



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/474482/2015
EMA/H/C/000555

Резюме на EPAR за обществено ползване

Orfadin

nitisinone

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Orfadin. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Orfadin.

Какво представлява Orfadin?

Orfadin е лекарство, което съдържа активното вещество нитисинон (*nitisinone*). Предлага се под формата на капсули (2 mg, 5 mg, 10 mg и 20 mg) и като суспензия (4 mg/ml) за перорално приложение.

За какво се използва Orfadin?

Orfadin се използва за лечение на наследствена тирозинемия тип 1 (HT-1). Това е рядко заболяване, при което организъмът не е способен да разгражда напълно аминокиселината тирозин и се образуват вредни вещества, което причинява сериозни чернодробни проблеми и рак на черния дроб. Orfadin се използва в комбинация с хранителен режим за ограничаване на приема на аминокиселините тирозин и фенилаланин. Обикновено тези аминокиселини се съдържат в белтъците в храната и напитките.

Тъй като броят на пациентите с HT-1 е малък, заболяването се счита за „рядко“ и Orfadin е определен за „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 29 декември 2000 г.

Лекарството се отпуска по лекарско предписание.



Как се използва Orfadin?

Лечението с Orfadin трябва да се започне и наблюдава от лекар с опит в лечението на пациенти с НТ-1. Лечението трябва да се започне възможно най-рано, а дозата Orfadin — да се адаптира според повлияването и телесното тегло на пациента.

Препоръчителната начална доза е 1 mg на килограм телесно тегло на ден, разделена на две дози. Обикновено капсулите се поглъщат цели, но могат да се отварят и съдържанието да се разтвори в малко количество вода или течна храна непосредствено преди приема. Пероралната суспензия е предназначена за деца, които имат затруднения при поглъщането на таблетките.

Orfadin е предназначен за продължителна употреба. Пациентите трябва да се наблюдават най-малко на всеки шест месеца.

Как действа Orfadin?

Тирозин се разгражда в организма от няколко ензима. При пациентите с НТ-1 един от тези ензими липсва и поради това тирозинът не се разгражда правилно, а се преобразува във вредни вещества. Активното вещество в Orfadin, нитисинон, блокира ензима, който преобразува тирозин във вредни вещества. Тъй като обаче тирозин остава в организма по време на лечението с Orfadin, пациентите трябва да спазват специален хранителен режим с ниско съдържание на тирозин. Хранителният режим трябва също да е с ниско съдържание на фенилаланин, тъй като той се преобразува в тирозин в организма.

Как е проучен Orfadin?

Най-голямото проучване на Orfadin е проведено при 257 пациенти в 87 различни болнични заведения в 25 страни като част от програма за „палиативна употреба“. Това е програма, чрез която лекарите могат да поискат дадено лекарство за някои от пациентите, преди лекарството да е напълно одобрено. Проучването разглежда ефекта от Orfadin върху преживяемостта и я сравнява с доклади, публикувани в медицинската литература, описващи преживяемостта при пациенти с НТ-1, които са единствено на модифициран хранителен режим.

Какви ползи от Orfadin са установени в проучванията?

Основната полза от Orfadin е значително удължаване на очакваната преживяемост. Например бебе с НТ-1 на по-малко от два месеца би имало обикновено само 28% шанс да доживее до петгодишна възраст, ако се прилага само модифициран хранителен режим. При допълнително лечение с Orfadin нивото на преживяемост се увеличава до 82%. Колкото по-скоро започне лечението, толкова по-големи са шансовете за преживяемост.

Какви са рисковете, свързани с Orfadin?

Лечението с Orfadin води до високи нива на тирозин в кръвта (поради механизма на действие на лекарството) и тази нежелана лекарствена реакция се наблюдава при повече от 1 на 10 пациенти. Чести (наблюдавани при 1 до 10 на 100 пациенти) са също тромбоцитопения (нисък брой на тромбоцитите), левкопения (ниски нива на белите кръвни клетки), гранулоцитопения (ниски нива на гранулоцитите, вид бели кръвни клетки), конюнктивит (възпаление на обвивката, която покрива вътрешната повърхност на клепачите), помътняване на роговицата (прозрачния слой пред зеницата), кератит (възпаление на роговицата), фотофобия (свръхчувствителност на очите към светлина) и болки в очите. Причината за много от тези нежелани лекарствени реакции може да бъде високите нива на тирозин вследствие от неприемането на подходяща храна от

пациентите. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения, съобщени при Orfadin, вижте листовката.

Защо Orfadin е разрешен за употреба?

CHMP отбеляза, че очевидно Orfadin представлява ефективно лечение за НТ-1, особено ако се започне рано, преди да настъпи увреждане на черния дроб на пациента. С Orfadin се постига също по-добър резултат за пациентите, отколкото докладвания в литературата при пациенти единствено на модифициран хранителен режим. CHMP реши, че ползите от Orfadin са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

Първоначално Orfadin е одобрен при „извънредни обстоятелства“ — тъй като заболяването е рядко, към момента на одобряване наличната информация е ограничена. След като фирмата предостави необходимата допълнителна информация, „извънредните обстоятелства“ са отменени на 21 септември 2009 г.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Orfadin?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Orfadin се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Orfadin, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

Допълнителна информация за Orfadin:

На 21 февруари 2005 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Orfadin, валидно в ЕС.

Пълният текст на EPAR за Orfadin може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. За повече информация относно лечението с Orfadin прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци относно Orfadin може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Дата на последно актуализиране на текста 05-2015.