



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nityr (*nitisinone*)

Ανασκόπηση του Nityr και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Nityr και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Nityr χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της κληρονομικής τυροσιναιμίας τύπου 1 (HT-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 σοβαρής μορφής ηπατικά προβλήματα και καρκίνο του ήπατος.

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

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

Πώς χρησιμοποιείται το Nityr;

Το Nityr χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στη διαχείριση της HT-1. Η θεραπεία πρέπει να ξεκινά το συντομότερο δυνατόν και η δόση του Nityr πρέπει να προσαρμόζεται ανάλογα με την ανταπόκριση και το σωματικό βάρος του ασθενούς.

Το Nityr διατίθεται υπό μορφή δισκίων των 10 mg για χορήγηση από το στόμα. Η συνιστώμενη δόση έναρξης είναι 1 mg ανά κιλό σωματικού βάρους την ημέρα.

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

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Nityr, δείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.



Πώς δρα το Nityr;

Η τυροσίνη διασπάται στον οργανισμό από διάφορα ένζυμα. Οι ασθενείς με HT-1 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 Nityr, η νιτισινόνη, αναστέλλει τη λειτουργία ενός ενζύμου που μετατρέπει την τυροσίνη σε επιβλαβείς ουσίες. Ωστόσο, καθώς η τυροσίνη παραμένει στον οργανισμό κατά την αγωγή με Nityr, οι ασθενείς πρέπει να ακολουθούν ειδική διαίτα χαμηλής περιεκτικότητας σε τυροσίνη. Η διαίτα πρέπει επίσης να είναι χαμηλής περιεκτικότητας σε φαινυλαλανίνη, καθώς η τελευταία μετατρέπεται σε τυροσίνη στον οργανισμό.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Nityr;

Έχουν ήδη πραγματοποιηθεί μελέτες για το φάρμακο αναφοράς Orfadin, προκειμένου να καταδειχθούν τα οφέλη και οι κίνδυνοι της δραστικής ουσίας για την εγκεκριμένη χρήση και δεν χρειάζεται να επαναληφθούν για το Nityr.

Όπως απαιτείται για κάθε φάρμακο, η εταιρεία προσκόμισε μελέτες για την ποιότητα του Nityr. Η εταιρεία διεξήγαγε επίσης μελέτη προκειμένου να αποδειχθεί η «βιοϊσοδυναμία» 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 Nityr;

Δεδομένου ότι το Nityr 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 Nityr στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι, σύμφωνα με τις απαιτήσεις της ΕΕ, έχει αποδειχθεί ότι το Nityr είναι συγκρίσιμης ποιότητας και βιοϊσοδύναμο με το Orfadin. Ως εκ τούτου, η άποψη του Οργανισμού ήταν ότι, όπως για το Orfadin, τα οφέλη του Nityr υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Nityr;

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

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Nityr παρακολουθούνται συνεχώς. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Nityr αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Nityr

Περισσότερες πληροφορίες για το Nityr διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Πληροφορίες για το φάρμακο αναφοράς διατίθενται επίσης στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού.