



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658309/2017
EMA/H/C/004281

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Nitisinone MDK¹

nitisinonum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Nitisinone MDK. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Nitisinone MDK používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Nitisinone MDK, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Nitisinone MDK a k čemu se používá?

Nitisinone MDK je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dědičné tyrosinémie typu 1 (HT-1). Jedná se o vzácné onemocnění, při kterém není tělo schopno úplně rozložit aminokyselinu tyrosin a v důsledku toho se vytvářejí škodlivé látky, což způsobuje závažné jaterní potíže a rakovinu jater.

Při užívání přípravku Nitisinone MDK se dodržuje speciální dieta, která omezuje přísun aminokyselin tyrosinu a fenylalaninu. Tyto aminokyseliny se běžně nacházejí v bílkovinách obsažených v potravě a nápojích.

Přípravek Nitisinone MDK je „generikum“. Znamená to, že přípravek Nitisinone MDK obsahuje stejnou léčivou látku a působí stejně jako „referenční léčivý přípravek“, který je již v Evropské unii registrován, a sice přípravek Orfadin. Více informací o generikách naleznete v příslušném dokumentu otázek a odpovědí [zde](#)

Přípravek Nitisinone MDK obsahuje léčivou látku nitisinon.

¹ Dříve známý pod názvem Nitisinone MendeliKABS



Jak se přípravek Nitisinone MDK používá?

Výdej přípravku Nitisinone MDK je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měli zahájit a sledovat lékaři, kteří mají zkušenosti s léčbou HT-1. Léčba by měla být zahájena co nejdříve, přičemž dávku přípravku Nitisinone MDK je třeba přizpůsobit reakci pacienta na léčbu a jeho tělesné hmotnosti.

Přípravek Nitisinone MDK je k dispozici ve formě tobolek (2 mg, 5 mg a 10 mg). Doporučená počáteční dávka je 1 mg na kilogram tělesné hmotnosti jednou denně. Tobolky se obvykle polykají vcelku, ale je možné je otevřít a jejich obsah bezprostředně před požitím rozmíchat v malém množství vody nebo v předepsané dietní stravě.

Přípravek Nitisinone MDK je určen k dlouhodobému užívání. Pacienti by měli nejméně každých 6 měsíců absolvovat kontrolu.

Jak přípravek Nitisinone MDK působí?

Tyrosin se v těle rozkládá pomocí celé řady enzymů. Pacienti s HT-1 mají nedostatek jednoho z těchto enzymů, takže tyrosin se náležitě nerozkládá a přeměňuje se na škodlivé látky. Léčivá látka v přípravku Nitisinone MDK, nitisinon, blokuje enzym, který přeměňuje tyrosin na škodlivé látky. Vzhledem k tomu, že nepřeměněný tyrosin v těle v průběhu léčby přípravkem Nitisinone MDK zůstává, však musejí pacienti dodržovat speciální dietu s nízkým obsahem tyrosinu. Tato dieta musí rovněž obsahovat malé množství fenylalaninu, neboť ten se v těle mění na tyrosin.

Jak byl přípravek Nitisinone MDK zkoumán?

Studie přínosů a rizik léčivé látky v rámci schválených použití již byly provedeny u referenčního léčivého přípravku Orfadin, pro přípravek Nitisinone MDK je proto není nutné opakovat.

Podobně jako pro jakýkoli jiný léčivý přípravek předložila společnost studie kvality i pro přípravek Nitisinone MDK. Společnost provedla také studii, která prokázala, že přípravek Nitisinone MDK je bioekvivalentní s referenčním léčivým přípravkem. Dva léčivé přípravky jsou bioekvivalentní, pokud produkují stejné hladiny léčivé látky v těle, a tudíž se u nich předpokládá stejný účinek.

Jaké jsou přínosy a rizika přípravku Nitisinone MDK?

Jelikož přípravek Nitisinone MDK je generikum, které je bioekvivalentní s referenčním léčivým přípravkem, jeho přínosy a rizika se považují za shodné s přínosy a riziky referenčního léčivého přípravku.

Na základě čeho byl přípravek Nitisinone MDK schválen?

Evropská agentura pro léčivé přípravky dospěla k závěru, že v souladu s požadavky Evropské unie bylo prokázáno, že přípravek Nitisinone MDK je kvalitativně srovnatelný a bioekvivalentní s přípravkem Orfadin. Stanovisko výboru CHMP proto bylo takové, že stejně jako u přípravku Orfadin přínosy přípravku Nitisinone MDK převyšují zjištěná rizika. Výbor doporučil, aby přípravek Nitisinone MDK byl schválen k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Nitisinone MDK?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Nitisinone MDK, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Nitisinone MDK

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Nitisinone MendeliKABS platné v celé Evropské unii dne 24. srpna 2017. Název tohoto léčivého přípravku se dne 3. října 2017 změnil na Nitisinone MDK.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Nitisinone MDK je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem Nitisinone MDK naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Na internetových stránkách agentury je rovněž k dispozici plné znění zprávy EPAR pro referenční léčivý přípravek.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 10-2017.

Léčivý přípravek již není registrován