



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nityr (*nitisinon*)

Een overzicht van Nityr en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Nityr en wanneer wordt het voorgeschreven?

Nityr is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van erfelijke tyrosinemie type 1 (HT-1). Dit is een zeldzame ziekte waarbij het lichaam niet in staat is het aminozuur tyrosine volledig af te breken, zodat schadelijke stoffen gevormd worden die ernstige leverproblemen en leverkanker veroorzaken.

Nityr wordt gebruikt in combinatie met een dieet dat arm is aan de aminozuren tyrosine en fenylalanine. Deze aminozuren komen gewoonlijk voor in eiwitten in voedsel en dranken.

Nityr bevat de werkzame stof nitisinon en is een 'generiek geneesmiddel'. Dit betekent dat Nityr dezelfde werkzame stof bevat en hetzelfde werkt als een 'referentiegeneesmiddel' dat al in de EU is toegelaten onder de naam Orfadin. Meer informatie over generieke geneesmiddelen vindt u in het [vraag-en-antwoorddocument](#).

Hoe wordt Nityr gebruikt?

Nityr is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling mag alleen worden gestart en gecontroleerd door artsen met ervaring in de behandeling van HT-1. Met de behandeling moet zo vroeg mogelijk worden begonnen en de dosering van Nityr moet worden aangepast overeenkomstig de respons en het lichaamsgewicht van de patiënt.

Nityr is verkrijgbaar in de vorm van tabletten van 10 mg voor inname via de mond. De aanbevolen aanvangsdosis is 1 mg per kilogram lichaamsgewicht per dag.

Nityr is bedoeld voor langdurig gebruik. De patiënten moeten minstens éénmaal in de zes maanden worden gecontroleerd.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Nityr.



Hoe werkt Nityr?

Tyrosine wordt in het lichaam afgebroken door een aantal enzymen. Bij patiënten met HT-1 ontbreekt een van deze enzymen en daardoor wordt tyrosine in hun lichaam niet op de juiste wijze geëlimineerd, maar omgezet in schadelijke stoffen. De werkzame stof in Nityr, nitisinon, blokkeert een enzym dat tyrosine omzet in schadelijke stoffen. Aangezien er echter niet-omgezette tyrosine in het lichaam achterblijft tijdens de behandeling met Nityr, moeten patiënten een speciaal tyrosine-arm dieet volgen. Het dieet moet eveneens arm zijn aan fenylalanine, aangezien dit in het lichaam wordt omgezet in tyrosine.

Hoe is Nityr onderzocht?

De voordelen en risico's van de werkzame stof in de goedgekeurde toepassing zijn reeds onderzocht in studies met het referentiegeneesmiddel, Orfadin, en hoeven dus niet nogmaals te worden onderzocht voor Nityr.

Zoals voor elk geneesmiddel heeft het bedrijf studies naar de kwaliteit van Nityr overgelegd. Het heeft tevens een studie verricht die heeft aangetoond dat het geneesmiddel 'bio-equivalent' is aan het referentiegeneesmiddel. Twee geneesmiddelen zijn bio-equivalent wanneer ze dezelfde concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceren en daarom naar verwachting hetzelfde effect zullen hebben.

Welke voordelen en risico's heeft Nityr?

Aangezien Nityr een generiek geneesmiddel is en biologisch gelijkwaardig aan het referentiegeneesmiddel, worden de voordelen en risico's van het middel geacht dezelfde te zijn als die van het referentiegeneesmiddel.

Waarom is Nityr geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat overeenkomstig de EU-eisen is aangetoond dat Nityr van vergelijkbare kwaliteit is als en biologisch gelijkwaardig aan Orfadin. Daarom was het bureau van mening dat, net zoals voor Orfadin, het voordeel van Nityr groter is dan het vastgestelde risico en Nityr geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Nityr te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Nityr, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Nityr continu gemonitord. Bijwerkingen waargenomen voor Nityr worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Nityr

Meer informatie over Nityr is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Informatie over het referentiegeneesmiddel staat eveneens op de website van het Geneesmiddelenbureau.

