

Ulotka dla pacjenta: informacja dla pacjenta

Translarna 125 mg granulki do przygotowywania zawiesiny doustnej
Translarna 250 mg granulki do przygotowywania zawiesiny doustnej
Translarna 1000 mg granulki do przygotowywania zawiesiny doustnej
ataluren

▼ Niniejszy produkt leczniczy będzie dodatkowo monitorowany. Umożliwi to szybkie zidentyfikowanie nowych informacji o bezpieczeństwie. Użytkownik leku też może w tym pomóc, zgłaszając wszelkie działania niepożądane, które wystąpiły po zastosowaniu leku. Aby dowiedzieć się, jak zgłaszać działania niepożądane — patrz punkt 4.

Należy uważnie zapoznać się z treścią ulotki przed zażyciem leku, ponieważ zawiera ona informacje ważne dla pacjenta.

- Należy zachować tę ulotkę, aby w razie potrzeby móc ją ponownie przeczytać.
- W razie jakichkolwiek dalszych wątpliwości należy zwrócić się do lekarza lub farmaceuty.
- Lek ten przepisano ściśle określonej osobie. Nie należy go przekazywać innym. Lek może zaszkodzić innej osobie, nawet jeśli objawy jej choroby są takie same.
- Jeśli wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi lub farmaceucie. Patrz punkt 4.

Spis treści ulotki

1. Co to jest lek Translarna i w jakim celu się go stosuje
2. Informacje ważne przed przyjęciem leku Translarna
3. Jak przyjmować lek Translarna
4. Możliwe działania niepożądane
5. Jak przechowywać lek Translarna
6. Zawartość opakowania i inne informacje

1. Co to jest lek Translarna i w jakim celu się go stosuje

Produkt Translarna to lek zawierający substancję czynną ataluren.

Lek Translarna jest stosowany w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a — choroby warunkowanej przez określoną wadę genetyczną, zaburzającą prawidłową pracę mięśni.

Lek Translarna jest przeznaczony do stosowania u pacjentów w wieku powyżej 2 lat, którzy są w stanie chodzić.

Przed rozpoczęciem leczenia produktem Translarna u pacjenta zostaną przeprowadzone badania genetyczne, aby potwierdzić, że cierpi na chorobę, którą można leczyć tym produktem.

Jak działa lek Translarna?

Dystrofia mięśniowa Duchenne'a to choroba warunkowana zmianami genetycznymi, które skutkują nieprawidłową budową białka zwanego dystrofina, niezbędnego do prawidłowej pracy mięśni. Lek Translarna umożliwia wytwarzanie zdolnej do pracy dystrofiny i pomaga w utrzymaniu prawidłowej pracy mięśni.

2. Informacje ważne przed przyjęciem leku Translarna

Kiedy nie przyjmować leku Translarna

- Jeśli pacjent ma uczulenie na ataluren lub którykolwiek z pozostałych składników tego leku (wymienionych w punkcie 6).

- Jeśli pacjent przyjmuje niektóre antybiotyki, np. gentamycynę, tobramycynę lub streptomycynę, podawane dożylnie we wstrzyknięciach.

Ostrzeżenia i środki ostrożności

Lekarz musi przeprowadzić badanie krwi, aby potwierdzić, że pacjent cierpi na chorobę, którą można leczyć produktem Translarna. W razie problemów z nerkami lekarz powinien regularnie badać ich czynność.

Jeśli u pacjenta występują poważne problemy z nerkami (eGFR < 30 ml/min) lub jeśli pacjent jest dializowany, ponieważ jego nerki nie pracują (krańcowa niewydolność nerek), lekarz określi, czy leczenie produktem Translarna jest dla niego odpowiednie.

Lekarz będzie badać poziom lipidów (tłuszczów takich jak triglicerydy i cholesterol) we krwi i czynność nerek co 6–12 miesięcy. Lekarz będzie też co 6 miesięcy badać ciśnienie tętnicze krwi u pacjentów leczonych kortykosteroidami.

Dzieci i młodzież

Leku nie należy podawać dzieciom w wieku poniżej 2 lat lub dzieciom o masie ciała mniejszej niż 12 kg, ponieważ nie został on przebadany w tej grupie pacjentów.

Lek Translarna a inne leki

Należy powiedzieć lekarzowi o wszystkich lekach przyjmowanych przez pacjenta obecnie lub ostatnio, a także o lekach, które pacjent planuje przyjmować. W szczególności nie należy stosować leku Translarna z niektórymi antybiotykami, np. gentamycyną, tobramycyną lub streptomycyną, podawanymi we wstrzyknięciach. Może to mieć negatywny wpływ na czynność nerek.

