

## Gebrauchsinformation: Information für Patienten

**Translarna 125 mg Granulat zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen**  
**Translarna 250 mg Granulat zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen**  
**Translarna 1.000 mg Granulat zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen**  
ataluren

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Sie können dabei helfen, indem Sie jede auftretende Nebenwirkung melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe Ende Abschnitt 4.

**Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie mit der Einnahme dieses Arzneimittels beginnen, denn sie enthält wichtige Informationen.**

- Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen.
- Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.
- Dieses Arzneimittel wurde Ihnen persönlich verschrieben. Geben Sie es nicht an Dritte weiter. Es kann anderen Menschen schaden, auch wenn diese die gleichen Beschwerden haben wie Sie.
- Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.

### Was in dieser Packungsbeilage steht

1. Was ist Translarna und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie vor der Einnahme von Translarna beachten?
3. Wie ist Translarna einzunehmen?
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
5. Wie ist Translarna aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

#### 1. Was ist Translarna und wofür wird es angewendet?

Translarna ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Ataluren enthält.

Translarna wird zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie angewendet, die Folge eines bestimmten Gendefekts ist, der die normale Muskelfunktion beeinträchtigt.

Translarna wird zur Behandlung von gehfähigen Patienten ab 2 Jahren angewendet.

Sie oder Ihr Kind wurden/wurde von Ihrem Arzt vor dem Beginn der Behandlung mit Translarna untersucht, um zu bestätigen, dass Ihre/seine Krankheit für die Behandlung mit diesem Arzneimittel geeignet ist.

#### Wie wirkt Translarna?

Die Ursache der Duchenne-Muskeldystrophie sind Genveränderungen, die zu einer Anomalie in einem Muskelprotein mit der Bezeichnung Dystrophin führen. Dystrophin ist nötig, damit die Muskeln richtig funktionieren. Translarna ermöglicht die Bildung von funktionsfähigem Dystrophin und trägt zur Erhaltung der Muskelfunktion bei.

## 2. Was sollten Sie vor der Einnahme von Translarna beachten?

### Translarna darf nicht eingenommen werden,

- wenn Sie allergisch gegen Ataluren oder einen der in Abschnitt 6. genannten sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels sind;
- wenn Sie mit bestimmten Antibiotika wie Gentamicin, Tobramycin oder Streptomycin mittels Injektion in eine Vene behandelt werden.

### Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen

Ihr Arzt muss eine Blutuntersuchung gemacht haben, die bestätigt, dass Ihre Krankheit für die Behandlung mit Translarna geeignet ist. Wenn Sie Nierenprobleme haben, sollte Ihr Arzt regelmäßig Ihre Nierenfunktion untersuchen.

Wenn Sie schwere Nierenprobleme haben (eGFR < 30 ml/min) oder wenn Sie dialysepflichtig sind, da Ihre Nieren nicht arbeiten (terminale Niereninsuffizienz), wird Ihr Arzt entscheiden, ob eine Behandlung mit Translarna für Sie infrage kommt.

Ihr Arzt misst alle 6 bis 12 Monate die Lipidspiegel (Fette wie Cholesterin und Triglyzeride) in Ihrem Blut und Ihre Nierenfunktion. Wenn Sie ein Kortikosteroid-Arzneimittel einnehmen, misst Ihr Arzt alle 6 Monate Ihren Blutdruck.

### Kinder und Jugendliche

Wenden Sie dieses Arzneimittel nicht bei Kindern unter 2 Jahren oder solchen, die weniger als 12 kg wiegen, an, da es bei dieser Patientengruppe nicht getestet wurde.

### Einnahme von Translarna zusammen mit anderen Arzneimitteln

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn Sie andere Arzneimittel einnehmen, kürzlich andere Arzneimittel eingenommen haben oder beabsichtigen, andere Arzneimittel einzunehmen. Translarna darf insbesondere nicht zusammen mit den Antibiotika Gentamicin, Tobramycin oder Streptomycin (als Injektion angewendet) eingenommen werden. Diese Arzneimittel können Ihre Nierenfunktion beeinträchtigen.

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn Sie eines der folgenden Arzneimittel anwenden:

Arzneimittel	Für gewöhnlich verordnet zur
Aciclovir	Behandlung von Windpocken [Varicella]
Adefovir	Behandlung von chronischer Hepatitis B und/oder HIV
Atorvastatin	Lipidsenkung
Penicillin G	Behandlung von schweren Infektionen
Bumetanid	Behandlung oder Vorbeugung von Herzinsuffizienz
Captopril	Behandlung oder Vorbeugung von Herzinsuffizienz
Ciprofloxacin	Behandlung von Infektionen
Famotidin	Behandlung von aktivem Zwölffingerdarmgeschwür, Sodbrennen (gastroösophageale Refluxkrankheit)
Furosemid	Behandlung oder Vorbeugung von Herzinsuffizienz
Methotrexat	Behandlung von Rheumatoider Arthritis, Schuppenflechte (Psoriasis)
Olmesartan	Behandlung von essentiellen Bluthochdruck bei Erwachsenen
Oseltamivir	Grippe-Vorbeugung
Phenobarbital	Schlafeinleitung, Vorbeugung von Krampfanfällen
Pitavastatin	Lipidsenkung
Pravastatin	Lipidsenkung
Rifampin	Tuberkulose-Behandlung
Rosuvastatin	Lipidsenkung
Sitagliptin	Behandlung von Typ-2-Diabetes
Valsartan	Behandlung oder Vorbeugung von Herzinsuffizienz

