



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658324/2017
EMA/H/C/004281

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Nitisinone MDK¹

nityzynon

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Nitisinone MDK. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Nitisinone MDK.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Nitisinone MDK należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Nitisinone MDK i w jakim celu się go stosuje?

Nitisinone MDK jest lekiem stosowanym w leczeniu dziedzicznej tyrozynemii typ 1 (HT-1). Jest to rzadka choroba, w której organizm nie jest w stanie całkowicie rozłożyć aminokwasu tyrozyny, w wyniku czego powstają szkodliwe substancje, przez co przyczynia się do ciężkiej niewydolności wątroby i raka wątroby.

Nitisinone MDK stosuje się równocześnie z dietą ograniczającą spożycie aminokwasów: tyrozyny i fenyloalaniny. Te aminokwasy występują zazwyczaj w białku pokarmów i napojów.

Nitisinone MDK jest lekiem generycznym. Oznacza to, że Nitisinone MDK zawiera tę samą substancję czynną i działa w taki sam sposób jak lek referencyjny o nazwie Orfadin, który jest już dopuszczony do obrotu w Unii Europejskiej (UE). Więcej informacji na temat leków generycznych znajduje się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).

Nitisinone MDK zawiera substancję czynną nityzynon.

¹ Produkt znany wcześniej pod nazwą Nitisinone MendeliKABS



Jak stosować produkt Nitisinone MDK?

Nitisinone MDK wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać i monitorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z HT-1. Leczenie należy rozpocząć możliwie najwcześniej, a dawkę leku Nitisinone MDK dostosować do reakcji organizmu pacjenta i jego masy ciała.

Lek Nitisinone MDK jest dostępny w postaci kapsułek (2 mg, 5 mg i 10 mg). Zalecana dawka początkowa wynosi 1 mg na kilogram masy ciała na dobę. Kapsułki zazwyczaj połyka się w całości albo można je otworzyć i ich zawartość bezpośrednio przed podaniem wymieszać z niewielką ilością wody lub mieszanki dietetycznej.

Lek Nitisinone MDK jest przeznaczony do długotrwałego stosowania. Pacjenci powinni być monitorowani przynajmniej co sześć miesięcy.

Jak działa produkt Nitisinone MDK?

Tyrozyna jest rozkładana w organizmie przez kilka enzymów. Pacjenci z HT-1 nie mają jednego z tych enzymów, więc ich organizmy nie usuwają we właściwy sposób tyrozyny, lecz przekształcają ją w szkodliwe substancje. Substancja czynna produktu Nitisinone MDK, nityzynom, blokuje enzym, który przekształca tyrozinę w szkodliwe substancje. Jednak ze względu na to, że podczas leczenia produktem Nitisinone MDK nieprzetworzona tyrozyna odkłada się w organizmie, pacjenci powinni stosować specjalną dietę ubogą w tyrozinę. Dieta powinna być również uboga w fenyloalaninę, gdyż przekształca się ona w organizmie w tyrozinę.

Jak badano produkt Nitisinone MDK?

Przeprowadzono już badania nad korzyściami i ryzykiem związanymi z substancją czynną w zatwierdzonych wskazaniach dla leku referencyjnego, produktu Orfadin, i powtarzanie ich dla leku Nitisinone MDK nie jest konieczne.

Jak w przypadku każdego leku firma przekazała badania jakości leku Nitisinone MDK. Firma przeprowadziła również badanie, w którym wykazano, że lek jest biorównoważny w stosunku do leku referencyjnego. Dwa leki są biorównoważne, gdy doprowadzają do wystąpienia jednakowego stężenia substancji czynnej w organizmie i w związku z tym przewiduje się, że będą miały takie samo działanie.

Jakie korzyści i ryzyko wiążą się ze stosowaniem produktu Nitisinone MDK?

Ponieważ Nitisinone MDK jest lekiem generycznym, biorównoważnym w stosunku do leku referencyjnego, uznaje się, że z jego stosowaniem wiążą się takie same korzyści i ryzyko, jak w przypadku leku referencyjnego.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Nitisinone MDK?

Europejska Agencja Leków uznała, że – zgodnie z wymogami UE – wykazano, iż lek Nitisinone MDK charakteryzuje się porównywalną jakością i jest biorównoważny w stosunku do leku Orfadin. Dlatego też CHMP wyraził opinię, że – podobnie jak w przypadku produktu Orfadin – korzyści przewyższają rozpoznane ryzyko. Komitet zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu Nitisinone MDK do stosowania w Unii Europejskiej.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Nitisinone MDK?

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Nitisinone MDK w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Nitisinone MDK:

W dniu 24 sierpnia 2017 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Nitisinone MendeliKABS do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej. W dniu 3 października 2017 r. nazwę produktu zmieniono na Nitisinone MDK.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Nitisinone MDK znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Nitisinone MDK należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku referencyjnego również znajduje się na stronie internetowej Agencji.

Data ostatniej aktualizacji: 10.2017.