



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658329/2017  
EMA/H/C/004281

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

### Nitisinone MDK<sup>1</sup>

nitisinon

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Nitisinone MDK. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Nitisinone MDK ska användas.

Praktisk information om hur Nitisinone MDK ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

### Vad är Nitisinone MDK och vad används det för?

Nitisinone MDK är ett läkemedel som används för att behandla patienter med ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1). Detta är en sällsynt sjukdom där kroppen inte helt kan bryta ned aminosyran tyrosin, vilket gör att skadliga ämnen bildas som orsakar allvarliga leverproblem och levercancer.

Nitisinone MDK tas tillsammans med en diet som begränsar intaget av aminosyrorna tyrosin och fenylalanin. Dessa aminosyror finns normalt i proteiner i mat och dryck.

Nitisinone MDK är ett generiskt läkemedel, vilket innebär att det innehåller samma aktiva substans och verkar på samma sätt som ett referensläkemedel som redan är godkänt i EU. Referensläkemedlet är Orfadin. Mer information om generiska läkemedel finns i dokumentet med frågor och svar [här](#).

Nitisinone MDK innehåller den aktiva substansen nitisinon.

### Hur används Nitisinone MDK?

Nitisinone MDK är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla HT-1. Behandlingen ska inledas så tidigt som möjligt och dosen Nitisinone MDK ska anpassas efter patientens kroppsvikt och hur patienten svarar på behandlingen.

---

<sup>1</sup> Kallades tidigare Nitisinone MendeliKABS



Nitisinone MDK finns som kapslar (2 mg, 5 mg och 10 mg). Den rekommenderade startdosen är 1 mg per kilo kroppsvikt en gång dagligen. Kapslarna sväljs vanligen hela, men de kan också öppnas och innehållet hällas ut i en liten mängd vatten eller näring strax före intag.

Nitisinone MDK är avsett för långtidsbehandling. Patienterna ska kontrolleras minst var sjätte månad.

## Hur verkar Nitisinone MDK?

Tyrosin bryts ned i kroppen av ett antal enzymer. Patienter med HT-1 saknar ett av dessa enzymer, vilket medför att tyrosinet i kroppen inte bryts ned ordentligt, utan omvandlas till skadliga ämnen. Den aktiva substansen i Nitisinone MDK, nitisinon, blockerar ett enzym som omvandlar tyrosin till skadliga ämnen. Eftersom det icke omvandlade tyrosinet finns kvar i kroppen under behandlingen med Nitisinone MDK måste dock patienterna följa en speciell diet med låg halt av tyrosin. Även halten av fenylalanin måste vara låg, eftersom fenylalanin omvandlas till tyrosin i kroppen.

## Hur har Nitisinone MDK effekt undersökts?

Studier av fördelarna och riskerna med den aktiva substansen vid de godkända användningarna har redan utförts med referensläkemedlet Orfadin och behöver inte utföras på nytt med Nitisinone MDK.

Som med alla läkemedel lade företaget fram studier av kvaliteten på Nitisinone MDK. Företaget genomförde också en studie som visade att det är bioekvivalent med referensläkemedlet. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen och därför förväntas ha samma effekt.

## Vilka är fördelarna och riskerna med Nitisinone MDK?

Eftersom Nitisinone MDK är ett generiskt läkemedel och är bioekvivalent med referensläkemedlet anses dess fördelar och risker vara desamma som för referensläkemedlet.

## Varför godkänns Nitisinone MDK?

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att det styrkts att Nitisinone MDK i enlighet med EU:s krav har likvärdig kvalitet och är bioekvivalent med Orfadin. EMA fann därför att nyttan är större än de konstaterade riskerna, liksom för Orfadin, och rekommenderade att Nitisinone MDK skulle godkännas för användning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Nitisinone MDK?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Nitisinone MDK har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

## Mer information om Nitisinone MDK

Den 24 augusti 2017 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Nitisinone MendeliKABS som gäller i hela EU. Den 3 oktober 2017 ändrades läkemedlets namn till Nitisinone MDK.

EPAR för Nitisinone MDK finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med Nitisinone MDK finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

EPAR för referensläkemedlet finns också i sin helhet på EMA:s webbplats.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 10-2017.

Läkemedlet är inte längre godkänt för försäljning