



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Nityr (*nitizinon*)

Pregled zdravila Nityr in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Nityr in za kaj se uporablja?

Nityr je zdravilo za zdravljenje dedne tirozinemije tipa 1 (HT-1). To je redka bolezen, pri kateri telo ni sposobno popolnoma razgraditi aminokislino tirozin, zaradi česar nastajajo škodljive snovi, ki povzročajo hude težave z jetri in raka jeter.

Zdravilo Nityr se uporablja skupaj z dieto, ki omejuje vnos aminokislin tirozin in fenilalanin. Te aminokislino so običajno prisotne v beljakovinah v hrani in pijači.

Zdravilo Nityr vsebuje učinkovino nitizinon in je „generično zdravilo“. To pomeni, da vsebuje enako učinkovino in deluje na enak način kot „referenčno zdravilo“, ki je že odobreno v EU in se imenuje Orfadin. Za več informacij o generičnih zdravilih si oglejte dokument z vprašanji in odgovori, ki je na voljo [tukaj](#).

Kako se zdravilo Nityr uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Nityr je le na recept, zdravljenje z njim pa lahko uvede in nadzoruje le zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem bolnikov z dedno tirozinemijo tipa 1. Zdravljenje je treba začeti čim prej, odmerek zdravila Nityr pa je treba prilagoditi bolnikovemu odzivu in telesni masi.

Na voljo je v obliki 10-miligramskih tablet, ki se jemljejo peroralno. Priporočeni začetni odmerek znaša 1 mg na kilogram telesne mase dnevno.

Zdravilo Nityr je namenjeno dolgotrajni uporabi. Bolnike je treba pregledati vsaj vsakih šest mesecev.

Za več informacij glede uporabe zdravila Nityr glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Nityr deluje?

Tirozin v telesu razgrajujejo številni encimi. Bolniki z dedno tirozinemijo tipa 1 nimajo enega od teh encimov, zato se tirozin v njihovem telesu ne razgradi ustrezno, ampak se pretvori v škodljive snovi. Učinkovina v zdravilu Nityr, nitizinon, zavira encim, ki pretvarja tirozin v škodljive snovi. Ker pa tirozin med zdravljenjem z zdravilom Nityr ostane v telesu, potrebujejo bolniki posebno dieto z nizko



vsebnostjo tirozinov. Dieta mora vsebovati tudi čim manj fenilalanina, saj se ta v telesu pretvarja v tirozin.

Kako je bilo zdravilo Nityr raziskano?

Študije o koristih in tveganjih učinkovine pri odobrenem načinu uporabe so že bile izvedene z referenčnim zdravilom Orfadin, zato jih ni treba ponoviti za zdravilo Nityr.

Tako kot za vsako zdravilo je podjetje predložilo študije o kakovosti zdravila Nityr. Podjetje je izvedlo tudi študijo, ki je pokazala, da je zdravilo „bioekvivalentno“ referenčnemu zdravilu. Dve zdravili sta bioekvivalentni, kadar dosejata enake ravni učinkovine v telesu in se zato pričakuje, da bosta imeli enak učinek.

Kakšne so koristi in tveganja zdravila Nityr?

Ker je zdravilo Nityr generično zdravilo in je bioekvivalentno referenčnemu zdravilu, so njegove koristi in tveganja enaki kot pri referenčnem zdravilu.

Zakaj je bilo zdravilo Nityr odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da je bilo v skladu z zahtevami EU dokazano, da ima zdravilo Nityr primerljivo raven kakovosti in je bioekvivalentno z zdravilom Orfadin. Zato je agencija menila, da koristi zdravila Nityr, enako kot pri zdravilu Orfadin, odtehtajo znana tveganja in se zdravilo lahko odobri v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Nityr?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Nityr upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Nityr stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Nityr, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Nityr

Nadaljnje informacije za zdravilo Nityr so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Informacije o referenčnem zdravilu so prav tako na voljo na spletni strani agencije.