



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nityr (*nitizinón*)

Prehľad o lieku Nityr a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Nityr a na čo sa používa?

Liek Nityr sa používa na liečbu dedičnej tyrozinémie 1. typu (HT-1). Ide o zriedkavú chorobu, pri ktorej telo nie je schopné úplne rozložiť aminokyselinu tyrozín, pričom vznikajú škodlivé látky, čo spôsobuje vážne problémy s pečeňou a rakovinu pečene.

Liek Nityr sa používa spolu s diétou, ktorá obmedzuje príjem aminokyselín tyrozinu a fenylalanínu. Tieto aminokyseliny sa normálne nachádzajú v proteínoch v strave a v nápojoch.

Liek Nityr obsahuje účinnú látku nitizinón a je to tzv. generický liek. To znamená, že liek Nityr obsahuje rovnaké liečivo a účinkuje rovnakým spôsobom ako tzv. referenčný liek, ktorý je už v EÚ povolený pod názvom Orfadin. Viac informácií o generických liekoch sa nachádza v dokumente s otázkami a odpoveďami [tu](#).

### Ako sa liek Nityr užíva?

Výdaj lieku Nityr je viazaný na lekársky predpis a liečbu majú začať a sledovať lekári, ktorí majú skúsenosti s liečbou pacientov s HT-1. Liečba sa má začať čo najskôr a dávka lieku Nityr sa má upraviť podľa odpovede pacienta a jeho telesnej hmotnosti.

Liek Nityr je dostupný vo forme 10 mg tabliet, ktoré sa užívajú ústami. Odporúčaná začiatková dávka je 1 mg na kilogram telesnej hmotnosti denne.

Liek Nityr je určený na dlhodobé používanie. Pacienti majú byť kontrolovaní najmenej každých šesť mesiacov.

Viac informácií o používaní lieku Nityr si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

### Akým spôsobom liek Nityr účinkuje?

Tyrozín v tele rozkladajú viaceré enzýmy. Pacientom s HT1 jeden z týchto enzýmov chýba, a preto sa tyrozín náležite neodstráni, ale zmení sa na škodlivé látky. Účinná látka lieku Nityr, nitizinón, blokuje enzým, ktorý mení tyrozín na škodlivé látky. Keďže však nezmenený tyrozín ostáva počas liečby liekom



Nityr v tele, pacienti musia dodržiavať osobitnú diétu s nízkym obsahom tyrozínu. Táto diéta sa takisto musí vyznačovať nízkym obsahom fenylalanínu, pretože táto látka sa v tele mení na tyrozín.

## **Ako bol liek Nityr skúmaný?**

Štúdie, v ktorých sa skúmajú prínosy a riziká liečiva pri schválenom použití, sa už uskutočnili pri referenčnom lieku Orfadin, a nemusia sa opakovať pre liek Nityr.

Ako pre každý liek, aj pre liek Nityr predložila spoločnosť štúdie o kvalite. Spoločnosť takisto uskutočnila štúdiu, v ktorej sa preukázala tzv. biologická rovnocennosť lieku s referenčným liekom. Dva lieky sú biologicky rovnocenné, keď v tele produkujú rovnaké hladiny liečiva, a preto sa očakáva, že majú rovnaký účinok.

## **Aké sú prínosy a riziká spájané s liekom Nityr?**

Keďže liek Nityr je generický liek a je biologicky rovnocenný s referenčným liekom, jeho prínosy a riziká sa považujú za rovnaké ako v prípade referenčného lieku.

## **Prečo bol liek Nityr povolený v EÚ?**

Európska agentúra pre lieky dospela k záveru, že v súlade s požiadavkami EÚ bola preukázaná porovnateľná kvalita a biologická rovnocennosť lieku Nityr s liekom Orfadin. Agentúra preto usúdila, že tak, ako v prípade lieku Orfadin, prínos lieku Nityr je väčší než identifikované riziká a môže byť povolený na používanie v EÚ.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Nityr?**

Na bezpečné a účinné používanie lieku Nityr boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Nityr sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Nityr sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Nityr**

Ďalšie informácie o lieku Nityr sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Informácie o referenčnom lieku sa takisto nachádzajú na webovej stránke agentúry.