

## Folheto informativo: Informação para o doente

**Translarna 125 mg granulado para suspensão oral**  
**Translarna 250 mg granulado para suspensão oral**  
**Translarna 1.000 mg granulado para suspensão oral**  
atalureno

▼ Este medicamento está sujeito a monitorização adicional. Isto irá permitir a rápida identificação de nova informação de segurança. Poderá ajudar, comunicando quaisquer efeitos indesejáveis que tenha. Para saber como comunicar efeitos indesejáveis, veja o final da secção 4.

**Leia com atenção todo este folheto antes de começar a tomar este medicamento, pois contém informação importante para si.**

- Conserve este folheto. Pode ter necessidade de o ler novamente.
- Caso ainda tenha dúvidas, fale com o seu médico ou farmacêutico.
- Este medicamento foi receitado apenas para si. Não deve dá-lo a outros. O medicamento pode ser-lhes prejudicial mesmo que apresentem os mesmos sinais de doença.
- Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico ou farmacêutico. Ver secção 4.

### **O que contém este folheto:**

1. O que é Translarna e para que é utilizado
2. O que precisa de saber antes de tomar Translarna
3. Como tomar Translarna
4. Efeitos indesejáveis possíveis
5. Como conservar Translarna
6. Conteúdo da embalagem e outras informações

### **1. O que é Translarna e para que é utilizado**

O Translarna é um medicamento que contém a substância ativa atalureno.

O Translarna é utilizado no tratamento da distrofia muscular de Duchenne resultante de um defeito genético específico que afeta a função normal dos músculos.

O Translarna é utilizado no tratamento de doentes com idade igual ou superior a 2 anos e capacidade para andar.

Você ou o seu filho já terá feito testes, por ordem do seu médico, antes iniciar o tratamento com Translarna, com o propósito de confirmar que a sua doença é adequada para ser tratada com este medicamento.

### **Como funciona o Translarna?**

A distrofia muscular de Duchenne é causada por alterações genéticas que resultam numa anomalia numa proteína muscular chamada distrofina que é necessária para o correto funcionamento dos músculos. O Translarna permite a produção de distrofina funcional e ajuda os músculos a funcionarem corretamente.

## 2. O que precisa de saber antes de tomar Translarna

### Não tome Translarna:

- se tem alergia ao atalureno ou a qualquer outro componente deste medicamento (indicados na secção 6).
- se está a receber tratamento com determinados antibióticos, como a gentamicina, tobramicina ou estreptomicina, por injeção numa veia.

### Advertências e precauções

O seu médico realizou-lhe uma análise ao sangue para confirmar que a sua doença é adequada para o tratamento com Translarna. Se sofre de problemas nos rins, o seu médico deve monitorizar regularmente a sua função renal.

Se tem problemas graves nos rins (eGFR <30 ml/min) ou se está a fazer diálise porque os seus rins não funcionam (doença renal em fase terminal) o seu médico avaliará se o tratamento com Translarna é adequado para si.

O seu médico mandará fazer testes aos níveis dos lípidos (gorduras como o colesterol e os triglicéridos) no sangue e à sua função dos rins a cada 6 a 12 meses. O seu médico monitorizará a sua tensão arterial a cada 6 meses no caso de estar a tomar um corticosteroide.

### Crianças e adolescentes

Não administre este medicamento em crianças com idade inferior a 2 anos ou com peso inferior a 12 kg, na medida em que o mesmo não foi testado neste grupo de doentes.

### Outros medicamentos e Translarna

Informe o seu médico se estiver a tomar, tiver tomado recentemente, ou se vier a tomar outros medicamentos. Mais especificamente, não tome Translarna com os antibióticos gentamicina, tobramicina ou estreptomicina, administrados por injeção. Estes antibióticos podem afetar o funcionamento dos seus rins.

Informe o seu médico se estiver a tomar alguns dos seguintes medicamentos:

<b>Medicamento</b>	<b>Habitualmente receitado para</b>
aciclovir	tratamento da varicela
adefovir	tratamento da hepatite B crónica e/ou VIH
atorvastatina	diminuição dos lípidos
benzilpenicilina	infecções graves
bumetanida	tratamento ou prevenção da insuficiência cardíaca congestiva
captopril	tratamento ou prevenção da insuficiência cardíaca congestiva
ciprofloxacina	tratamento de infeções
famotidina	tratamento de úlcera do duodeno ativa, doença do refluxo gastroesofágico
furosemida	tratamento ou prevenção da insuficiência cardíaca congestiva
metotrexato	artrite reumatoide, psoríase
olmesartan	hipertensão essencial em adultos
oseltamivir	prevenção da gripe
fenobarbital	indutor do sono, prevenção de convulsões
pitavastatina	diminuição dos lípidos
pratavastatina	diminuição dos lípidos
rifampicina	tratamento da tuberculose
rosuvastatina	diminuição dos lípidos
sitagliptina	diabetes tipo 2
valsartan	tratamento ou prevenção da insuficiência cardíaca congestiva

Alguns destes medicamentos não foram testados em conjunto com Translarna e o seu médico pode decidir monitorizá-lo de perto.

