

Translarna™ (ataluren)'e Yönelik CHMP Kararına İlişkin Sorular ve Cevaplar

YALNIZCA KAYNAK GÖSTERME AMAÇLIDIR, YAYINLAMA VEYA DAĞITIM AMAÇLI DEĞİLDİR

Translarna nedir?

Translarna AB'deki ataluren için marka adıdır (ticari isimdir).

Translarna en yakın ne zaman mevcut olacak?

Avrupa Komisyonu, CHMP'nin olumlu görüşünü gözden geçirecek olup genelde kendi nihai görüşünü üç ay içerisinde iletmektedir. Olumlu bir AK kararı sonrasında, PTC'nin, Avrupa Ekonomik Alanı üyeleri olan İzlanda, Lihtenştayn ve Norveç ile birlikte 28 Avrupa Birliği Üye Devletinin her birinde fiyatlandırma ve masraf tazmini için gerekli başvuruları yapması gerekecektir. Bu süreç ülkeden ülkeye değişmekte olup genelde birkaç ay ile bir buçuk sene arası bir zaman alabilir. PTC, bu süreci her bir ülkenin izin verdiği ölçüde hızla ilerletmek için elinden geleni yapacaktır.

Translarna'yı hangi hastalar alabilecek?

CHMP tarafından, kendi olumlu görüşünün bir parçası olarak belirlenen etikete göre, Translarna yaşları beş ila üzeri ve ambulatuvar olan belgelendirilmiş anlamsız mutasyon dolayısıyla DMD'li erkek çocuklar için koşullu onay aracılığıyla sağlanacaktır.

Beş yaş altı olan ve ambulatuvar olmayan çocuklar için nasıl bir yol izlenecek?

PTC, Translarna'dan faydalanabilecek tüm hastaların erişimi için bir yol bulmaya yönelik olarak düzenleyicilerle ilgilenecektir.

Translarna alan fakat ambulatuvar olmayan ek çalışmalardaki erkek çocuklar ve genç erkekler için nasıl bir yol izlenecek?

Ek çalışmadaki erkek çocukların, Translarna'ın ticari olarak kendi ülkelerinde bulunmasına kadar bu çalışmada kalması öngörülmektedir.

Maliyeti ne olacak?

Fiyat henüz belirlenmemiş olmakla birlikte, fiyatlandırmanın çok nadir hastalıklar için yenilikçi yeni terapiler ile tutarlı olacağını öngörmekteyiz.

Yine de sık testlere gelmek zorunda kalacak mıyım?

Ülkenizde Translarna ticari olarak mevcut olur olmaz, bakımınız sizi tedavi eden hekim tarafından sağlanacaktır.

CHMP kararı devam etmekte olan klinik deneyi (ACT DMD) nasıl etkileyecek?

Deney devam edecek olup bu, PTC için önemli bir önceliktir. ACT DMD tamamlanması Translarna daha da geliştirilmesi ve ticarileştirilmesi açısından önem arz etmektedir. ACT DMD sonuçlarının olumlu olduğunu farz ederek, hem AB hem de ABD’de tam onay için başvurularımızı desteklemek için veriler sunulacak ve bu ayrıca diğer ülkelerdeki potansiyel onayların da dayanağını oluşturacaktır.

Translarna’yı koşullu onay aracılığıyla elde edebilirlerse, plasebo kontrollü deneye katılmayan erkek çocuklar hususunda endişe duyuyor musunuz?

PTC, önemli olan bu klinik deneyi tamamlama kabiliyetine güvenmektedir. Biz, bu deneyin 2014 ortalarına kadar eksiksiz olarak kaydedilmesi yolunda ilerlemekteyiz ve yeni üyelerin pek çoğunun AB dışındaki ülkelerden olması beklenmektedir. Ayrıca, Translarna’nın mevcut olması için ülke-ülke süreci vardır ve Translarna mevcut olur olmaz, AB’deki deney alanlarına kaydolan erkek çocukların pek çoğunun deneyi tamamlayacağını ve Translarna’yı almakta olacakları ek çalışma içerisinde olacaklarını tahmin etmekteyiz.

Karar ACT DMD ek çalışmasını mı yoksa Phase 2b ek çalışmasını mı etkileyecek?

Ek çalışmadaki erkek çocukların Translarna’ın ticari olarak kendi ülkelerinde bulunmasına kadar bu çalışmada kalacağını öngörmekteyiz.

Sizce siz nmDMD’de Translarna için tam onayı ne zaman alırsınız?

Mevcut öncelikli ve önemli verilere 2015 ortalarında sahip olmayı öngörüyoruz. Beş kıtada deney alanları olduğu için, nihai verilerin elde edilip işlenmesi biraz zaman alacaktır. Hasta kaydı ve veri mevcudiyeti öngörülerimize dayanarak, nmDMD’nin tedavisi için hem AB hem de ABD’de ataluren için tam pazarlama onayı başvurularını 2016 yılında sunmayı umuyoruz.