



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nityr (*nitizinon*)

A Nityr nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Nityr és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Nityr-t az örökletes, 1-es típusú tirozinémia (HT-1) kezelésére alkalmazzák. Ez egy ritka betegség, amelyben a szervezet nem tudja teljes mértékben lebontani a tirozin aminosavat, és ezért olyan káros anyagok keletkeznek, amelyek súlyos májproblémákat és májrákot okoznak.

A Nityr-t olyan diétával együtt alkalmazzák, amely korlátozza a tirozin és a fenilalanin aminosavak bevitelét. Ezek az aminosavak általában az ételekben és italokban lévő fehérjékben találhatók.

A Nityr hatóanyagként nitizinont tartalmaz, és „generikus készítmény”. Ez azt jelenti, hogy a Nityr ugyanolyan hatóanyagot tartalmaz és ugyanolyan módon hat, mint egy hasonló, az EU-ban már engedélyezett, Orfadin nevű „referencia-gyógyszer”. A generikus gyógyszerekkel kapcsolatban további információ [ebben](#) a kérdés-válasz dokumentumban található.

Hogyan kell alkalmazni a Nityr-t?

A Nityr csak receptre kapható, és a kezelést HT-1 kezelésében megfelelő gyakorlattal rendelkező orvosnak kell elkezdenie és felügyelnie. A kezelést a lehető legkorábban meg kell kezdeni, a Nityr adagját pedig a beteg terápiás válaszána és testsúlyának megfelelően kell beállítani.

A Nityr szájon át alkalmazandó, 10 mg-os tabletták formájában kapható. Az ajánlott kezdő adag napi 1 mg testtömeg-kilogrammonként.

A Nityr hosszú távú alkalmazásra szolgál. A betegeket legalább hathavonta ellenőrizni kell.

További információért a Nityr alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Nityr?

A szervezetben a tirozin lebontását számos enzim végzi. A HT-1 betegségben szenvedő betegek szervezetében hiányzik ezen enzimek egyike, ezért a tirozin nem bomlik le megfelelően, hanem káros



anyagokká alakul át. A Nityr hatóanyaga, a nitizinin, meggátolja a tirozint káros anyagokká alakító enzim működését. Mivel azonban az át nem alakított tirozin a Nityr-kezelés alatt a szervezetben marad, a betegeknél speciális, alacsony tirozintartalmú diétát kell alkalmazni. Ennek a diétának alacsony fenilalanin-tartalmúnak is kell lennie, mivel a szervezetben a fenilalanin tirozinná alakul át.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Nityr-t?

A hatóanyag előnyeire és kockázataira irányuló vizsgálatokat a jóváhagyott alkalmazásokban már elvégezték a referencia-gyógyszerrel, az Orfadin-nal, így ezeket a Nityr esetében nem szükséges megismételni.

Mint minden gyógyszer esetében, a vállalat a Nityr minőségére vonatkozó vizsgálatokat nyújtott be. A vállalat elvégzett egy további vizsgálatot is, amely igazolta a referencia-gyógyszerrel való biológiai egyenértékűséget. Két gyógyszer akkor biológiailag egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben, így hatásuk várhatóan egyezik.

Milyen előnyökkel és kockázatokkal jár a Nityr alkalmazása?

Mivel a Nityr generikus gyógyszer és biológiailag egyenértékű a referencia-gyógyszerrel, előnyei és kockázatai azonosnak tekinthetők a referencia-gyógyszer előnyeivel és kockázataival.

Miért engedélyezték a Nityr forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az EU követelményeinek megfelelően a Nityr minőségi szempontból összehasonlíthatónak és biológiailag egyenértékűnek bizonyult az Orfadin-nal. Ezért az Európai Gyógyszerügynökségnek az volt a véleménye, hogy az Orfadin-hoz hasonlóan a Nityr előnyei meghaladják annak azonosított kockázatait, és a Nityr forgalomba hozatali engedélye megadható az EU-ban.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Nityr biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Nityr biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Nityr alkalmazása során jelentkező információkat –hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Nityr alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Nityr-rel kapcsolatos egyéb információ

További információ a Nityr gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. A referencia-gyógyszerre vonatkozó információ szintén megtalálható az Ügynökség weboldalán.