### **Gravidez e amamentação**

Se está grávida ou a amamentar, se pensa estar grávida ou planeia engravidar, consulte o seu médico antes de tomar este medicamento. Se engravidar durante a toma de Translarna, consulte de imediato o seu médico dado que é aconselhável não tomar Translarna enquanto se está grávida ou a amamentar.

### **Condução de veículos e utilização de máquinas**

No caso de sentir tonturas, não conduza, não ande de bicicleta nem utilize máquinas.

## **3. Como tomar Translarna**

Tome este medicamento exatamente como indicado pelo seu médico ou farmacêutico. Fale com o seu médico ou farmacêutico se tiver dúvidas.

O Translarna está disponível em saquetas, nas seguintes dosagens: 125 mg, 250 mg e 1.000 mg de atalureno por saqueta. O seu médico ou farmacêutico indicará o número exato de saquetas e a dosagem a tomar em cada ocasião.

A sua dose de Translarna depende do seu peso corporal. A dose recomendada é de 10 mg/kg de peso corporal de manhã, 10 mg/kg de peso corporal a meio do dia e 20 mg/kg de peso corporal à noite (para uma dose diária total de 40 mg/kg de peso corporal).

O medicamento destina-se a ser tomado pela boca, misturado com um líquido ou alimentos semissólidos.

Abra a saqueta apenas no momento em que for tomar o medicamento e utilize a quantidade inteira da saqueta. O conteúdo integral de cada saqueta deve ser misturado com, pelo menos, 30 ml de líquido (água, leite ou sumo de fruta) ou 3 colheres de sopa de alimentos semissólidos (iogurte ou puré de maçã). Misture bem a dose preparada antes de tomá-la. A quantidade do líquido ou alimentos semissólidos pode ser aumentada de acordo com as suas preferências.

Tabela de posologia

Intervalo de pesos (kg)		Número de saquetas								
		Manhã			Meio do dia			Noite		
		Saquetas de 125 mg	Saquetas de 250 mg	Saquetas de 1.000 mg	Saquetas de 125 mg	Saquetas de 250 mg	Saquetas de 1.000 mg	Saquetas de 125 mg	Saquetas de 250 mg	Saquetas de 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

Tome Translarna pela boca, 3 vezes por dia, de manhã, a meio do dia e à noite. Devem decorrer 6 horas entre as doses da manhã e do meio do dia, 6 horas entre as doses do meio do dia e da noite e 12 horas entre a dose da noite e a primeira dose do dia seguinte. Por exemplo, pode tomar Translarna às 7:00, de manhã, com o pequeno-almoço, às 13:00, a meio do dia, com o almoço e, de novo, por volta das 19:00, à noite com o jantar.

Beba água ou outros líquidos regularmente para evitar a ocorrência de desidratação durante a toma de Translarna.

#### **Se tomar mais Translarna do que deveria**

Contacte o seu médico se tomar uma dose superior à dose recomendada de Translarna.

Poderá sentir uma ligeira dor de cabeça, náuseas, vómitos ou diarreia.

#### **Caso se tenha esquecido de tomar Translarna**

Caso se atrase a tomar Translarna por menos de 3 horas depois das doses da manhã ou do meio do dia, ou por menos de 6 horas depois da dose da noite, tome a dose. Não se esqueça de tomar a dose seguinte a horas.

Caso se atrase a tomar Translarna por mais de 3 horas depois das doses da manhã ou do meio do dia, ou por mais de 6 horas depois da dose da noite, não tome a dose. Mas tome as doses seguintes a horas.

Não tome uma dose a dobrar para compensar uma dose que se esqueceu de tomar. É importante administrar a dose correta. O Translarna pode não ser totalmente eficaz a tratar os seus sintomas se tomar mais do que a dose recomendada.

## **Se parar de tomar Translarna**

Não pare de tomar Translarna sem falar com o seu médico.

Caso ainda tenha dúvidas sobre a utilização deste medicamento, fale com o seu médico.

