B. FOGLIO ILLUSTRATIVO

Agenzia Italiana del Farmaco

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021

Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).

Foglio illustrativo: informazioni per il paziente

Translarna 125 mg granulato per sospensione orale
Translarna 250 mg granulato per sospensione orale
Translarna 1.000 mg granulato per sospensione orale
ataluren

▼Medicinale sottoposto a monitoraggio addizionale. Ciò permetterà la rapida identificazione di nuove informazioni sulla sicurezza. Lei può contribuire segnalando qualsiasi effetto indesiderato riscontrato durante l'assunzione di questo medicinale. Vedere la fine del paragrafo 4 per le informazioni su come segnalare gli effetti indesiderati.

Legga attentamente questo foglio prima di prendere questo medicinale perché contiene importanti informazioni per lei.
- Conservi questo foglio. Potrebbe aver bisogno di leggerlo di nuovo.
- Se ha qualsiasi dubbio, si rivolga al medico o al farmacista.
- Questo medicinale è stato prescritto soltanto per lei. Non lo dia ad altre persone, anche se i sintomi della malattia sono uguali ai suoi, perché potrebbe essere pericoloso.
- Se si manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o al farmacista. Vedere paragrafo 4.

Contenuto di questo foglio:

1. Che cos'è Translarna e a cosa serve
2. Cosa deve sapere prima di prendere Translarna
3. Come prendere Translarna
4. Possibili effetti indesiderati
5. Come conservare Translarna
6. Contenuto della confezione e altre informazioni

1. Che cos'è Translarna e a cosa serve

Translarna è un medicinale che contiene il principio attivo ataluren.

Translarna viene utilizzato per trattare la distrofia muscolare di Duchenne causata da un difetto genetico che colpisce la normale funzionalità muscolare.

Translarna viene utilizzato per trattare pazienti di almeno 2 anni di età che sono in grado di camminare.

Lei o il bambino dovete essere stati visitati dal medico prima di iniziare il trattamento con Translarna, al fine di confermare che il tipo di malattia è adatta al trattamento con questo farmaco.

Come funziona Translarna?

La distrofia muscolare di Duchenne è causata da alterazioni genetiche che provocano anomalie di una proteina muscolare chiamata distrofina, necessaria al corretto funzionamento dei muscoli. Translarna consente la produzione di distrofina attiva e contribuisce al normale funzionamento dei muscoli.

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).

2. Cosa deve sapere prima di prendere Translarna

Non prenda Translarna
- se è allergico ad ataluren o ad uno qualsiasi degli altri componenti di questo medicinale (elencati al paragrafo 6).
- se sta ricevendo un trattamento con determinati antibiotici quali gentamicina, tobramicina e streptomicina mediante iniezione in vena.

Avvertenze e precauzioni
Il medico deve averla sottoposta a un esame del sangue per confermare che il tipo di malattia è adatta al trattamento con Translarna. In caso di problemi ai reni, il medico deve controllare periodicamente la funzionalità renale.

Se ha problemi renali gravi (eGFR <30 ml/min) o se è in dialisi perché i suoi reni non funzionano (malattia renale allo stadio terminale) il medico stabilirà se il trattamento con Translarna è adatto a lei.

Il medico esaminerà i livelli dei lipidi (grassi come colesterolo e trigliceridi) nel suo sangue e la funzionalità renale ogni 6-12 mesi. Il medico le controllerà la pressione sanguigna ogni 6 mesi se sta assumendo un farmaco a base di corticosteroidi.

Bambini e adolescenti
Non somministrare questo medicinale in bambini al di sotto di 2 anni o di peso inferiore a 12 kg poiché Translarna non è stato studiato in questo gruppo di pazienti.

Altri medicinali e Translarna
Informi il medico se sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere qualsiasi altro medicinale. In particolare, non assuma Translarna con iniezioni di antibiotici come gentamicina, tobramicina o streptomicina in quanto possono compromettere la funzionalità renale.

