



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nityr (*Nitisinon*)

Übersicht über Nityr und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Nityr und wofür wird es angewendet?

Nityr ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung der angeborenen Tyrosinämie Typ 1 (HT-1) angewendet wird. 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.

Nityr 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.

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

Wie wird Nityr angewendet?

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

Nityr ist in Form von 10 mg-Tabletten zum Einnehmen erhältlich. Die empfohlene Anfangsdosis beträgt 1 mg pro Kilogramm Körpergewicht pro Tag.

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

Weitere Informationen zur Anwendung von Nityr entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.



Wie wirkt Nityr?

Tyrosin wird im Körper durch eine Reihe von Enzymen abgebaut. Patienten mit HT-1 fehlt eines dieser Enzyme, sodass das Tyrosin nicht richtig abgebaut, sondern in schädliche Stoffe umgewandelt wird. Der Wirkstoff in Nityr, Nitisinon, blockiert ein Enzym, das Tyrosin in schädliche Stoffe umwandelt. Da das nicht umgewandelte Tyrosin jedoch während der Behandlung mit Nityr 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 Nityr untersucht?

Studien zu Nutzen und Risiken des Wirkstoffes in der zugelassenen Anwendung wurden bereits mit dem Referenzarzneimittel Orfadin durchgeführt und müssen für Nityr nicht wiederholt werden.

Wie für jedes Arzneimittel, hat das Unternehmen Studien zur Qualität von Nityr vorgelegt. Das Unternehmen hat ebenfalls eine Studie durchgeführt, die ergab, dass Nityr mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist. Zwei Arzneimittel sind bioäquivalent, wenn sie die gleichen Wirkstoffspiegel im Körper bewirken und daher zu erwarten ist, dass sie die gleiche Wirkung haben.

Welcher Nutzen und welche Risiken sind mit Nityr verbunden?

Da Nityr 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 Nityr in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass gemäß den Anforderungen der EU für Nityr 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 von Nityr gegenüber den festgestellten Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

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

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

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Nityr kontinuierlich überwacht. Gemeldete Nebenwirkungen von Nityr werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Nityr

Weitere Informationen zu Nityr finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Informationen zum Referenzarzneimittel finden Sie ebenfalls auf den Internetseiten der Agentur.