## **4. Efeitos indesejáveis possíveis**

Como todos os medicamentos, este medicamento pode causar efeitos indesejáveis, embora estes não se manifestem em todas as pessoas. Pode ter um ou mais dos seguintes efeitos indesejáveis depois de tomar Translarna:

Efeitos indesejáveis muito frequentes (podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas):

- Vômitos

Efeitos indesejáveis frequentes (podem afetar até 1 em cada 10 pessoas):

- Redução do apetite
- Níveis altos de triglicéridos no sangue
- Cefaleia
- Indisposição
- Perda de peso
- Tensão alta
- Tosse
- Hemorragia nasal
- Prisão de ventre
- Liberação de gases com mais frequência
- Mal-estar no estômago
- Dor de estômago
- Erupção na pele
- Dor no braço ou perna
- Dor no peito
- Urinar involuntário
- Sangue na urina
- Febre

Frequência desconhecida (não pode ser calculada a partir dos dados disponíveis):

- Aumentos nos lípidos no sangue
- Aumentos no teste da função dos rins

## **Comunicação de efeitos indesejáveis**

Se tiver quaisquer efeitos indesejáveis, incluindo possíveis efeitos indesejáveis não indicados neste folheto, fale com o seu médico ou farmacêutico. Também poderá comunicar efeitos indesejáveis diretamente através do sistema nacional de notificação mencionado no [Apêndice V](#). Ao comunicar efeitos indesejáveis, estará a ajudar a fornecer mais informações sobre a segurança deste medicamento.

## **5. Como conservar Translarna**

Manter este medicamento fora da vista e do alcance das crianças.

Não utilize este medicamento após o prazo de validade impresso na embalagem exterior e na saqueta após EXP. O prazo de validade corresponde ao último dia do mês indicado.

O medicamento não necessita de quaisquer precauções especiais de conservação.

Tome cada dose preparada imediatamente após a preparação. Elimine a dose preparada no caso de não ser consumida no prazo de 24 horas após a preparação, se mantida refrigerada (2 – 8 °C), ou no prazo de 3 horas à temperatura ambiente (15 – 30 °C).

Não deite fora quaisquer medicamentos na canalização ou no lixo doméstico. Pergunte ao seu farmacêutico como deitar fora os medicamentos que já não utiliza. Estas medidas ajudarão a proteger o ambiente.

## **6. Conteúdo da embalagem e outras informações**

### **Qual a composição de Translarna**

O Translarna está disponível em 3 dosagens, cada uma contendo 125 mg, 250 mg e 1.000 mg da substância ativa chamada atalureno. Os outros componentes são polidextrose (E1200), macrogol, poloxamero, manitol (E421), crospovidona, hidroxietilcelulose, aroma artificial de baunilha (maltodextrina, aromas artificiais e propilenoglicol), sílica coloidal anidra (E551) e estearato de magnésio.

### **Qual o aspeto de Translarna e conteúdo da embalagem**

O Translarna é um granulado branco a esbranquiçado para suspensão oral em saquetas.

O Translarna está disponível em embalagens contendo 30 saquetas.

### **Titular da Autorização de Introdução no Mercado**

PTC Therapeutics International Limited

5th Floor

3 Grand Canal Plaza

Grand Canal Street Upper

Dublin 4

D04 EE70

Irlanda

### **Fabricante**

Almac Pharma Services

22 Seagoe Industrial Estate

Craigavon BT63 5QD

Reino Unido

PTC Therapeutics International Limited

5th Floor

3 Grand Canal Plaza

Grand Canal Street Upper

Dublin 4

D04 EE70

Irlanda

Almac Pharma Services (Ireland) Limited

Finnabair Industrial Estate

Dundalk, Co. Louth, A91 P9KD

Irlanda

Para quaisquer informações sobre este medicamento, queira contactar o representante local do Titular da Autorização de Introdução no Mercado:

**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. (Irlanda)  
+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)

**Este folheto foi revisto pela última vez em**

Foi concedida a este medicamento uma «Autorização de Introdução no Mercado condicionada». Isto significa que se aguarda mais informação sobre este medicamento.

A Agência Europeia de Medicamentos irá analisar, pelo menos uma vez por ano, nova informação sobre este medicamento e este folheto será atualizado se necessário.

Está disponível informação pormenorizada sobre este medicamento no sítio da internet da Agência Europeia de Medicamentos: <http://www.ema.europa.eu>. Também existem links para outros sítios da internet sobre doenças raras e tratamentos.