



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nityr (*nitisinonum*)

Přehled pro přípravek Nityr a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Nityr a k čemu se používá?

Nityr je léčivý přípravek používaný k léčbě hereditární tyrosinemie typu 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 Nityr se dodržuje dieta, která omezuje přísun aminokyselin tyrosinu a fenylalaninu. Tyto aminokyseliny se běžně nacházejí v bílkovinách obsažených v potravě a nápojích.

Přípravek Nityr obsahuje léčivou látku nitisinon a je to „generikum“. Znamená to, že přípravek Nityr obsahuje stejnou léčivou látku a účinkuje stejným způsobem jako „referenční léčivý přípravek“, který je již v EU registrován, a sice přípravek Orfadin. Více informací o generických léčivých přípravcích naleznete v příslušném dokumentu otázek a odpovědí [zde](#).

Jak se přípravek Nityr používá?

Výdej přípravku Nityr je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s HT-1. Léčba by měla být zahájena co nejdříve, přičemž dávku přípravku Nityr je třeba přizpůsobit reakci pacienta na léčbu a jeho tělesné hmotnosti.

Přípravek Nityr je dostupný ve formě 10mg tablet, které se užívají ústy. Doporučená počáteční dávka je 1 mg na kilogram tělesné hmotnosti denně.

Přípravek Nityr je určen k dlouhodobému použití. Pacienti by měli nejméně každých 6 měsíců absolvovat kontrolu.

Více informací o používání přípravku Nityr naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Nityr působí?

Tyrosin se v těle rozkládá pomocí celé řady enzymů. Pacienti s HT-1 mají nedostatek jednoho z těchto enzymů, takže tyrosin se náležitě neodstraňuje a přeměňuje se na škodlivé látky. Léčivá látka v přípravku Nityr, nitisinon, blokuje enzym, který přeměňuje tyrosin na škodlivé látky. Vzhledem



k tomu, že nepřeměněný tyrosin v těle v průběhu léčby přípravkem Nityr zůstává, však musejí pacienti dodržovat speciální dietu s nízkým obsahem tyrosinu. Tato dieta musí mít rovněž nízký obsah fenylalaninu, neboť ten se v těle mění na tyrosin.

Jak byl přípravek Nityr zkoumán?

Studie přínosů a rizik s léčivou látkou ve schváleném použití již byly provedeny s referenčním léčivým přípravkem Orfadin, a nemusí se tedy opakovat s přípravkem Nityr.

Stejně jako u všech léčivých přípravků provedla společnost studie kvality přípravku Nityr. Společnost provedla také studii, která prokázala, že tento přípravek je bioekvivalentní s referenčním léčivým přípravkem. Dva léčivé přípravky jsou bioekvivalentní, pokud produkují stejné hladiny léčivé látky v těle, a proto se očekává, že budou mít stejný účinek.

Jaké jsou přínosy a rizika přípravku Nityr?

Jelikož přípravek Nityr 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 Nityr registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky dospěla k závěru, že v souladu s požadavky EU bylo prokázáno, že přípravek Nityr je kvalitativně srovnatelný a bioekvivalentní s přípravkem Orfadin. Stanovisko agentury proto bylo takové, že stejně jako u přípravku Orfadin přínosy přípravku Nityr převyšují zjištěná rizika a může tak být registrován k použití v EU.

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

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

Jako u všech léčivých přípravků, údaje o používání přípravku Nityr jsou průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Nityr jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Nityr

Další informace k přípravku Nityr jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Na internetových stránkách agentury jsou rovněž k dispozici informace o referenčním léčivém přípravku.