



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658312/2017
EMA/H/C/004281

Περίληψη EPAR για το κοινό

Nitisinone MDK¹

nitisinone

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Nitisinone MDK. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Nitisinone MDK.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Nitisinone MDK, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευτούν το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Nitisinone MDK και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Nitisinone MDK χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με διαβήτη τύπου 1. Πρόκειται για μια σπάνια ασθένεια κατά την οποία ο οργανισμός αδυνατεί να διασπάσει πλήρως το αμινοξύ τυροσίνη, με αποτέλεσμα να παράγονται επιβλαβείς ουσίες, προκαλώντας σοβαρές μορφές ηπατικά προβλήματα και καρκίνο του ήπατος.

Το Nitisinone MDK χορηγείται παράλληλα με δίαιτα που περιορίζει την πρόσληψη των αμινοξέων τυροσίνη και φαινυλαλανίνη. Τα αμινοξέα αυτά υπάρχουν στις πρωτεΐνες τροφών και ποτών.

Το Nitisinone MDK είναι «γενόσημο φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι το Nitisinone MDK περιέχει την ίδια δραστική ουσία και δρα κατά τον ίδιο τρόπο όπως και το «φάρμακο αναφοράς» που είναι ήδη εγκεκριμένο στην Ευρωπαϊκή Ένωση (ΕΕ) και ονομάζεται Orfadin. Περισσότερες πληροφορίες για τα γενόσημα φάρμακα περιέχονται στο κείμενο ερωτήσεων-απαντήσεων που διατίθεται [εδώ](#).

Το Nitisinone MDK περιέχει τη δραστική ουσία nitisinone.

¹ Παλαιότερα ονομαζόταν Nitisinone MendeliKABS



Πώς χρησιμοποιείται το Nitisinone MDK;

Το Nitisinone MDK χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρούς με πείρα στη διαχείριση του διαβήτη τύπου 1. Η θεραπεία πρέπει να ξεκινά το συντομότερο δυνατό και η δόση του Nitisinone MDK πρέπει να προσαρμόζεται ανάλογα με την ανταπόκριση και το σωματικό βάρος του ασθενούς.

Το Nitisinone MDK διατίθεται σε μορφή καψακίων (2 mg, 5 mg και 10 mg). Η συνιστώμενη δόση έναρξης είναι 1 mg ανά χιλιόγραμμο σωματικού βάρους την ημέρα. Τα καψάκια συνήθως καταπίνονται ολόκληρα, εντούτοις μπορούν να ανοιχθούν και το περιεχόμενό τους να αναμιχθεί με μικρή ποσότητα νερού ή ροφήματος αμέσως πριν από την κατάποση.

Το Nitisinone MDK προορίζεται για μακροχρόνια χρήση. Οι ασθενείς πρέπει να παρακολουθούνται τουλάχιστον κάθε έξι μήνες.

Πώς δρα το Nitisinone MDK;

Η τυροσίνη διασπάται στον οργανισμό από διάφορα ένζυμα. Οι ασθενείς με HT1 παρουσιάζουν έλλειψη ενός από αυτά τα ένζυμα, με αποτέλεσμα η τυροσίνη να μην αποβάλλεται επαρκώς, αλλά να μετατρέπεται σε επιβλαβείς ουσίες. Η δραστική ουσία του Nitisinone MDK, η nitisinone, αναστέλλει τη λειτουργία ενός ενζύμου που μετατρέπει την τυροσίνη σε επιβλαβείς ουσίες. Ωστόσο, καθώς η τυροσίνη παραμένει στον οργανισμό κατά την αγωγή με Nitisinone MDK, οι ασθενείς πρέπει να ακολουθούν ειδική δίαιτα χαμηλής περιεκτικότητας σε τυροσίνη. Η δίαιτα πρέπει επίσης να είναι χαμηλής περιεκτικότητας σε φαινυλαλανίνη, καθώς η τελευταία μετατρέπεται σε τυροσίνη στον οργανισμό.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Nitisinone MDK;

Έχουν ήδη διεξαχθεί μελέτες για το φάρμακο αναφοράς Orfadin, προκειμένου να καταδειχθούν τα οφέλη και οι κίνδυνοι της δραστικής ουσίας για τις εγκεκριμένες ενδείξεις και δεν χρειάζεται να επαναληφθούν για το Nitisinone MDK.

Όπως απαιτείται για κάθε φάρμακο, η εταιρεία προσκόμισε δεδομένα μελετών για την ποιότητα του Nitisinone MDK. Η εταιρεία διεξήγαγε επίσης μελέτη προκειμένου να αποδειχθεί η «βιοϊσοδυναμία» του με το φάρμακο αναφοράς. Δύο φάρμακα είναι βιοϊσοδύναμα όταν παράγουν τα ίδια επίπεδα δραστικής ουσίας στον οργανισμό και επομένως αναμένεται ότι θα έχουν το ίδιο αποτέλεσμα.

Ποια είναι τα οφέλη και οι κίνδυνοι του Nitisinone MDK;

Δεδομένου ότι το Nitisinone MDK είναι γενόσημο φάρμακο και βιοϊσοδύναμο με το φάρμακο αναφοράς, τα οφέλη και οι κίνδυνοι που συνδέονται με αυτό ταυτίζονται με τα οφέλη και τους κινδύνους του φαρμάκου αναφοράς.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Nitisinone MDK;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι, σύμφωνα με τις απαιτήσεις της ΕΕ, έχει αποδειχθεί ότι το Nitisinone MDK είναι συγκρίσιμης ποιότητας και βιοϊσοδύναμο με το Orfadin. Ως εκ τούτου, όπως ισχύει για το Orfadin, ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη του φαρμάκου υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό. Ο Οργανισμός εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του Nitisinone MDK στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nitisinone MDK;

Οι συστάσεις τις οποίες θα πρέπει να ακολουθήσουν και οι προφυλάξεις τις οποίες θα πρέπει να λάβουν οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας και οι ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nitisinone MDK έχουν συμπεριληφθεί στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του φαρμάκου.

Λοιπές πληροφορίες για το Nitisinone MDK

Στις 24 Αυγούστου 2017 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Nitisinone MendeliKABS. Το φάρμακο μετονομάστηκε σε Nitisinone MDK στις 3 Οκτώβριος 2017.

Η πλήρης EPAR του Nitisinone MDK διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Nitisinone MDK, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η πλήρης EPAR του φαρμάκου αναφοράς διατίθεται επίσης στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 10-2017.