



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658308/2017  
EMA/H/C/004281

## Резюме на EPAR за обществено ползване

### Нитисинон MDK<sup>1</sup>

nitisinone

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Нитисинон MDK. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Нитисинон MDK.

За практическа информация относно употребата на Нитисинон MDK пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

### Какво представлява Нитисинон MDK и за какво се използва?

Нитисинон MDK е лекарство, което се използва за лечение на наследствена тирозинемия тип 1 (HT-1). Това е рядко заболяване, при което организмът не е способен да разгражда напълно аминокиселината тирозин и се образуват вредни вещества, което причинява сериозни проблеми с черния дроб и рак на черния дроб.

Нитисинон MDK се използва в комбинация с хранителен режим за ограничаване на приема на аминокиселините тирозин и фенилаланин. Обикновено тези аминокиселини се съдържат в белтъците в храната и напитките.

Нитисинон MDK е „генерично лекарство“. Това означава, че Нитисинон MDK съдържа същото активно вещество и действа по същия начин като „референтното лекарство“ Orfadin, което вече е разрешено в Европейския съюз (ЕС). За повече информация относно генеричните лекарства вижте документа тип „въпроси и отговори“ [ТУК](#).

Нитисинон MDK съдържа активното вещество нитисинон (*nitisinone*).

<sup>1</sup> С предходно наименование Нитисинон MendeliKABS



## Как се използва Нитисинон MDK?

Нитисинон MDK се отпуска по лекарско предписание, а лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекари с опит в лечението на пациенти с НТ-1. Лечението трябва да започне възможно най-рано, а дозата Нитисинон MDK — да се адаптира в зависимост от повлияването и телесното тегло на пациента.

Нитисинон MDK се предлага под формата на капсули (2 mg, 5 mg и 10 mg). Препоръчителната начална доза е 1 mg на килограм телесно тегло веднъж дневно. Обикновено капсулите се поглъщат цели, но могат да се отворят и съдържанието им да се разтвори в малко количество вода или течна храна непосредствено преди приема.

Нитисинон MDK е предназначен за продължителна употреба. Пациентите трябва да бъдат наблюдавани най-малко на всеки шест месеца.

## Как действа Нитисинон MDK?

Тирозин се разгражда в организма от няколко ензима. При пациентите с НТ-1 един от тези ензими липсва и поради това тирозинът не се разгражда правилно, а се преобразува във вредни вещества. Активното вещество в Нитисинон MDK, нитисинон, блокира ензима, който преобразува тирозин във вредни вещества. Същевременно, тъй като тирозинът остава в организма по време на лечението с Нитисинон MDK, пациентите трябва да спазват специален хранителен режим с ниско съдържание на тирозин. Хранителният режим трябва да е също с ниско съдържание на фенилаланин, тъй като той се преобразува в тирозин в организма.

## Как е проучен Нитисинон MDK?

Тъй като вече са проведени проучвания с референтното лекарство Orfadin относно ползите и рисковете на активното вещество за одобрените показания, не се налага да се правят проучвания за Нитисинон MDK.

Както при всяко лекарство, фирмата е представила проучвания относно качеството на Нитисинон MDK. Фирмата е провела също проучване, в което е установено, че продуктът е „биоеквивалентен“ на референтното лекарство. Две лекарства се считат за биоеквивалентни, когато произвеждат едни и същи нива на активното вещество в организма и поради това се очаква да имат един и същ ефект.

## Какви са ползите и рисковете, свързани с Нитисинон MDK?

Тъй като Нитисинон MDK е генерично лекарство и биоеквивалент на референтното лекарство, приема се, че ползите и рисковете са същите като при референтното лекарство.

## Защо Нитисинон MDK е разрешен за употреба?

Европейската агенция по лекарствата заключи, че в съответствие с изискванията на ЕС е доказано, че лекарството е със сравнимо качество и представлява биоеквивалент на Orfadin. Следователно CHMP счита, че както при Orfadin, ползите превишават установените рискове. Комитетът препоръча Нитисинон MDK да бъде разрешен за употреба в ЕС.

## Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Нитисинон MDK?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Нитисинон MDK, които да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

### Допълнителна информация за Нитисинон MDK:

На 24 август 2017 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Нитисинон MendellKABS, валидно в Европейския съюз. Името на лекарствения продукт е променено на Нитисинон MDK на 3 Октомври 2017 г.

Пълният текст на EPAR за Нитисинон MDK може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Нитисинон MDK прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Пълният текст на EPAR за референтното лекарство също може да се намери на уебсайта на Агенцията.

Дата на последно актуализиране на текста 10-2017.