



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658310/2017
EMA/H/C/004281

EPAR – sammendrag for offentligheden

Nitisinone MDK¹

nitisinon

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Nitisinone MDK. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Nitisinone MDK bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Nitisinone MDK, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Nitisinone MDK, og hvad anvendes det til?

Nitisinone MDK er et lægemiddel til behandling af arvelig tyrosinæmi type 1 (HT-1). Det er en sjælden sygdom, hvor kroppen ikke er i stand til fuldstændigt at nedbryde aminosyren tyrosin. Derved dannes der skadelige stoffer, som medfører svære leverproblemer og leverkræft.

Nitisinone MDK anvendes i kombination med en diæt med begrænset indtagelse af aminosyrerne tyrosin og phenylalanin. Disse aminosyrer findes normalt i proteiner i fødevarer og drikkevarer.

Nitisinone MDK er et "generisk lægemiddel". Det betyder, at Nitisinone MDK indeholder det samme aktive stof og virker på samme måde som et "referencelægemiddel", som allerede er godkendt i Den Europæiske Union (EU), og som hedder Orfadin. Der kan indhentes yderligere oplysninger om generiske lægemidler i dokumentet med spørgsmål og svar [her](#).

Nitisinone MDK indeholder det aktive stof nitisinon.

¹ Tidligere kaldet Nitisinone MendeliKABS



Hvordan anvendes Nitisinone MDK?

Nitisinone MDK udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af læger med erfaring i at behandle patienter med HT-1. Behandlingen bør indledes hurtigst muligt, og dosis af Nitisinone MDK tilpasses patientens behandlingsrespons og legemsvægt.

Nitisinone MDK fås som kapsler (2 mg, 5 mg og 10 mg). Den anbefalede startdosis er 1 mg pr. kilogram legemsvægt pr. dag. Kapslerne synkes normalt hele, men de kan åbnes og indholdet opløses i en smule vand eller blandes i diætmad lige inden indtagelsen.

Nitisinone MDK er beregnet til langtidsbehandling. Patienterne bør kontrolleres mindst hver sjette måned.

Hvordan virker Nitisinone MDK?

Tyrosin nedbrydes i kroppen af en række enzymer. Patienter med HT-1 mangler et af disse enzymer, så tyrosinet i deres krop nedbrydes ikke, som det skulle, men omdannes i stedet til skadelige stoffer. Det aktive stof i Nitisinone MDK, nitisonon, blokerer et enzym, der omdanner tyrosin til skadelige stoffer. Det uomdannede tyrosin forbliver dog i kroppen under behandlingen med Nitisinone MDK, og patienterne skal derfor følge en særlig diæt med et lavt indhold af tyrosin. Diæten skal også have et lavt indhold af phenylalanin, da dette omdannes til tyrosin i kroppen.

Hvordan blev Nitisinone MDK undersøgt?

Der er allerede gennemført undersøgelser af fordelene og risiciene ved det aktive stof i de godkendte anvendelser med referencelægemidlet, Orfadin, og det er ikke nødvendigt at gentage disse med Nitisinone MDK.

Som for alle lægemidler fremlagde virksomheden undersøgelser af kvaliteten af Nitisinone MDK. Virksomheden gennemførte også en undersøgelse, der viste, at lægemidlet er "bioækvivalent" med referencelægemidlet. To lægemidler er bioækvivalente, når de danner den samme mængde af det aktive stof i kroppen og derfor forventes at have samme virkning.

Hvilken fordel og risiko er der forbundet med Nitisinone MDK?

Da Nitisinone MDK er et generisk lægemiddel, som er bioækvivalent med referencelægemidlet, anses benefit/risk-forholdet for at være det samme som for referencelægemidlet.

Hvorfor blev Nitisinone MDK godkendt?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at det i overensstemmelse med EU's krav er blevet påvist, at Nitisinone MDK er af sammenlignelig kvalitet og er bioækvivalent med Orfadin. Det var derfor CHMP's opfattelse, at fordelene opvejer de identificerede risici som for Orfadin. Udvalget anbefalede, at Nitisinone MDK godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nitisinone MDK?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nitisinone MDK.

Andre oplysninger om Nitisinone MDK

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Nitisinone MendeliKABS den 24. august 2017. Lægemidlets navn blev ændret til Nitisinone MDK den 3. oktober 2017.

Den fuldstændige EPAR for Nitisinone MDK findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Nitisinone MDK, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Den fuldstændige EPAR for referencelægemidlet findes også på agenturets websted.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 10-2017.

Lægemidlet er ikke længere autoriseret