



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nityr (*nitizinons*)

*Nityr* pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

### Kas ir *Nityr* un kāpēc tās lieto?

*Nityr* ir zāles, ko lieto, lai ārstētu iedzimtu 1. tipa tirozinēmiju (*HT-1*). Tā ir reta slimība, kuras gadījumā organisms nespēj pilnībā sašķelt aminoskābi tirozīnu, tādēļ veidojas kaitīgas vielas, kas izraisa nopietnus aknu darbības traucējumus un aknu vēzi.

Lietojot *Nityr*, jāievēro diēta ar ierobežotu aminoskābju tirozīna un fenilalanīna saturu. Šīs aminoskābes parasti ir sastopamas olbaltumvielās ēdienu un dzērienu sastāvā.

*Nityr* satur aktīvo vielu nitizinonu un ir "ģenētiskas zāles". Tas nozīmē, ka *Nityr* satur tādu pašu aktīvo vielu un darbojas tāpat kā "atsauces zāles", kas jau ir reģistrētas Eiropas Savienībā (ES) ar nosaukumu *Orfadin*. Sīkāku informāciju par ģenētiskām zālēm skatīt jautājumu un atbilžu dokumentā [šeit](#).

### Kā lieto *Nityr*?

*Nityr* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāpārtrauc ārstam ar pieredzi *HT-1* pacientu ārstēšanā. Ārstēšana jāuzsāk pēc iespējas agrāk, bet *Nityr* deva jāpielāgo atkarībā no pacienta reakcijas un ķermeņa masas.

*Nityr* ir pieejamas kā iekšķīgi lietojamas 10 mg tabletes. Ieteicamā sākumdeva ir 1 mg uz kilogramu ķermeņa masas vienreiz dienā.

*Nityr* ir paredzētas ilgstošai lietošanai. Pacienti jāizmeklē vismaz reizi sešos mēnešos.

Papildu informāciju par *Nityr* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

### Kā *Nityr* darbojas?

Tirozīnu organismā šķel vairāki fermenti. *HT-1* pacientiem trūkst viena no šiem fermentiem, tādēļ tirozīns tiek nevis pareizi izvadīts no organisma, bet gan pārveidots par bīstamām vielām. *Nityr* aktīvā viela nitizinons nomāc tā fermenta darbību, kas tirozīnu pārvērš kaitīgās vielās. Taču, tā kā *Nityr* terapijas laikā nepārveidotais tirozīns paliek organismā, pacientiem jāievēro īpaša diēta ar zemu



tirozīna saturu. Turklāt diētā jābūt zemam fenilalanīna saturam, jo tas organismā tiek pārveidots par tirozīnu.

## **Kā noritēja *Nityr* izpēte?**

Pētījumi par aktīvās vielas ieguvumu un risku apstiprinātajā lietošanā jau ir veikti ar atsauces zālēm *Orfadin*, un ar *Nityr* tie nav jāatkārto.

Tāpat kā visām zālēm, uzņēmums iesniedza pētījumus par *Nityr* kvalitāti. Uzņēmums veica arī pētījumu, kas apliecināja, ka tās ir "bioekvivalentas" atsauces zālēm. Divas zāles ir bioekvivalentas, ja tās nodrošina vienādu aktīvās vielas līmeni organismā, un līdz ar to tām ir sagaidāma vienāda iedarbība.

## **Kāda ir *Nityr* ieguvuma un riska attiecība?**

Tā kā *Nityr* ir ģenēriskas zāles un ir bioekvivalentas atsauces zālēm, to ieguvuma un riska attiecību uzskata par līdzvērtīgu atsauces zāļu ieguvuma un riska attiecībai.

## **Kāpēc *Nityr* tika reģistrētas ES?**

Eiropas Zāļu aģentūra secināja, ka saskaņā ar ES prasībām *Nityr* ir pierādīta salīdzināma kvalitāte un bioekvivalence ar *Orfadin*. Tāpēc aģentūra uzskatīja, ka, tāpat kā *Orfadin* gadījumā, *Nityr* ieguvums pārsniedz identificēto risku, un tās var reģistrēt lietošanai ES.

## **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Nityr* lietošanu?**

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Nityr* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Nityr* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Nityr* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

## **Cita informācija par *Nityr***

Sīkāka informācija par *Nityr* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Aģentūras tīmekļa vietnē ir atrodama arī informācija par atsauces zālēm.