

## **Bijsluiter: informatie voor de patiënt**

### **Translarna 125 mg granulaat voor orale suspensie Translarna 250 mg granulaat voor orale suspensie Translarna 1.000 mg granulaat voor orale suspensie ataluren**

▼ Dit geneesmiddel is onderworpen aan aanvullende monitoring. Daardoor kan snel nieuwe veiligheidsinformatie worden vastgesteld. U kunt hieraan bijdragen door melding te maken van alle bijwerkingen die u eventueel zou ervaren. Aan het einde van rubriek 4 leest u hoe u dat kunt doen.

#### **Lees goed de hele bijsluiter voordat u dit geneesmiddel gaat innemen want er staat belangrijke informatie in voor u.**

- Bewaar deze bijsluiter. Misschien heeft u hem later weer nodig.
- Heeft u nog vragen? Neem dan contact op met uw arts of apotheker.
- Geef dit geneesmiddel niet door aan anderen, want het is alleen aan u voorgeschreven. Het kan schadelijk zijn voor anderen, ook al hebben zij dezelfde klachten als u.
- Krijgt u last van een van de bijwerkingen die in rubriek 4 staan? Of krijgt u een bijwerking die niet in deze bijsluiter staat? Neem dan contact op met uw arts of apotheker.

#### **Inhoud van deze bijsluiter**

1. Wat is Translarna en waarvoor wordt dit middel ingenomen?
2. Wanneer mag u dit middel niet innemen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?
3. Hoe neemt u dit middel in?
4. Mogelijke bijwerkingen
5. Hoe bewaart u dit middel?
6. Inhoud van de verpakking en overige informatie

#### **1. Wat is Translarna en waarvoor wordt dit middel ingenomen?**

Translarna is een geneesmiddel dat de werkzame stof ataluren bevat.

Translarna wordt gebruikt bij de behandeling van spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een genetisch defect dat de normale spierfunctie aantast.

Translarna wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten van twee jaar en ouder die in staat zijn om te lopen.

U of uw kind bent/is vóór aanvang van de behandeling met Translarna door uw arts onderzocht om te bevestigen dat de ziekte in aanmerking komt voor behandeling met dit geneesmiddel.

#### **Hoe werkt Translarna?**

Spierdystrofie van Duchenne wordt veroorzaakt door genetische veranderingen die resulteren in een afwijking in een spiereiwit genaamd dystrofine dat nodig is om de spieren goed te laten functioneren. Translarna maakt de productie van werkende dystrofine mogelijk en helpt spieren goed te functioneren.

## 2. Wanneer mag u dit middel niet innemen of moet u er extra voorzichtig mee zijn?

### Wanneer mag u dit middel niet gebruiken?

- U bent allergisch voor één van de stoffen in dit geneesmiddel. Deze stoffen kunt u vinden in rubriek 6.
- U wordt behandeld met bepaalde antibiotica, zoals gentamicine, tobramycine of streptomycine toegediend via injectie in een ader.

### Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?

Uw arts heeft een bloedtest uitgevoerd om te bevestigen dat uw ziekte in aanmerking komt voor behandeling met Translarna. Als u nierproblemen heeft, dient uw arts uw nierfunctie regelmatig te controleren.

Als u ernstige nierproblemen heeft (eGFR <30 ml/min) of als u dialyse ondergaat omdat uw nieren niet werken (terminaal nierfalen), zal uw arts vaststellen of een behandeling met Translarna geschikt is voor u.

Uw arts zal de concentratie lipiden (vetten zoals cholesterol en triglyceriden) in uw bloed en uw nierfunctie iedere 6 tot 12 maanden controleren. Als u corticosteroïden gebruikt, zal uw arts uw bloeddruk iedere 6 maanden controleren.

### Kinderen en jongeren tot 18 jaar

Geef dit geneesmiddel niet aan kinderen jonger dan 2 jaar of kinderen die minder dan 12 kg wegen aangezien het niet is getest bij deze groep patiënten.

### Gebruikt u nog andere geneesmiddelen?

Gebruikt u naast Translarna nog andere geneesmiddelen, heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Neem dan contact op met uw arts. Neem Translarna vooral niet in combinatie met de antibiotica gentamicine, tobramycine of streptomycine toegediend via injectie. Deze kunnen uw nierfunctie aantasten.

