



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/396203/2018  
EMEA/H/C/004582

## Nityr (*nitisinon*)

En oversigt over Nityr, og hvorfor det er godkendt i EU

### Hvad er Nityr, og hvad anvendes det til?

Nityr er et lægemiddel, der anvendes 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 hober sig op i kroppen, hvilket medfører alvorlige leverproblemer og leverkræft.

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

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

### Hvordan anvendes Nityr?

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

Nityr fås som tabletter (10 mg), der tages gennem munden. Den anbefalede startdosis er 1 mg pr. kilogram kropsvægt dagligt.

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

For mere information om brug af Nityr se indlægssedlen, eller kontakt lægen eller apotekspersonalet.

### Hvordan virker Nityr?

Tyrosin nedbrydes i kroppen af en række enzymer. Patienter med HT-1 mangler et af disse enzymer, så tyrosin ikke nedbrydes, som det skal, i deres krop, men i stedet omdannes til skadelige stoffer. Det aktive stof i Nityr, nitisinon, blokerer et enzym, der omdanner tyrosin til skadelige stoffer. Det uomdannede tyrosin forbliver dog i kroppen under behandlingen med Nityr, og patienterne skal derfor



spise en særlig diæt med lavt indhold af tyrosin. Diæten skal også have lavt indhold af phenylalanin, da dette omdannes til tyrosin i kroppen.

## **Hvordan blev Nityr undersøgt?**

Der er allerede foretaget studier over det aktive stofs fordele og risici ved godkendt brug med referencelægemidlet Orfadin, og de behøver ikke at blive gentaget for Nityr.

Som for ethvert andet lægemiddel har virksomheden fremlagt studier af kvaliteten af Nityr. Virksomheden har desuden udført et studie, der viser, at det er "bioækvivalent" med referencelægemidlet. To lægemidler er bioækvivalente, når de giver de samme niveauer af det aktive stof i kroppen, og de derfor forventes at have samme effekt.

## **Hvilke fordele og risici er der forbundet med Nityr?**

Da Nityr er et generisk lægemiddel og er bioækvivalent med referencelægemidlet, anses dets fordele og risici for at være de samme som for referencelægemidlet.

## **Hvorfor blev Nityr godkendt i EU?**

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at det i overensstemmelse med EU's krav er påvist, at Nityr er af sammenlignelig kvalitet og er bioækvivalent med Orfadin. Det var derfor agenturets opfattelse, at fordelene ved Nityr opvejer de identificerede risici som for Orfadin, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

## **Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Nityr?**

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

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Nityr løbende overvåget. Indberettede bivirkninger ved Nityr vurderes omhyggeligt, og der tages de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

## **Andre oplysninger om Nityr**

Yderligere information vedrørende Nityr findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find-medicine/Human-medicines/European-public-assessment-reports](https://ema.europa.eu/Find-medicine/Human-medicines/European-public-assessment-reports). Information om referencelægemidlet findes også på agenturets websted.