



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nityr (*nitisinone*)

Sintesi di Nityr e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Nityr e per cosa si usa?

Nityr è un medicinale utilizzato per il trattamento della tirosinemia ereditaria di tipo 1 (HT-1). Si tratta di una malattia rara nella quale l'organismo è incapace di degradare completamente l'amminoacido tirosina e ciò determina la formazione di sostanze dannose, che causano seri problemi al fegato e cancro del fegato.

Nityr viene utilizzato con una dieta che limita l'assunzione degli amminoacidi tirosina e fenilalanina. Tali amminoacidi sono presenti solitamente nelle proteine di cibi e bevande.

Nityr contiene il principio attivo nitisinone ed è un "medicinale generico". Questo significa che Nityr contiene lo stesso principio attivo e agisce allo stesso modo di un "medicinale di riferimento", già autorizzato nell'UE denominato Orfadin. Per maggiori informazioni sui medicinali generici, cliccare [qui](#).

Come si usa Nityr?

Nityr può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato e controllato da medici esperti nel trattamento di pazienti affetti da HT-1. Il trattamento deve essere avviato il prima possibile e la dose di Nityr deve essere aggiustata in base alla risposta del paziente e al suo peso corporeo.

Nityr è disponibile in compresse da 10 mg da assumere per bocca. La dose iniziale raccomandata è di 1 mg per chilogrammo di peso corporeo al giorno.

Nityr è indicato per un uso a lungo termine. I pazienti devono essere monitorati almeno ogni sei mesi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Nityr, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Nityr?

La tirosina è scomposta nell'organismo da diversi enzimi. I pazienti affetti da HT-1 sono privi di uno di questi enzimi, quindi la tirosina non è adeguatamente eliminata, bensì viene convertita in sostanze dannose. Il principio attivo di Nityr, nitisinone, inibisce un enzima che converte la tirosina in sostanze



dannose. Tuttavia, poiché la tirosina non convertita permane nell'organismo durante il trattamento con Nityr, i pazienti devono seguire una dieta specifica a basso contenuto di questa sostanza. La dieta deve essere povera anche di fenilalanina, poiché quest'ultima viene convertita in tirosina nell'organismo.

Quali studi sono stati effettuati su Nityr?

Studi clinici riguardo i benefici e i rischi del principio attivo per l'uso approvato sono già stati effettuati per il medicinale di riferimento Orfadin e non è necessario ripeterli per Nityr.

Come per qualsiasi medicinale, la ditta fornisce studi di qualità per Nityr. Inoltre, la ditta effettua uno studio che dimostra la "bioequivalenza" col medicinale di riferimento. Due medicinali sono bioequivalenti quando determinano gli stessi livelli di principio attivo nel sangue e ci si aspetta che abbiano la stessa efficacia.

Quali sono i benefici e i rischi di Nityr?

Poiché Nityr è un medicinale generico ed è bioequivalente al medicinale di riferimento, i suoi benefici e rischi sono considerati uguali a quelli del medicinale di riferimento.

Perché Nityr è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso che, conformemente ai requisiti dell'UE, Nityr ha mostrato di possedere qualità paragonabili e di essere bioequivalente a Orfadin. Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che, come nel caso di Orfadin, i benefici di Nityr siano superiori ai rischi individuati e perciò può essere autorizzato per l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Nityr?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Nityr sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Nityr sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Nityr sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Nityr

Maggiori informazioni su Nityr sono disponibili sul sito dell'Agenzia europea per i medicinali: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Anche le informazioni del medicinale di riferimento si trovano sul sito web dell'Agenzia.