Należy powiedzieć lekarzowi, jeśli pacjent przyjmuje którykolwiek z następujących leków:

Lek	Typowe zastosowanie
acyklowir	leczenie ospy wietrznej
adefowir	leczenie przewlekłego zapalenia wątroby typu B lub zakażenia wirusem HIV
atorwastatyna	obniżanie stężenia lipidów
benzylpenicylina	poważne zakażenia
bumetanid	leczenie zastoinowej niewydolności serca lub zapobieganie jej
kaptopryl	leczenie zastoinowej niewydolności serca lub zapobieganie jej
cyprofloksacyna	leczenie zakażeń
famotydyna	leczenie czynnej choroby wrzodowej dwunastnicy, refluksu żołądkowo-przełykowego
furosemid	leczenie zastoinowej niewydolności serca lub zapobieganie jej
metotreksat	reumatoidalne zapalenie stawów, łuszczyca
olmesartan	idiopatyczne nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych
oseltamiwir	zapobieganie grypie
fenobarbital	środek nasenny, zapobieganie napadom padaczkowym
pitawastatyna	obniżanie stężenia lipidów
prawastatyna	obniżanie stężenia lipidów
ryfampicyna	leczenie gruźlicy
rozuwastatyna	obniżanie stężenia lipidów
sitagliptyna	cukrzyca typu 2
walsartan	leczenie zastoinowej niewydolności serca lub zapobieganie jej

Nie przeprowadzono badań nad jednoczesnym stosowaniem niektórych z tych leków z produktem Translarna i lekarz może podjąć decyzję o ścisłym kontrolowaniu stanu pacjenta.

Ciąża i karmienie piersią

W ciąży i w okresie karmienia piersią lub gdy istnieje podejrzenie, że kobieta jest w ciąży, lub gdy planuje ciążę, przed zastosowaniem tego leku należy poradzić się lekarza. Jeśli zajdzie się w ciążę podczas stosowania leku Translarna, należy niezwłocznie poinformować lekarza, ponieważ stosowanie tego leku w ciąży i w okresie karmienia piersią nie jest zalecane.

Prowadzenie pojazdów i obsługiwanie maszyn

Jeśli lek wywołuje zawroty głowy, nie należy prowadzić pojazdów ani obsługiwać maszyn.

3. Jak przyjmować lek Translarna

Ten lek należy zawsze przyjmować zgodnie z zaleceniami lekarza lub farmaceuty. W razie wątpliwości należy zwrócić się do lekarza lub farmaceuty.

Lek Translarna jest dostępny w saszetkach o następującej mocy dawki: 125 mg, 250 mg i 1000 mg atalurenu na saszetkę. Lekarz poinformuje, jaką liczbę saszetek o jakiej mocy dawki należy każdorazowo przyjmować.

Dawka leku Translarna zależy od masy ciała. Zalecana dawka wynosi 10 mg/kg masy ciała rano, 10 mg/kg masy ciała w południe i 20 mg/kg masy ciała wieczorem (przy łącznej dawce dobowej wynoszącej 40 mg/kg masy ciała).

Lek przyjmuje się doustnie po wymieszaniu z płynem lub półpłynnym jedzeniem.

Saszetkę należy otworzyć dopiero w momencie przyjmowania leku i zużyć całą jej zawartość. Całą zawartość każdej saszetki należy wymieszać z co najmniej 30 ml płynu (woda, mleko, sok owocowy) lub z 3 łyżkami półpłynnego jedzenia (jogurt lub mus jabłkowy). Przed przyjęciem dawkę należy dokładnie wymieszać. Ilość płynu lub półpłynnego jedzenia można zwiększyć zgodnie z upodobaniami pacjenta.

Tabela dawkowania

Zakres masy ciała (kg)		Liczba saszetek								
		Rano			W południe			Wieczorem		
		Saszetki 125 mg	Saszetki 250 mg	Saszetki 1000 mg	Saszetki 125 mg	Saszetki 250 mg	Saszetki 1000 mg	Saszetki 125 mg	Saszetki 250 mg	Saszetki 1000 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

Lek Translarna należy przyjmować doustnie w 3 dawkach na dobę, rano, w południe i wieczorem. Należy zachować odstępy pomiędzy dawkami wynoszące 6 godzin pomiędzy dawką poranną i południową, 6 godzin pomiędzy dawką południową i wieczorną oraz 12 godzin pomiędzy dawką wieczorną i pierwszą poranną dawką kolejnego dnia. Na przykład można przyjąć lek Translarna o godzinie 7:00 rano ze śniadaniem, następnie o 13:00 z obiadem i około 19:00 z kolacją.

Podczas stosowania leku Translarna należy regularnie pić wodę i inne płyny, aby uniknąć odwodnienia.

Przyjęcie większej niż zalecana dawki leku Translarna

W przypadku przyjęcia większej niż zalecana dawki leku Translarna należy zasięgnąć porady lekarza. Mogą pojawić się takie objawy, jak łagodny ból głowy, nudności, wymioty i biegunka.

Pominięcie przyjęcia leku Translarna

W razie spóźnienia się z przyjęciem leku Translarna o mniej niż 3 godziny w przypadku dawki porannej lub południowej, lub o mniej niż 6 godzin w przypadku dawki wieczornej, należy przyjąć tę dawkę. Należy pamiętać, aby przyjąć następną dawkę o czasie.

W razie spóźnienia przekraczającego 3 godziny w przypadku dawki porannej lub południowej, lub 6 godzin w przypadku dawki wieczornej, należy pominąć tę dawkę. Należy jednak przyjąć następną dawkę o czasie.

