COMUNICATO STAMPA

**Abbiamo tempo!**

*La Commissione Europea ha rinviato il parere negativo del Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell’EMA sul farmaco Translarna™ (ataluren).*

*La soddisfazione delle associazioni e delle famiglie.*

*21 maggio 2024* – **La Commissione Europea** **ha rinviato il parere negativo** del Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell’Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) **su Translarna™ (ataluren)**, **l’unico farmaco per la** **distrofia muscolare di Duchenne** con mutazione non-senso.

L’azienda PTC Therapeutics ha annunciato oggi la notizia, aggiungendo che la Commissione Europea ha chiesto al CHMP di includere, nel processo di nuova valutazione che seguirà, anche tutti i dati raccolti nei Registri Pazienti e i dati di vita reale.

Inoltre, l'EMA ha informato PTC che è stata presa la decisione di considerare non valide la riunione del gruppo consultivo scientifico per Translarna del 5 settembre 2023 e tutte le fasi procedurali che ne sono seguite.

«È una grande vittoria per la comunità Duchenne e Becker italiana ed internazionale, che potrà continuare ad utilizzare il farmaco» dichiara **Filippo Buccella**, fondatore di **Parent Project aps**, l’associazione di pazienti con distrofia muscolare di Duchenne e Becker, grave patologia genetica rara e degenerativa.

«Questa è la notizia che aspettavamo da molto tempo. È frutto di un lavoro condiviso tra associazioni, clinici e famiglie. Siamo molto felici di questo esito perché dà valore alla voce dei pazienti e delle famiglie che ogni giorno convivono con questa patologia. Tutta la nostra comunità è ben consapevole dell’importanza di questo risultato che pone in evidenza quanto sia importante lavorare sulla persona e sulla sua qualità della vita. Grazie a Translarna™ abbiamo uno strumento in più a disposizione delle nostre famiglie per fare questo» dichiara **Marco Rasconi**, presidente nazionale **UILDM-Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare**.

«La sinergia fra Parent Project, UILDM e UNIAMO ha prodotto un ottimo risultato. La Federazione lavora da tempo per far integrare nei dossier PROMs e PREMs e real world data, che possono dare indicazioni preziose sull'efficacia dei trattamenti, andando oltre il risultato prettamente clinico. Pur non essendo procedure ancora strutturate adeguatamente, la richiesta della Commissione Europea di far rivalutare Ataluren con un occhio di riguardo ai dati riferiti dai pazienti e registrati in STRIDE è un passo importante per tutto il sistema. Anche i dossier dovranno essere meglio finalizzati a questo obiettivo, con raccolte mirate e strutturate in maniera scientifica. È importante lavorare in maniera sinergica per ottenere risultati» dichiara **Annalisa Scopinaro**, presidente di **UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare**.

Cosa è successo

Il 15 settembre 2023, dopo 9 anni di utilizzo nell’ambito dell’autorizzazione condizionata, il Comitato scientifico per i Medicinali per Uso Umano dell’EMA aveva dato [**parere negativo** alla richiesta di conversione dell’autorizzazione condizionata di Translarna in autorizzazione piena e al rinnovo dell’autorizzazione condizionata esistente.](https://www.parentproject.it/scienza/il-chmp-emette-un-parere-su-translarna-per-la-conversione-in-autorizzazione-completa/)

«Da quel giorno ci siamo mobilitati, affinché le voci delle nostre famiglie e dei ragazzi venissero ascoltate. Non potevamo rimanere in panchina ad osservare, dovevamo cercare di riunire tutta Europa in un fronte comune»continua **Filippo Buccella.**

Secondo le famiglie, dopo anni di utilizzo efficace, ataluren è un farmaco **sicuro** e **facile** da usare con i bambini. Il rallentamento della progressione della patologia è comunemente osservato e spesso supera le aspettative.

Le famiglie e i caregiver dei ragazzi che hanno partecipato allo studio hanno prove sufficienti che ataluren funzioni:

1. Molte famiglie hanno notato un rallentamento del declino.
2. Sta mostrando effetti in tutta la gamma di pazienti.
3. Sta mostrando effetti anche nei pazienti più gravemente colpiti.

I resoconti delle famiglie su ataluren sono in linea con i dati pubblicati dal registro STRIDE, che offre un'opportunità unica di osservare direttamente i benefici a lungo termine di ataluren in termini di ritardo nella perdita della deambulazione.

La campagna

Per questo è nata [Buy Some Time](https://buysometime.eu/), una campagna che riunisce le associazioni, le famiglie ed i pazienti di tutta Europa sotto un unico claim, insieme ad una petizione su [Change.org che ha raccolto più di 15.000 firme.](https://www.change.org/p/buy-some-time)

Il 25 gennaio 2024, nonostante tutto, [**il CHMP ha emesso il secondo parere negativo per il rinnovo dell’autorizzazione all’immissione in commercio condizionata di Translarna™ (ataluren) a seguito della procedura di riesame.**](https://www.parentproject.it/scienza/negativo-il-parere-di-ema-su-translarna/)

La scelta, dunque, è stata quella di **fare appello alla Commissione Europea**. Così **Parent Project aps**, **UILDM** – Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare e **UNIAMO** – Federazione Italiana Malattie Rare, hanno scritto **una lettera alla Commissione Europea e all’EMA** per chiedere di rivedere la decisione relativa a Translarna™ (ataluren).