Informi il medico se sta assumendo uno qualsiasi dei seguenti medicinali:

Medicinale	**Normalmente prescritto per**
aciclovir	trattare la varicella
adefovir	trattare l'epatite B cronica e/o l'HIV
atorvastatina	trattare l'aumentato contenuto di lipidi nel sangue
benzilpenicillina	trattare infezioni gravi
bumetanide	trattare o prevenire l'insufficienza cardiaca congestizia
captoprile	trattare o prevenire l'insufficienza cardiaca congestizia
ciprofloxacina	trattare le infezioni
famotidina	trattare l'ulcera duodenale attiva, malattia da reflusso gastroesofageo
furosemide	trattare o prevenire l'insufficienza cardiaca congestizia
metotrexato	trattare l'artrite reumatoide, la psoriasi
olmesartan	trattare l'ipertensione essenziale dell'adulto
oseltamivir	prevenire l'influenza
fenobarbital	indurre il sonno, prevenire attacchi epilettici
pitavastatina	trattare l'aumentato contenuto di lipidi nel sangue
pravastatina	trattare l'aumentato contenuto di lipidi nel sangue
rifampicina	trattare la tubercolosi
rosuvastatina	trattare l'aumentato contenuto di lipidi nel sangue
sitagliptina	trattare il diabete di tipo 2
valsartan	trattare o prevenire l'insufficienza cardiaca congestizia

L'effetto di alcuni di questi farmaci somministrati insieme a Translarna non è stato studiato e il medico può decidere di controllarla attentamente.

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).
Agenzia Italiana del Farmaco

Gravidanza e allattamento

Se è in corso una gravidanza, se sospetta o sta pianificando una gravidanza o se sta allattando con latte materno chieda consiglio al medico prima di prendere questo medicinale. Se inizia una gravidanza mentre prende Translarna, consulti immediatamente il medico in quanto si raccomanda di non assumere Translarna durante la gravidanza o l'allattamento.

Guida di veicoli e utilizzo di macchinari

Se si sente confuso, non guidi, non usi la bicicletta o non usi macchinari.

3. Come prendere Translarna

Prenda questo medicinale seguendo sempre esattamente le istruzioni del medico o del farmacista. Se ha dubbi consulti il medico o il farmacista.

Translarna è disponibile nei seguenti formati: 125 mg, 250 mg e 1.000 mg di ataluren per bustina. Il medico o il farmacista le dirà il numero esatto di bustine e quale dosaggio assumere ogni volta.

La dose di Translarna assunta dipende dal proprio peso corporeo. La dose raccomandata è di 10 mg/kg di peso corporeo al mattino, 10 mg/kg di peso corporeo a mezzogiorno e 20 mg/kg di peso corporeo alla sera (fino a una dose massima quotidiana di 40 mg/kg di peso corporeo).

Questo medicinale deve essere assunto per bocca miscelato a liquidi o cibo semisolido.
Aprire la bustina solo al momento dell'assunzione della dose e utilizzare l'intera quantità dalla bustina. L'intero contenuto delle bustine deve essere mescolato in almeno 30 ml di liquidi (acqua, latte, succo di frutta) oppure a 3 cucchiai di cibo semisolido (yogurt o purea di mele). Mescolare bene la dose preparata prima di prenderla. La quantità di liquidi o cibo semisolido può essere aumentata in base alle sue preferenze.

Agenzia Italiana del Farmaco

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021

Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).

