

FROMCeO LOMBARDIA Federazione
Regionale degli Ordini dei Medici Chirurghi
e degli Odontoiatri della Lombardia
Via Massenzio Masia 30
22100 COMO (CO)
Email: presidenza.co@pec.omceo.it

Segretario regionale AIOP Associazione
Italiana
Via Timavo, 24
20124 MILANO (Mi)
Email: aioplombardia@cert.aconet.it

SEGRETARIO REGIONALE ANISAP
via Martiri delle Foibe 1
20900 MONZA ()
Email: amministrazione@anisap-
lombardia.com

SEGRETARIO REGIONALE ARIS
Via Mantova, 113
26100 CREMONA (CR)
Email: arislombardia@arisassociazione.it

FEDERFARMA LOMBARDIA
Viale Piceno, 18
20129 MILANO (MILANO)
Email: lombardia@pec.federfarma.it

ASSOFARM LOMBARDIA C/O
CONSERVIZI MILANO
Palazzo Q7 - Strada 4
20129 ROZZANO (Milano)
Email: segreteria@confservizilombardia.it

FARMACIE UNITE
Email: farmacieunite@pec.farmacieunite.it

Federazione Ordini dei Farmacisti della
Lombardia
Viale Piceno, 18
20129 MILANO (MI)
Email: ordinefarmacistimilomb@pec.fofi.it

AI DIRETTORI GENERALI ASST
AI DIRETTORI GENERALI ATS
AI DIRETTORI GENERALI DEGLI IRCCS
DI DIRITTO PUBBLICO
AI LEGALI RAPPRESENTANTI DEGLI
IRCCS DI DIRITTO PRIVATO

AI LEGALI RAPPRESENTANTI DELLE
STRUTTURE PRIVATE ACCREDITATE
AI SERVIZI FARMACEUTICI ATS, ASST,
IRCCS E STRUTTURE PRIVATE
ACCREDITATE

CENTRO COORDINAMENTO RETE
MALATTIE RARE - ISTITUTO MARIO
NEGRI

Via Camozzi, 3
24020 RANICA (BG)
Email: raredis@marionegri.it

e, p.c.

AIFA DIREZIONE GENERALE
Via del Tritone, 181
187 ROMA (RM)
Email: protocollo@pec.aifa.gov.it

Oggetto: AIFA e informazione in merito al medicinale Translarna (ataluren)

Sul sito di AIFA in data 14 maggio è stata pubblicata “Informazione in merito al medicinale Translarna (ataluren)” che si riporta di seguito.

<https://www.aifa.gov.it/-/informazione-in-merito-al-medicinale-translarna-ataluren->

Il medicinale Translarna (ataluren), indicato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne conseguente a una mutazione nonsense nel gene della distrofina (nonsense mutation Duchenne Muscular Dystrophy, nmDMD) nei pazienti deambulanti di età pari ad almeno 5 anni, è stato reso disponibile con autorizzazione all'immissione in commercio (AIC) subordinata a condizioni (CMA) la prima volta il 19 maggio 2014 e successivamente con i relativi rinnovi.

In data 15 settembre 2023 il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) di EMA ha raccomandato di non rinnovare l'AIC condizionata di Translarna (ataluren), sulla base di una rivalutazione completa dei benefici e dei rischi che non ha confermato l'efficacia del medicinale. Tale parere, come comunicato da EMA in data 25 gennaio 2024, è stato confermato da parte del CHMP anche dopo aver condotto il riesame, analizzando i dati di uno studio post-autorizzativo.

Come previsto dalla normativa, tale parere espresso dal CHMP è stato successivamente trasmesso alla Commissione Europea, tuttavia, alla data del presente comunicato, l'emanazione della decisione finale non è ancora avvenuta.

Pertanto, il Translarna deve considerarsi a tutti gli effetti autorizzato e prescrivibile ai pazienti, così come deve considerarsi garantita la continuità terapeutica nei pazienti già in trattamento.

Distinti Saluti

Il Dirigente
IDA FORTINO

Referente per l'istruttoria della pratica: IDA FORTINO Tel. 02/6765.8042