Nie należy stosować dawki podwójnej w celu uzupełnienia pominiętej dawki. Należy koniecznie przyjmować właściwą dawkę. Lek Translarna może być mniej skuteczny w łagodzeniu objawów, jeśli przyjmuje się dawkę większą niż zalecana.

Przerwanie przyjmowania leku Translarna

Nie należy przerywać stosowania leku Translarna bez konsultacji z lekarzem.

W razie jakichkolwiek dalszych wątpliwości związanych ze stosowaniem tego leku, należy zwrócić się do lekarza.

4. Możliwe działania niepożądane

Jak każdy lek, lek ten może powodować działania niepożądane, chociaż nie u każdego one wystąpią. Podczas stosowania leku Translarna mogą wystąpić następujące działania niepożądane:

Bardzo częste działania niepożądane (mogą dotyczyć więcej niż 1 na 10 osób):

- wymioty.

Częste działania niepożądane (mogące wystąpić u maksymalnie 1 na 10 osób):

- zmniejszenie apetytu
- zwiększenie stężenia triglicerydów we krwi
- ból głowy
- nudności
- zmniejszenie masy ciała
- nadciśnienie tętnicze
- kaszel
- krwawienie z nosa
- zaparcia
- gazy
- dyskomfort w obrębie jamy brzusznej
- ból brzucha
- wysypka
- ból rąk lub nóg
- ból w klatce piersiowej
- mimowolne oddawanie moczu
- obecność krwi w moczu
- gorączka.

Częstość nieznana (nie może być określona na podstawie dostępnych danych):

- zwiększenie poziomu lipidów we krwi
- zwiększenie wyników testów czynności nerek.

Zgłaszanie działań niepożądanych

Jeśli wystąpią jakiegokolwiek objawy niepożądane, w tym wszelkie objawy niepożądane niewymienione w tej ulotce, należy powiedzieć o tym lekarzowi lub farmaceucie. Działania niepożądane można zgłaszać bezpośrednio do „krajowego systemu zgłaszania” wymienionego w załączniku V. Dzięki zgłaszaniu działań niepożądanych można będzie zgromadzić więcej informacji na temat bezpieczeństwa stosowania leku.

5. Jak przechowywać lek Translarna

Lek należy przechowywać w miejscu niewidocznym i niedostępnym dla dzieci.

Nie stosować tego leku po upływie terminu ważności zamieszczonego na pudełku tekturowym i saszetce po EXP. Termin ważności oznacza ostatni dzień podanego miesiąca.

Nie ma specjalnych zaleceń dotyczących przechowywania leku.

Każdą przygotowaną dawkę należy przyjąć natychmiast po przygotowaniu. Przygotowaną dawkę należy wyrzucić, jeśli nie zostanie przyjęta w ciągu 24 godzin od przygotowania, gdy jest przechowywana w lodówce (2–8°C), lub w ciągu 3 godzin od przygotowania, gdy jest przechowywana w temperaturze pokojowej (15–30°C).

Leków nie należy wyrzucać do kanalizacji ani domowych pojemników na odpadki. Należy zapytać farmaceutę, jak usunąć leki, których się już nie używa. Takie postępowanie pomoże chronić środowisko.

6. Zawartość opakowania i inne informacje

Co zawiera lek Translarna

Lek Translarna jest dostępny w 3 mocach dawki, zawierających 125 mg, 250 mg lub 1000 mg substancji czynnej, tj. atalurenu. Inne składniki to: polidekstroza (E1200), makrogol, poloksamer, mannitol (E421), krospowidon, hydroksyetyloceluloza, sztuczny aromat wanilii (maltodekstryna, sztuczne aromaty i glikol propylenowy), krzemionka koloidalna bezwodna (E551), stearynian magnezu.

Jak wygląda lek Translarna i co zawiera opakowanie

Lek Translarna to białe lub prawie białe granulki w saszetkach przeznaczone do przygotowywania zawiesiny doustnej.

Lek Translarna jest dostępny w opakowaniach po 30 saszetek.

Podmiot odpowiedzialny

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

Wytwórca

Almac Pharma Services
22 Seagoe Industrial Estate
Craigavon BT63 5QD
Wielka Brytania

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

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

W celu uzyskania bardziej szczegółowych informacji dotyczących tego leku należy zwrócić się do miejscowego przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego:

**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. (Irlandia)
+353 (0)1 447 5165
medinfo@ptcbio.com

FR

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

Data ostatniej aktualizacji ulotki:

Ten lek został warunkowo dopuszczony do obrotu. Oznacza to, że oczekuje się na więcej danych dotyczących leku.

Europejska Agencja Leków dokona co najmniej raz w roku przeglądu nowych informacji o leku i w razie konieczności treść tej ulotki zostanie zaktualizowana.

Szczegółowe informacje o tym leku znajdują się na stronie internetowej Europejskiej Agencji Leków <http://www.ema.europa.eu>. Znajdują się tam również linki do stron internetowych o rzadkich chorobach i sposobach leczenia.