofine eiwit gemaakt wordt.

Ataluren was door de EMA in 2014 onder voorwaarden toegelaten in Europa. Die voorwaarden hielden in dat er meer klinische studies gedaan moesten worden om het effect van ataluren op de spierfunctie te onderzoeken. Verder moest de goedkeuring jaarlijks worden verlengd. De commissie die binnen EMA gaat over gebruik van medicijnen bij mensen (CHMP) heeft op 15 September haar advies bekend gemaakt om de voorwaardelijke goedkeuring van ataluren (Translarna®) niet (opnieuw) te verlengen.

In de commissie zijn drie klinische trials beoordeeld waarin ataluren is vergeleken met placebo. In een dergelijke trial wordt geloot wie de behandeling krijgt en wie niet. Ook zijn de uitkomsten van een jarenlang lopende registratiestudie (STRIDE) beoordeeld waarin het ziektebeloop van jongens die ataluren gebruiken vergeleken is met historische controles. De commissie heeft geconcludeerd dat een gunstig effect van ataluren bij Duchenne niet bevestigd kon worden.

Het is mogelijk als bedrijf tegen dit advies in beroep te gaan. In dat geval worden nieuwe rapporteurs gekozen om de beoordeling over te doen. PTC Therapeutics, het bedrijf dat ataluren op de markt bracht, is van plan zo'n verzoek in te dienen. Dit nieuwe advies wordt verwacht in januari 2024.

In Nederland wordt ataluren sinds november 2021 voorwaardelijk vergoed voor jongens met Duchenne van twee jaar en ouder die kunnen lopen. Zij krijgen ataluren via het Leids Universitair Medisch Centrum in Leiden of het Radboudumc in Nijmegen, beide onderdeel van het Duchenne Centrum Nederland. Op dit moment krijgen in Nederland 13 patiënten ataluren voorgeschreven.

Totdat het nieuwe advies van de EMA bekend is kunnen deze Nederlandse patiënten ataluren blijven gebruiken. Dit is bevestigd door het Zorginstituut Nederland (ZIN). Nieuwe patiënten met een nonsense mutatie zullen in afwachting hiervan geen ataluren voorgeschreven krijgen. Het nieuwe advies zal bepalend zijn voor de toekomstige beschikbaarheid van ataluren in Nederland.

Lees voor meer informatie de [EMA-webpagina over de autorisatie van Translarna](#) en de [informatiebrief vanuit PTC Therapeutics](#)

Bij vragen kunt u ook contact opnemen met het Duchenne Centrum Nederland:
info@duchennecentrum.nl

