



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Nityr (*nitisinon*)

Sammanfattning av Nityr och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Nityr och vad används det för?

Nityr är ett läkemedel som används för att behandla hereditär tyrosinemi typ 1 (HT-1). Detta är en sällsynt sjukdom där kroppen inte helt kan bryta ned aminosyran tyrosin, med följderna att skadliga ämnen bildas, vilket orsakar allvarliga leverproblem och levercancer.

Nityr tas tillsammans med en diet som begränsar intaget av aminosyrorna tyrosin och fenylalanin. Dessa aminosyror finns normalt i proteiner i mat och dryck.

Nityr innehåller den aktiva substansen nitisinon och är ett generiskt läkemedel, vilket innebär att Nityr innehåller samma aktiva substans och verkar på samma sätt som ett "referensläkemedel" som redan är godkänt i EU. Referensläkemedlet är Orfadin. Mer information om generiska läkemedel finns i dokumentet med frågor och svar [här](#).

### Hur används Nityr?

Nityr är receptbelagt och behandling ska inledas och kontrolleras av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med HT-1. Behandlingen ska inledas så tidigt som möjligt och dosen av Nityr ska anpassas efter patientens kroppsvikt och hur patienten svarar på behandlingen.

Nityr finns som tabletter på 10 mg som tas genom munnen. Den rekommenderade startdosen är 1 mg/kg kroppsvikt per dag.

Nityr är avsett för långtidsbehandling. Patienterna ska kontrolleras minst var sjätte månad.

För att få mer information om hur du använder Nityr, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

### Hur verkar Nityr?

Tyrosin bryts ned i kroppen av ett antal enzymer. Patienter med HT-1 saknar ett av dessa enzymer, vilket medför att tyrosinet inte bryts ned ordentligt utan omvandlas till skadliga ämnen. Den aktiva substansen i Nityr, nitisinon, blockerar ett enzym som omvandlar tyrosin till skadliga ämnen. Eftersom det oomvandlade tyrosinet finns kvar i kroppen under behandlingen med Nityr måste patienterna dock



följa en speciell diet med låg halt av tyrosin. Också halten av fenylalanin måste vara låg eftersom det omvandlas till tyrosin i kroppen.

## **Hur har Nityrs effekt undersökts?**

Fördelar och risker med den aktiva substansen vid godkänd användning har redan studerats för referensläkemedlet, Orfadin, och behöver inte studeras igen för Nityr.

Liksom för alla läkemedel har företaget lagt fram kvalitetsdata för Nityr. Företaget har också i en studie visat att det är "bioekvivalent" med referensläkemedlet. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen och förväntas därmed ha samma effekt.

## **Vilka är fördelarna och riskerna med Nityr?**

Eftersom Nityr är ett generiskt läkemedel och är bioekvivalent med referensläkemedlet anses dess fördelar och risker vara desamma som för referensläkemedlet.

## **Varför är Nityr godkänt i EU?**

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att det styrkts att Nityr i enlighet med EU:s krav har likvärdig kvalitet och är bioekvivalent med Orfadin. EMA fann därför att fördelarna är större än de konstaterade riskerna, liksom för Orfadin och att Nityr skulle godkännas för användning i EU.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Nityr?**

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Nityr har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för läkemedlet kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Nityr utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder för att skydda patienter vidtas.

## **Mer information om Nityr**

Mer information om Nityr finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Information om referensläkemedlet finns också på EMA:s webbplats.