Tabella della posologia

Intervallo di peso (kg)		Numero di bustine								
		Mattina			Mezzogiorno			Sera		
		Bustine da 125 mg	Bustine da 250 mg	Bustine da 1.000 mg	Bustine da 125 mg	Bustine da 250 mg	Bustine da 1.000 mg	Bustine da 125 mg	Bustine da 250 mg	Bustine da 1.000 mg
12	14	1	0	0	1	0	0	0	1	0
15	16	1	0	0	1	0	0	1	1	0
17	20	0	1	0	0	1	0	0	1	0
21	23	0	1	0	0	1	0	1	1	0
24	26	0	1	0	0	1	0	0	2	0
27	31	0	1	0	0	1	0	1	2	0
32	35	1	1	0	1	1	0	1	2	0
36	39	1	1	0	1	1	0	0	3	0
40	44	1	1	0	1	1	0	1	3	0
45	46	0	2	0	0	2	0	1	3	0
47	55	0	2	0	0	2	0	0	0	1
56	62	0	2	0	0	2	0	0	1	1
63	69	0	3	0	0	3	0	0	1	1
70	78	0	3	0	0	3	0	0	2	1
79	86	0	3	0	0	3	0	0	3	1
87	93	0	0	1	0	0	1	0	3	1
94	105	0	0	1	0	0	1	0	0	2
106	111	0	0	1	0	0	1	0	1	2
112	118	0	1	1	0	1	1	0	1	2
119	125	0	1	1	0	1	1	0	2	2

Prenda Translarna per bocca 3 volte al giorno, al mattino, a mezzogiorno e alla sera. Devono trascorrere 6 ore tra la dose del mattino e quella di mezzogiorno, 6 ore tra la dose di mezzogiorno e quella della sera e 12 ore tra la dose della sera e la prima dose del giorno successivo. Ad esempio, può prendere Translarna alle 7 del mattino con la colazione, alle 13 con il pranzo e intorno alle 19 con la cena.

Beva regolarmente acqua o altri liquidi per evitare la disidratazione durante il trattamento con Translarna.

Se prende più Translarna di quanto deve
Contatti il medico se prende più della dose raccomandata di Translarna.
Può manifestare cefalea, nausea, vomito o diarrea lievi.

Se dimentica di prendere Translarna
Se prende Translarna con un ritardo inferiore alle 3 ore dopo le dosi del mattino o di mezzogiorno oppure entro meno di 6 ore dopo la dose della sera, prenda la dose. Si ricordi di prendere la dose successiva in orario.
Se prende Translarna con un ritardo superiore alle 3 ore dopo le dosi del mattino o di mezzogiorno oppure superiore alle 6 ore dopo la dose della sera, non prenda la dose, ma prenda le dosi successive in orario.

Non prenda una dose doppia per compensare la dimenticanza della dose. È importante prendere la dose corretta. Translarna può non essere altrettanto efficace nel trattamento dei sintomi se prende più della dose raccomandata.

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).
Agenzia Italiana del Farmaco

Se interrompe il trattamento con Translarna
Non interrompa il trattamento con Translarna senza averne parlato prima con il medico.

Se ha qualsiasi dubbio sull'uso di questo medicinale, si rivolga al medico.

4. Possibili effetti indesiderati

Come tutti i medicinali, questo medicinale può causare effetti indesiderati sebbene non tutte le persone li manifestino. Lei può manifestare uno o più dei seguenti effetti indesiderati dopo avere preso Translarna:

Effetti indesiderati molto comuni (possono interessare più di 1 persona su 10):
- Vomito

Effetti indesiderati comuni (possono interessare fino a 1 persona su 10):
- Riduzione dell'appetito
- Alti livelli di trigliceridi nel sangue
- Mal di testa
- Sensazione di malessere
- Perdita di peso corporeo
- Ipertensione
- Tosse
- Sanguinamento dal naso
- Stitichezza
- Meteorismo
- Fastidio allo stomaco
- Mal di stomaco
- Eruzione cutanea
- Dolore a braccia o gambe
- Dolore al torace
- Minzione involontaria
- Sangue nelle urine
- Febbre

Frequenza sconosciuta (la frequenza non può essere definita sulla base dei dati disponibili):
- Aumento dei lipidi (grassi) nel sangue
- Aumento dei valori degli esami di funzionalità renale

Segnalazione degli effetti indesiderati
Se manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, compresi quelli non elencati in questo foglio, si rivolga al medico o al farmacista. Lei può inoltre segnalare gli effetti indesiderati direttamente tramite il sistema nazionale di segnalazione riportato nell'Allegato V. Segnalando gli effetti indesiderati può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

5. Come conservare Translarna

Conservi questo medicinale fuori dalla vista e dalla portata dei bambini.