Anche i responsabili dei Network clinici dell'assistenza primaria per la distrofia muscolare di Duchenne (DMD) in Italia, tramite **l’Associazione Italiana Miologia (AIM)**, e molti altri paesi, si sono mobilitati per esprimere il loro sostegno al mantenimento di Translarna™ (ataluren) come opzione medica nell'Unione Europea e hanno chiesto di sospendere la decisione sul mancato rinnovo dell'autorizzazione condizionata.

Commenta il Prof. **Giacomo Comi** (Policlinico di Milano), Presidente AIM: «La decisione della Commissione Europea, ancorché inusuale nel contesto dato, è saggia. Come Associazione Italiana di Miologia, unitamente alla rete dei Clinici Esperti Italiani ed Internazionali, avevamo richiesto una riconsiderazione molto accurata dell'evidenza scientifica disponibile. Avere ricevuto ascolto ed attenzione ci sembra un buon segnale per i pazienti affetti e per le loro famiglie.»

Aggiunge il Prof. **Eugenio Mercuri** (Policlinico Gemelli) «Il rinvio evidenzia la necessità di una lettura diversa dei dati con maggiore attenzione al registro che mostra dati longitudinali, particolarmente curato in Italia. Più in generale, questo rinvio offre elementi di riflessione sull'approccio da tenere in malattie rare e progressive.»

La voce della comunità Duchenne è stata udita anche dal **Parlamento Europeo**, dove si sono chieste delle interrogazioni parlamentari a riguardo.

«Translarna non è la cura, lo sappiamo bene» dichiaravano **le associazioni firmatarie della Lettera**, «ma ci permette di guadagnare tempo. E il tempo è fondamentale per i pazienti con nmDMD, poiché la malattia progredisce in assenza di trattamenti specifici. Il tempo guadagnato potrebbe consentire l’accesso a nuove terapie in arrivo. Con lo stop a Translarna alcuni bambini e adulti perderanno indubbiamente alcune capacità entro un anno o due. Mantenere la capacità di camminare non è l’unico obiettivo, i nostri ragazzi vogliono mantenere la libertà di svolgere le funzioni quotidiane, come usare un computer portatile, guidare una sedia a rotelle, nutrirsi da soli o andare in bagno.»

*La distrofia muscolare di Duchenne (DMD) è una rara patologia genetica che colpisce 1 su 5000 neonati maschi. È la forma più grave delle distrofie muscolari, si manifesta in età pediatrica e causa una progressiva degenerazione dei muscoli. La distrofia muscolare di Becker (BMD) è una variante più lieve, il cui decorso varia però da paziente a paziente. Al momento, non esiste una cura.*

***UNIAMO*** *Federazione Italiana Malattie Rare è l’ente di rappresentanza della comunità delle persone con malattia rara. Dal 1999 opera con la missione di migliorare la qualità della vita, tutelare e promuovere i diritti delle persone con malattia rara, delle loro famiglie e caregiver. La Federazione sviluppa un dialogo costante con gli esponenti delle Istituzioni, ricercatori, player privati, rappresentando le istanze delle persone con malattia rara e le possibili soluzioni. La forza di Uniamo è data dal collezionare le voci delle persone che si trovano ad impattare con una malattia rara o ultrarara, oltre che a quelli che sono ancora in cerca di una diagnosi, e di tutte le Associazioni per trasformarle in un’unica voce, capace di essere ascoltata in tutti i tavoli decisionali: rappresentare una comunità di oltre due milioni di persone ha un peso che si fa notare nelle sedi istituzionali.*

***UILDM*** *nasce nel 1961 con l’obiettivo di promuovere l'inclusione sociale delle persone con disabilità, attraverso l'abbattimento di ogni tipo di barriera, e sostenere la ricerca scientifica e l'informazione sulle distrofie e le altre malattie neuromuscolari. Ha una presenza capillare sul territorio grazie alle 65 Sezioni locali, i 3.000 volontari e i 10.000 soci, che sono punto di riferimento per circa 30.000 persone. UILDM svolge un importante lavoro in ambito sociale e di assistenza medico-riabilitativa ad ampio raggio, gestendo anche centri ambulatoriali di riabilitazione, prevenzione e ricerca, in stretta collaborazione con le strutture universitarie e socio-sanitarie.*

***Parent Project aps*** *è un’associazione di pazienti e genitori con figli affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker. Dal 1996 lavora per migliorare il trattamento, la qualità della vita e le prospettive a lungo termine dei bambini e ragazzi affetti dalla patologia attraverso la ricerca, l’educazione, la formazione e la sensibilizzazione. Gli obiettivi di fondo che hanno fatto crescere l’associazione fino ad oggi sono quelli di affiancare e sostenere le famiglie attraverso una rete di Centri Ascolto, promuovere e finanziare la ricerca scientifica e sviluppare un network collaborativo in grado di condividere e diffondere informazioni chiave.*

**Per informazioni:**

Ufficio stampa UNIAMO
Maria Elisa Coccia e Lorenzo Pellas
comunicazione@uniamo.org
[www.uniamo.org](http://www.uniamo.org)
06 4404773

Ufficio stampa UILDM
Alessandra Piva e Chiara Santato
uildmcomunicazione@uildm.it
www.uildm.org
049/8021001 int. 2

Ufficio stampa Parent Project aps

Elena Poletti – tel. 331/6173371 – e.poletti@parentproject.it

Sede nazionale tel. 06/66182811

[www.parentproject.it](http://www.parentproject.it)