



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nityr (*nitisinoni*)

Yleisiä tietoja Nityristä sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Nityr on ja mihin sitä käytetään?

Nityr on lääke, jota käytetään perinnöllisen tyypin 1 tyrosinemian (HT-1) hoitoon. Se on harvinainen sairaus, jossa keho ei pysty täysin pilkkomaan aminohappotyrosiinia, mikä johtaa haitallisten aineiden muodostumiseen aiheuttaen vakavia maksaongelmia ja maksasyöpää.

Nityriä käytetään yhdistettynä ruokavalioon, jossa rajoitetaan aminohappojen tyrosiiniin ja fenylalaniinin saantia. Näitä aminohappoja on yleensä ruokien ja juomien proteiineissa.

Nityrin vaikuttava aine on nitisinoni, ja se on ns. geneerinen lääkevalmiste. Tämä tarkoittaa sitä, että Nityr sisältää samaa vaikuttavaa ainetta ja vaikuttaa samalla tavoin kuin alkuperäisvalmiste Orfadin, joka on jo saanut myyntiluvan EU:ssa. Lisätietoja geneerisistä lääkkeistä on [kysymyksiä ja vastauksia](#) sisältävässä asiakirjassa.

### Miten Nityriä käytetään?

Nityriä saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon voi aloittaa ja sitä voi valvoa lääkäri, joka on perehtynyt perinnöllisen tyypin 1 tyrosinemian hoitoon. Hoito on aloitettava mahdollisimman varhain, ja Nityr-annosta on mukautettava potilaan hoitovasteen ja kehon painon mukaan.

Nityriä on saatavana 10 mg:n tabletteina, jotka otetaan suun kautta. Suositeltava aloitusannos on 1 mg potilaan painokiloa kohden vuorokaudessa.

Nityr on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön. Potilaita on seurattava vähintään kuuden kuukauden välein.

Lisätietoja Nityrin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Nityr vaikuttaa?

Erilaiset entsyymit pilkkovat tyrosiinia kehossa. HT-1-potilailta puuttuu jokin näistä entsyymeistä, joten tyrosiini ei poistu kehosta täysin, vaan muuntuu haitallisiksi aineiksi. Nityrin vaikuttava aine nitisinoni salpaa entsyymin, joka muuntaa tyrosiinia haitallisiksi aineiksi. Koska muuntumaton tyrosiini kuitenkin säilyy kehossa Nityr-hoidon ajan, potilaiden on oltava erityisruokavaliolla, joka sisältää vähän



tyrosiinia. Ruokavalio ei saa myöskään sisältää paljon fenylalaniinia, koska se muuntuu tyrosiiniksi kehossa.

## **Miten Nityriä on tutkittu?**

Vaikuttavan aineen hyötyjä ja riskejä koskevat tutkimukset on jo suoritettu alkuperäisvalmisteella Orfadin, ja niitä ei ole tarpeen toistaa Nityrin osalta.

Kuten kaikkien lääkkeiden osalta tehdään, yhtiö toimitti Nityrin laatua koskevia tutkimuksia. Yhtiö suoritti myös tutkimuksen, joka osoitti, että se on biologisesti samanarvoinen alkuperäisvalmisteeseen nähden. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne saavat aikaan samat vaikuttavan aineen pitoisuudet elimistössä, jolloin niillä odotetaan olevan sama vaikutus.

## **Mitkä ovat Nityrin hyödyt ja riskit?**

Koska Nityr on geneerinen lääkevalmiste ja biologisesti samanarvoinen alkuperäisvalmisteeseen nähden, sen hyötyjen ja riskien katsotaan olevan samat kuin alkuperäisvalmisteen.

## **Miksi Nityr on hyväksytty EU:ssa?**

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Nityrin on osoitettu olevan laadultaan vastaava ja biologisesti samanarvoinen Orfadinin kanssa Euroopan unionin vaatimusten mukaisesti. Näin ollen virasto katsoi, että Orfadinin tavoin Nityrin hyödyt ovat tunnistettuja riskejä suuremmat, ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

## **Miten voidaan varmistaa Nityrin turvallinen ja tehokas käyttö?**

Suosituksot ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Nityrin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Nityrin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Nityristä ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja suoritetaan kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi.

## **Muita tietoja Nityristä**

Lisää tietoa Nityristä on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Viraston verkkosivustolla on saatavissa tietoa myös alkuperäisvalmisteesta.