Die Anwendung einiger dieser Arzneimittel zusammen mit Translarna wurde nicht untersucht, und Ihr Arzt wird Sie möglicherweise engmaschig überwachen.

### **Schwangerschaft und Stillzeit**

Wenn Sie schwanger sind oder stillen, oder wenn Sie vermuten, schwanger zu sein oder beabsichtigen, schwanger zu werden, fragen Sie vor der Einnahme dieses Arzneimittels Ihren Arzt um Rat. Wenn Sie während der Einnahme von Translarna schwanger werden, sprechen Sie umgehend mit Ihrem Arzt, da eine Einnahme von Translarna während einer Schwangerschaft oder Stillzeit nicht empfohlen wird.

### **Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen**

Wenn Ihnen schwindelig ist, dürfen Sie kein Fahrzeug führen, nicht Fahrrad fahren oder keine Maschinen bedienen.

## **3. Wie ist Translarna einzunehmen?**

Wenden Sie dieses Arzneimittel immer genau nach Absprache mit Ihrem Arzt oder Apotheker an. Fragen Sie bei Ihrem Arzt oder Apotheker nach, wenn Sie sich nicht sicher sind.

Translarna ist in den folgenden Stärken erhältlich: 125 mg, 250 mg und 1.000 mg Ataluren pro Beutel. Ihr Arzt oder Apotheker teilt Ihnen die genaue Anzahl der Beutel mit und welche Stärke Sie zu welchem Zeitpunkt anwenden sollen.

Ihre Translarna-Dosis hängt von Ihrem Körpergewicht ab. Die empfohlene Dosis beträgt 10 mg/kg Körpergewicht morgens, 10 mg/kg Körpergewicht mittags und 20 mg/kg Körpergewicht abends (insgesamt eine tägliche Gesamtdosis von 40 mg/kg Körpergewicht).

Das Arzneimittel ist nach Mischen mit Flüssigkeit oder halbfester Nahrung einzunehmen. Öffnen Sie den Beutel erst, wenn Sie das Arzneimittel einnehmen und verwenden Sie den gesamten Inhalt des Beutels. Der gesamte Inhalt jedes Beutels sollte mit mindestens 30 ml Flüssigkeit (Wasser, Milch, Fruchtsaft) oder mit 3 Esslöffeln halbfester Nahrung (Joghurt oder Apfelmus) gemischt werden. Mischen Sie die zubereitete Dosis vor der Einnahme gut. Die Menge der Flüssigkeit oder halbfesten Nahrung kann je nach Ihren Vorlieben erhöht werden.

## Dosierungstabelle

Gewichtsbereich (kg)		Anzahl der Beutel								
		Morgens			Mittags			Abends		
		Beutel à 125 mg	Beutel à 250 mg	Beutel à 1.000 mg	Beutel à 125 mg	Beutel à 250 mg	Beutel à 1.000 mg	Beutel à 125 mg	Beutel à 250 mg	Beutel à 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

Nehmen Sie Translarna 3-mal täglich ein: morgens, mittags und abends. Es sollten 6 Stunden zwischen der morgendlichen und mittäglichen Dosis, 6 Stunden zwischen der mittäglichen und der abendlichen Dosis und 12 Stunden zwischen der abendlichen und der ersten Dosis des nächsten Tags liegen. Sie können Translarna beispielsweise morgens um 7 Uhr zum Frühstück, mittags um 13 Uhr zum Mittagessen und noch einmal abends gegen 19 Uhr zum Abendessen einnehmen.

Trinken Sie regelmäßig Wasser oder andere Flüssigkeiten, um eine Austrocknung während der Einnahme von Translarna zu vermeiden.

### **Wenn Sie eine größere Menge von Translarna eingenommen haben, als Sie sollten**

Sprechen Sie mit Ihrem Arzt, falls Sie eine größere Menge als die empfohlene Dosis von Translarna eingenommen haben.

Es können leichte Kopfschmerzen, Übelkeit, Erbrechen oder Durchfall auftreten.

### **Wenn Sie die Einnahme von Translarna vergessen haben**

Wenn Sie sich bei der Einnahme von Translarna um weniger als 3 Stunden bei der morgendlichen oder mittäglichen Dosis oder weniger als 6 Stunden bei der abendlichen Dosis verspäten, nehmen Sie die Dosis ein. Denken Sie daran, die nächste Dosis rechtzeitig einzunehmen.

Wenn Sie sich bei der Einnahme der morgendlichen oder mittäglichen Dosis um mehr als 3 Stunden bzw. der abendlichen Dosis um mehr als 6 Stunden verspäten, nehmen Sie die Dosis nicht ein.

Nehmen Sie aber die nächsten Dosen termingerecht ein.

Nehmen Sie nicht die doppelte Menge ein, wenn Sie die vorherige Einnahme vergessen haben. Es ist wichtig, die richtige Dosis einzunehmen. Wenn Sie mehr als die empfohlene Dosis einnehmen, ist Translarna möglicherweise bei der Behandlung Ihrer Beschwerden nicht so wirksam.

### **Wenn Sie die Einnahme von Translarna abbrechen**

Brechen Sie die Einnahme von Translarna nicht ohne Rücksprache mit Ihrem Arzt ab.

Wenn Sie weitere Fragen zur Einnahme dieses Arzneimittels haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt.

### **4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?**

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen. Nach der Einnahme von Translarna können eine oder mehrere der folgenden Nebenwirkungen auftreten:

Sehr häufige Nebenwirkungen (können mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen):

- Erbrechen

Häufige Nebenwirkungen (können bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen):

- Verminderter Appetit
- Hohe Bluttriglyceridspiegel
- Kopfschmerzen
- Übelkeit
- Gewichtsverlust
- Bluthochdruck
- Husten
- Nasenbluten
- Verstopfung
- Blähungen
- Magenbeschwerden
- Magenschmerzen
- Hautausschlag
- Schmerzen in Armen oder Beinen
- Brustschmerzen
- Unfreiwillige Blasenentleerung
- Blut im Urin
- Fieber

Häufigkeit nicht bekannt (Häufigkeit auf Grundlage der verfügbaren Daten nicht abschätzbar):

- Anstieg der Blutlipidspiegel
- Anstieg der Nierenfunktionstestwerte

### **Meldung von Nebenwirkungen**

Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt über das in Anhang V aufgeführte nationale Meldesystem anzeigen. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

### **5. Wie ist Translarna aufzubewahren?**

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf dem Umkarton und Beutel angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden. Das Verfalldatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

Für dieses Arzneimittel sind keine besonderen Lagerungsbedingungen erforderlich.

Nehmen Sie die zubereitete Dosis jeweils sofort nach der Zubereitung ein. Entsorgen Sie die zubereitete Dosis, wenn Sie sie bei gekühlter (2 - 8 °C) Aufbewahrung nicht innerhalb von 24 Stunden nach Zubereitung und bei Aufbewahrung bei Zimmertemperatur (15 - 30 °C) nicht innerhalb von 3 Stunden eingenommen haben.

Entsorgen Sie Arzneimittel nicht im Abwasser oder Haushaltsabfall. Fragen Sie Ihren Apotheker, wie das Arzneimittel zu entsorgen ist, wenn Sie es nicht mehr verwenden. Sie tragen damit zum Schutz der Umwelt bei.

## **6. Inhalt der Packung und weitere Informationen**

### **Was Translarna enthält**

Translarna ist in 3 Stärken erhältlich, die jeweils 125 mg, 250 mg bzw. 1.000 mg des Wirkstoffs Ataluren enthalten. Die sonstigen Bestandteile sind: Polydextrose (E1200), Macrogol 3350, Poloxamer 407, Mannitol (Ph. Eur.) (E421), Crospovidon, Hyetellose, Vanille-Aroma, Pulver (enthält Maltodextrin, künstliche Aromastoffe und Propylenglycol), hochdisperses Siliciumdioxid (E551), Magnesiumstearat (Ph.Eur.).

### **Wie Translarna aussieht und Inhalt der Packung**

Translarna ist ein weißes bis cremefarbenes Granulat zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen in Beuteln.

Translarna ist in Packungen mit 30 Beuteln erhältlich.

### **Pharmazeutischer Unternehmer**

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

### **Hersteller**

Almac Pharma Services  
22 Seagoe Industrial Estate  
Craigavon BT63 5QD  
Vereinigtes Königreich

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

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

Falls Sie weitere Informationen über das Arzneimittel wünschen, setzen Sie sich bitte mit dem örtlichen Vertreter des pharmazeutischen Unternehmers in Verbindung.

**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.  
(Irlande/Irland/Ierland)  
+353 (0)1 447 5165  
medinfo@ptcbio.com

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

**Diese Packungsbeilage wurde zuletzt überarbeitet im**

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und, falls erforderlich, wird die Packungsbeilage aktualisiert werden.

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur <http://www.ema.europa.eu/> verfügbar. Sie finden dort auch Links zu anderen Internetseiten über seltene Erkrankungen und Behandlungen.