



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658328/2017
EMA/H/C/004281

Povzetek EPAR za javnost

Nitizinon MDK¹

nitizinon

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Nitizinon MDK. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Nitizinon MDK naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Nitizinon MDK in za kaj se uporablja?

Zdravilo Nitizinon MDK se uporablja za zdravljenje dedne tirozinemije tipa 1 (HT-1). To je redka bolezen, pri kateri telo ni sposobno popolnoma razgraditi aminokislina tirozin, zaradi česar nastajajo škodljive snovi, ki povzročajo hude težave z jetri, vključno z rakom jeter.

Zdravilo Nitizinon MDK se uporablja skupaj z dieto, ki omejuje vnos aminokislina tirozin in fenilalanin. Te aminokislina so običajno prisotne v beljakovinah v hrani in pijači.

Zdravilo Nitizinon MDK je „generično zdravilo“. To pomeni, da vsebuje enako zdravilno učinkovino in ima enak način delovanja kot „referenčno zdravilo“, ki je že odobreno v Evropski uniji (EU), in sicer zdravilo Orfadin. Za več informacij o generičnih zdravilih si oglejte dokument z vprašanji in odgovori, ki je na voljo [tukaj](#).

Zdravilo Nitizinon MDK vsebuje zdravilno učinkovino nitizinon.

¹ Prej znano kot Nitizinon MendeliKABS



Kako se zdravilo Nitizinin MDK uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa lahko uvede in nadzoruje le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z dedno tirozinemijo tipa 1. Zdravljenje je treba začeti čim prej, odmerek zdravila pa je treba prilagoditi bolnikovemu odzivu in telesni masi.

Zdravilo Nitizinin MDK je na voljo v obliki kapsul (2 mg, 5 mg in 10 mg). Priporočeni začetni odmerek znaša 1 mg na kilogram telesne mase na dan. Kapsule se navadno pogoltnejo cele, vendar se lahko odprejo, da se vsebina tik pred zaužitjem zmeša z manjšo količino vode ali formule.

Zdravilo Nitizinin MDK je namenjeno za dolgotrajno uporabo. Bolnike je treba pregledati vsaj vsakih šest mesecev.

Kako zdravilo Nitizinin MDK deluje?

Tirozin v telesu razgrajujejo številni encimi. Bolniki z dedno tirozinemijo tipa 1 nimajo enega od teh encimov, zato se tirozin v njihovem telesu ne razgradi ustrezno, ampak se pretvori v škodljive snovi. Zdravilna učinkovina v zdravilu Nitizinin MDK, nitizinin, zavira encim, ki pretvarja tirozin v škodljive snovi. Ker pa tirozin med zdravljenjem z zdravilom Nitizinin MDK ostane v telesu, bolniki potrebujejo posebno dieto z nizko vsebnostjo tirozinov. Dieta mora vsebovati tudi čim manj fenilalanina, saj se ta v telesu pretvori v tirozin.

Kako je bilo zdravilo Nitizinin MDK raziskano?

Študije o koristih in tveganjih zdravilne učinkovine pri dovoljenih načinih uporabe so že bile izvedene z referenčnim zdravilom Orfadin, zato jih ni treba ponoviti za zdravilo Nitizinin MDK.

Kot to velja za vsako zdravilo, je družba zagotovila študije o kakovosti zdravila Nitizinin MDK. Opravila je tudi študijo, ki je pokazala, da je zdravilo biološko enakovredno referenčnemu zdravilu. Dve zdravili sta biološko enakovredni, kadar dosemeta enake ravni zdravilne učinkovine v telesu in imata zato po pričakovanjih enak učinek.

Kakšne so koristi in tveganja, povezani z zdravilom Nitizinin MDK?

Ker je zdravilo Nitizinin MDK generično zdravilo in je biološko enakovredno referenčnemu zdravilu, so njegove koristi in tveganja enaki kot pri referenčnem zdravilu.

Zakaj je bilo zdravilo Nitizinin MDK odobreno?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da je bilo v skladu z zahtevami EU dokazano, da ima zdravilo Nitizinin MDK primerljivo raven kakovosti kot referenčno zdravilo Orfadin ter da mu je biološko enakovredno. Zato je menila, da njegove koristi enako kot pri zdravilu Orfadin odtehtajo znana tveganja. Priporočila je, da se zdravilo Nitizinin MDK odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Nitizinin MDK?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Nitizinin MDK upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Nitizinon MDK

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Nitizinon MendeliKABS, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 24. avgusta 2017. Ime zdravila je bilo 3. oktober 2017 spremenjeno v Nitizinon MDK.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Nitizinon MDK je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Nitizinon MDK preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za referenčno zdravilo je tudi na voljo na spletni strani agencije.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2017.

Zdravilo nima več dovoljenja za promet