Neem contact op met uw arts als u een van de volgende geneesmiddelen gebruikt:

Geneesmiddel	Meestal voorgeschreven voor
aciclovir	behandeling van waterpokken [varicella]
adefovir	behandeling van chronische hepatitis B en/of hiv
atorvastatine	lipideverlagend
benzylpenicilline	ernstige infecties
bumetanide	behandeling of preventie van congestief hartfalen
captopril	behandeling of preventie van congestief hartfalen
ciprofloxacine	behandeling van infecties
famotidine	behandeling van actieve zweer aan de twaalfvingerige darm, gastro-oesofageale refluxaandoening
furosemide	behandeling of preventie van congestief hartfalen
methotrexaat	reumatoïde artritis, psoriasis
olmesartan	essentiële hypertensie bij volwassenen
oseltamivir	preventie van influenza
fenobarbital	slaapverwekkend, preventie van toevallen
pitavastatine	lipideverlagend
pravastatine	lipideverlagend
rifampicine	behandeling van tuberculose
rosuvastatine	lipideverlagend
sitagliptine	type 2-diabetes
valsartan	behandeling of preventie van congestief hartfalen

Sommige van deze geneesmiddelen zijn niet getest in combinatie met Translarna en uw arts zal mogelijk besluiten u zorgvuldig te controleren.

### **Zwangerschap en borstvoeding**

Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts voordat u dit geneesmiddel gebruikt. Als u zwanger raakt terwijl u Translarna gebruikt, dient u onmiddellijk contact op te nemen met uw arts aangezien wordt geadviseerd Translarna niet te gebruiken wanneer u zwanger bent of borstvoeding geeft.

### **Rijvaardigheid en het gebruik van machines**

Als u zich duizelig voelt, mag u geen voertuig besturen, niet fietsen en geen machines bedienen.

## **3. Hoe neemt u dit middel in?**

Neem dit geneesmiddel altijd in precies zoals uw arts of apotheker u dat heeft verteld. Twijfelt u over het juiste gebruik? Neem dan contact op met uw arts of apotheker.

Translarna is verkrijgbaar in de volgende sachetsterkten: 125 mg, 250 mg en 1.000 mg ataluren per sachet. Uw arts of apotheker zal u vertellen hoeveel sachets en welke sterkten u telkens dient in te nemen.

De dosis geneesmiddel die u krijgt, hangt af van uw lichaamsgewicht. De aanbevolen dosis is 10 mg/kg lichaamsgewicht 's ochtends, 10 mg/kg lichaamsgewicht 's middags en 20 mg/kg lichaamsgewicht 's avonds (voor een totale dagelijkse dosis van 40 mg/kg lichaamsgewicht).

Het geneesmiddel wordt via de mond ingenomen, vermengd met dun of dik vloeibare voeding. Open het sachet alleen op het moment dat u het geneesmiddel gaat innemen. Meng de volledige inhoud van het sachet met ten minste 30 ml dun vloeibare voeding (water, melk, vruchtensap) of drie eetlepels dik vloeibare voeding (yoghurt of appelmoes). Meng de klaargemaakte dosis goed voordat u deze inneemt. De hoeveelheid dun of dik vloeibare voeding kan, afhankelijk van uw voorkeur, worden verhoogd.

## Doseringstabel

Gewichtsbereik (kg)		Aantal sachets								
		Ochtend			Middag			Avond		
		125 mg sachets	250 mg sachets	1.000 mg sachets	125 mg sachets	250 mg sachets	1.000 mg sachets	125 mg sachets	250 mg sachets	1.000 mg sachets
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

Neem Translarna driemaal daags, 's ochtends, 's middags en 's avonds, in via de mond. Er dient zes uur te zitten tussen de ochtenddosering en de middagdosering, zes uur tussen de middagdosering en de avonddosering en twaalf uur tussen de avonddosering en de eerste dosering de volgende dag. U kunt Translarna bijvoorbeeld innemen om 7 uur 's ochtends bij het ontbijt, om 1 uur 's middags bij de lunch en rond 7 uur 's avonds tijdens het avondeten.

Drink regelmatig water of andere vloeistoffen om uitdroging te voorkomen wanneer u Translarna gebruikt.

### Heeft u te veel van dit middel ingenomen?

Neem contact op met uw arts als u meer dan de voorgeschreven dosering Translarna heeft ingenomen. U kunt last hebben van lichte hoofdpijn, misselijkheid, braken of diarree.

### Bent u vergeten dit middel in te nemen?

Als u minder dan drie uur te laat bent met het toedienen van Translarna na de ochtend- of middagdosering of minder dan zes uur na de avonddosering, kunt u de dosering innemen. Denk eraan dat u de volgende dosering op tijd inneemt.

Als u meer dan drie uur te laat bent met het toedienen van Translarna na de ochtend- of middagdosering of meer dan zes uur na de avonddosering, mag u de dosering niet innemen. Neem de volgende dosering op tijd in.

Neem geen dubbele dosering om een vergeten dosering in te halen. Het is belangrijk de juiste dosering in te nemen. Translarna is mogelijk minder werkzaam bij de behandeling van uw symptomen als u meer dan de aanbevolen dosering inneemt.