Non usi questo medicinale dopo la data di scadenza che è riportata sulla scatola e sulla bustina dopo "SCAD". La data di scadenza si riferisce all'ultimo giorno di quel mese.

Questo medicinale non richiede alcuna condizione particolare di conservazione.

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).

Prenda ciascuna dose preparata immediatamente dopo la preparazione. Elimini la dose preparata se non viene presa entro 24 ore dalla preparazione se refrigerata (2 °C-8 °C) oppure entro 3 ore se tenuta a temperatura ambiente (15 °C-30 °C).

Non getti alcun medicinale nell'acqua di scarico o nei rifiuti domestici. Chieda al farmacista come eliminare i medicinali che non utilizza più. Questo aiuterà a proteggere l'ambiente.

6. Contenuto della confezione e altre informazioni

Cosa contiene Translarna
Translarna è disponibile in 3 dosaggi, ciascuno contenente 125 mg, 250 mg e 1.000 mg di principio attivo, chiamato ataluren. Gli altri componenti sono: polidestrosio (E1200), macrogol, polossamero, mannitolo (E421), crospovidone, idrossietilcellulosa, aroma artificiale di vaniglia (maltodestrina, aromatizzanti artificiali e propilenglicole), silice colloidale anidra (E551), magnesio stearato.

Descrizione dell'aspetto di Translarna e contenuto della confezione
Translarna è un granulato di colore da bianco a biancastro per sospensione orale in bustine.
Translarna è disponibile in confezioni da 30 bustine.

Titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio
PTC Therapeutics International Limited
5th Floor
3 Grand Canal Plaza
Grand Canal Street Upper
Dublin 4
D04 EE70
Irlanda

Produttore
Almac Pharma Services
22 Seagoe Industrial Estate
Craigavon BT63 5QD
Regno Unito

PTC Therapeutics International Limited
5th Floor
3 Grand Canal Plaza
Grand Canal Street Upper
Dublin 4
D04 EE70
Irlanda

Almac Pharma Services (Ireland) Limited
Finnabair Industrial Estate
Dundalk, Co. Louth, A91 P9KD
Irlanda

Per ulteriori informazioni su questo medicinale, contatti il rappresentate locale del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio:

AT, BE, BG, CY, CZ, DK, DE, EE, EL, ES, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MT, NL, NO, PL, PT, RO, SI, SK, FI, SE, UK (NI)
PTC Therapeutics International Ltd. (Irlanda)
+353 (0)1 447 5165
medinfo@ptcbio.com

FR
PTC Therapeutics France
Tel: +33(0)1 76 70 10 01
medinfo@ptcbio.com

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).

Questo foglio illustrativo è stato aggiornato il
A questo medicinale è stata rilasciata un'autorizzazione "subordinata a condizioni". Ciò significa che devono essere forniti ulteriori dati su questo medicinale.
L'Agenzia europea dei medicinali esaminerà almeno annualmente le nuove informazioni su questo medicinale e questo foglio illustrativo verrà aggiornato, se necessario.

Informazioni più dettagliate su questo medicinale sono disponibili sul sito web dell'Agenzia europea dei medicinali: http://www.ema.europa.eu. Inoltre, sono riportati link ad altri siti web su malattie rare e relativi trattamenti terapeutici.

Agenzia Italiana del Farmaco

Documento reso disponibile da AIFA il 10/07/2021
Esula dalla competenza dell'AIFA ogni eventuale disputa concernente i diritti di proprietà industriale e la tutela brevettuale dei dati relativi all'AIC dei medicinali e, pertanto, l'Agenzia non può essere ritenuta responsabile in alcun modo di eventuali violazioni da parte del titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio (o titolare AIC).