



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658311/2017
EMA/H/C/004281

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Nitisinon MDK¹

Nitisinon

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Nitisinon MDK. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Nitisinon MDK zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Nitisinon MDK benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Nitisinon MDK und wofür wird es angewendet?

Nitisinon MDK ist ein Arzneimittel zur Behandlung der angeborenen Tyrosinämie Typ 1 (HT-1). Hierbei handelt es sich um eine seltene Erkrankung, bei der der Körper die Aminosäure Tyrosin nicht vollständig abbauen kann. Dadurch bilden sich schädliche Stoffe, was schwere Leberprobleme und Leberkrebs verursacht.

Nitisinon MDK wird zusammen mit einer Ernährung angewendet, bei der die Aufnahme der Aminosäuren Tyrosin und Phenylalanin eingeschränkt ist. Diese Aminosäuren sind normalerweise in den Eiweißen von Lebensmitteln und Getränken enthalten.

Nitisinon MDK ist ein „Generikum“. Dies bedeutet, dass Nitisinon MDK denselben Wirkstoff enthält und auf dieselbe Weise wirkt wie ein bereits in der Europäischen Union (EU) zugelassenes „Referenzarzneimittel“, Orfadin. Weitere Informationen über Generika finden Sie in dem Frage- und Antwort-Dokument [hier](#).

Nitisinon MDK enthält den Wirkstoff Nitisinon.

¹ Früher: Nitisinon MendeliKABS



Wie wird Nitisinon MDK angewendet?

Nitisinon MDK ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte Ärzten eingeleitet und überwacht werden, die Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit HT-1 besitzen. Die Behandlung sollte so früh wie möglich eingeleitet werden, und die Dosis von Nitisinon MDK ist je nach Ansprechen und Körpergewicht des Patienten anzupassen.

Nitisinon MDK ist als Kapseln (2 mg, 5 mg und 10 mg) erhältlich. Die empfohlene Anfangsdosis beträgt täglich je 1 mg pro Kilogramm Körpergewicht. Die Kapseln werden normalerweise im Ganzen geschluckt, sie können jedoch geöffnet und der Inhalt kann unmittelbar vor der Einnahme mit einer geringen Menge Wasser oder Diätflüssigkeit gemischt werden.

Nitisinon MDK ist zur Langzeitanwendung bestimmt. Die Patienten müssen mindestens alle sechs Monate untersucht werden.

Wie wirkt Nitisinon MDK?

Tyrosin wird im Körper durch eine Reihe von Enzymen abgebaut. Patienten mit HT-1 fehlt eines dieser Enzyme, so dass das Tyrosin nicht richtig abgebaut, sondern in schädliche Stoffe umgewandelt wird. Der Wirkstoff in Nitisinon MDK, Nitisinon, blockiert ein Enzym, das Tyrosin in schädliche Stoffe umwandelt. Da das nicht umgewandelte Tyrosin jedoch während der Behandlung mit Nitisinon MDK im Körper verbleibt, müssen die Patienten eine spezielle tyrosinarme Ernährung einhalten. Die Ernährung darf auch nur wenig Phenylalanin enthalten, da dieses im Körper in Tyrosin umgewandelt wird.

Wie wurde Nitisinon MDK untersucht?

Studien zum Nutzen und den Risiken des Wirkstoffs den genehmigten Anwendungsgebieten wurden bereits für das Referenzarzneimittel, Orfadin, durchgeführt und müssen daher für Nitisinon MDK nicht wiederholt werden.

Wie bei jedem Arzneimittel legte das Unternehmen Studien zur Qualität von Nitisinon MDK vor. Das Unternehmen hat ferner eine Studie durchgeführt, die zeigt, dass es mit dem Referenzarzneimittel „bioäquivalent“ ist. Zwei Arzneimittel sind bioäquivalent, wenn sie im Körper zu denselben Wirkstoffkonzentrationen führen und daher davon ausgegangen werden kann, dass sie dieselbe Wirkung haben.

Welcher Nutzen und welche Risiken sind mit Nitisinon MDK verbunden?

Da Nitisinon MDK ein Generikum und mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist, wird davon ausgegangen, dass es den gleichen Nutzen und die gleichen Risiken wie das Referenzarzneimittel aufweist.

Warum wurde Nitisinon MDK zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass gemäß den Anforderungen der EU für Nitisinon MDK der Nachweis erbracht wurde, dass es eine mit Orfadin vergleichbare Qualität aufweist und mit Orfadin bioäquivalent ist. Die Agentur war daher der Ansicht, dass wie bei Orfadin der Nutzen gegenüber den festgestellten Risiken überwiegt, und empfahl, mit Nitisinon MDK zur Anwendung in der EU zuzulassen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Nitisinon MDK ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Nitisinon MDK, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Nitisinon MDK

Am 24. August 2017 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Nitisinon MendeliKABS in der gesamten Europäischen Union. Der Produktname wurde am 3. Oktober 2017 in Nitisinon MDK geändert.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Nitisinon MDK finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Nitisinon MDK benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für das Referenzarzneimittel finden Sie ebenfalls auf der Website der Agentur.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 10-2017 aktualisiert.