### **Als u stopt met het innemen van dit middel**

Stop niet met het innemen van Translarna zonder met uw arts te overleggen.

Heeft u nog andere vragen over het gebruik van dit geneesmiddel? Neem dan contact op met uw arts.

## **4. Mogelijke bijwerkingen**

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. U kunt last krijgen van één of meer van de volgende bijwerkingen als u Translarna heeft ingenomen:

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen bij meer dan 1 op 10 personen voorkomen) zijn:

- Braken

Vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen bij maximaal 1 op 10 personen voorkomen) zijn:

- Verminderde eetlust
- Hoge concentratie triglyceriden in het bloed
- Hoofdpijn
- Misselijkheid
- Gewichtsverlies
- Hoge bloeddruk
- Hoesten
- Bloedneus
- Obstipatie
- Winderigheid
- Maagklachten
- Maagpijn
- Huiduitslag
- Pijn in de armen of benen
- Pijn op de borst
- Plas niet kunnen ophouden
- Bloed in de urine
- Koorts

Frequentie niet bekend (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald):

- Verhoogde bloedlipiden
- Verhoogde nierfunctiewaarden

### **Het melden van bijwerkingen**

Krijgt u last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts of apotheker. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in deze bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via het nationale meldsysteem zoals vermeld in [Bijlage V](#). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

## **5. Hoe bewaart u dit middel?**

Buiten het zicht en bereik van kinderen houden.

Gebruik dit geneesmiddel niet meer na de uiterste houdbaarheidsdatum. Die vindt u op de doos en het sachet na 'EXP'. Daar staat een maand en een jaar. De laatste dag van die maand is de uiterste houdbaarheidsdatum.

Voor dit geneesmiddel zijn er geen speciale bewaarcondities.

Neem een klaargemaakte dosis meteen na bereiding in. Als de klaargemaakte dosis gekoeld wordt bewaard (2 - 8°C), moet deze binnen 24 uur na bereiding worden toegediend en als deze op kamertemperatuur wordt bewaard (15 - 30°C) binnen drie uur. Daarna moet deze worden weggegooid.

Spoel geneesmiddelen niet door de gootsteen of de WC en gooi ze niet in de vuilnisbak. Vraag uw apotheker wat u met geneesmiddelen moet doen die u niet meer gebruikt. Als u geneesmiddelen op de juiste manier afvoert worden ze op een verantwoorde manier vernietigd en komen ze niet in het milieu terecht.

## **6. Inhoud van de verpakking en overige informatie**

### **Welke stoffen zitten er in dit middel?**

De werkzame stof in dit middel is ataluren. Translarna is verkrijgbaar in drie sterkten, die 125 mg, 250 mg en 1.000 mg van de werkzame stof bevatten. De andere stoffen in dit middel zijn polydextrose (E1200), macrogol, poloxameer, mannitol (E421), crospovidon, hydroxyethylcellulose, kunstmatige vanillesmaak (maltodextrine, kunstmatige smaken en propyleenglycol), anhydrisch colloïdaal siliciumdioxide (E551), magnesiumstearaat.

### **Hoe ziet Translarna eruit en hoeveel zit er in een verpakking?**

Translarna is wit tot gebroken wit granulaat voor orale suspensie in sachets.  
Translarna is verkrijgbaar in verpakkingen van 30 sachets.

### **Houder van de vergunning voor het in de handel brengen**

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

### **Fabrikant**

Almac Pharma Services  
22 Seagoe Industrial Estate  
Craigavon BT63 5QD  
Verenigd Koninkrijk

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

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

Neem voor alle informatie over dit geneesmiddel contact op met de lokale vertegenwoordiger van de houder van de vergunning voor het in de handel brengen:

**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.

(Ierland/Irlande/Irland)

+353 (0)1 447 5165

[medinfo@ptcbio.com](mailto:medinfo@ptcbio.com)

**FR**

PTC Therapeutics France

Tel: +33(0)1 76 70 10 01

[medinfo@ptcbio.com](mailto:medinfo@ptcbio.com)

### **Deze bijsluiter is voor het laatst goedgekeurd in**

Dit geneesmiddel is voorwaardelijk toegelaten. Dit betekent dat er in de toekomst meer definitieve gegevens worden verwacht over dit geneesmiddel.

Het Europees Geneesmiddelenbureau zal ieder jaar nieuwe informatie over het geneesmiddel beoordelen. Als dat nodig is, zal deze bijsluiter worden aangepast.

Meer informatie over dit geneesmiddel is beschikbaar op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau (<http://www.ema.europa.eu>). Hier vindt u ook verwijzingen naar andere websites over zeldzame ziektes en hun behandelingen.