



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/474487/2015
EMA/H/C/000555

Resumen del EPAR para el público general

Orfadin

nitisinona

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Orfadin. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización y unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

¿Qué es Orfadin?

Orfadin es un medicamento que contiene el principio activo nitisinona. Se presenta en forma de cápsulas (2 mg., 5 mg., 10 mg., y 20 mg.) y de suspensión (4 mg/ml) para tomarse por vía oral.

¿Para qué se utiliza Orfadin?

Orfadin se utiliza en el tratamiento de la tirosinemia hereditaria de tipo 1 (HT-1), Se trata de una enfermedad rara en la que el organismo no es capaz de descomponer el aminoácido tirosina, con lo que se forman sustancias nocivas que provocan problemas hepáticos y cáncer de hígado. Orfadin se administra con una dieta que restringe el aporte de los aminoácidos tirosina y fenilalanina, que se encuentran normalmente en las proteínas de alimentos y bebidas.

Dado el escaso número de pacientes que padecen HT-1, la enfermedad se considera «rara» y Orfadin fue designado «medicamento huérfano» (medicamento utilizado en enfermedades raras) el 29 de diciembre de 2000.

El medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.

¿Cómo se usa Orfadin?

El tratamiento con Orfadin debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con HT1. El tratamiento deberá iniciarse lo antes posible y la dosis de Orfadin se ajustará a la respuesta y el peso corporal del paciente.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



La dosis inicial recomendada es de 1 mg por kilogramo de peso corporal al día, dividida en dos dosis. Las capsulas se tragan generalmente enteras pero se pueden abrir y mezclar su contenido en una pequeña cantidad de agua o de suplemento dietético antes de tragarlo. La solución oral está indicada para pacientes con dificultades para tragar.

Orfadin está destinado a un uso a largo plazo. Los pacientes deberán ser controlados al menos cada seis meses.

¿Cómo actúa Orfadin?

La tirosina se descompone en el organismo mediante la acción de varias enzimas. Los pacientes con HT1 carecen de alguna de estas enzimas por lo que la tirosina en su organismo no se elimina adecuadamente sino que se transforma en sustancias nocivas. El principio activo de Orfadin, la nitisinona, bloquea una enzima que convierte la tirosina en sustancias nocivas. Sin embargo, como la tirosina permanece en el organismo durante el tratamiento con Orfadin, los pacientes necesitan someterse a una dieta especial baja en tirosina. La dieta también necesita ser baja en fenilalanina ya que esta se convierte en tirosina en el organismo.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Orfadin?

El estudio de mayor alcance con Orfadin se realizó en 257 pacientes en 87 hospitales de 25 países, como parte de un programa de «uso compasivo», a través del cual los médicos pueden solicitar un medicamento para uno de sus pacientes antes de que el medicamento haya sido totalmente autorizado. El estudio observó los efectos de Orfadin en la supervivencia, y los comparó con informes publicados en publicaciones médicas que describían el índice de supervivencia de los pacientes con HT1 que solo habían recibido una dieta modificada.

¿Qué beneficio ha demostrado tener Orfadin durante los estudios?

El principal beneficio de Orfadin es la prolongación de la esperanza de vida. Por ejemplo, los bebés menores de dos meses con HT1 tendrían normalmente unas posibilidades del 28 % de vivir cinco años administrándoseles únicamente una dieta modificada. Con un tratamiento adicional con Orfadin la tasa de supervivencia aumenta hasta el 82 %. Cuanto antes se inicie el tratamiento, mayores serán las oportunidades de supervivencia.

¿Cuál es el riesgo asociado a Orfadin?

El tratamiento con Orfadin aumenta los niveles de tirosina en la sangre (debido a la forma en la que el medicamento actúa. Este efecto adverso se ha observado en más de 1 paciente de cada 10. También son frecuentes (observados en entre 1 y 10 de cada 100 pacientes) los siguientes efectos adversos: trombocitopenia (recuentos bajos de plaquetas), leucopenia (pocos glóbulos blancos), granulocitopenia (niveles bajos de granulocitos, un tipo de glóbulo blanco), conjuntivitis (inflamación de la membrana que bordea el párpado), opacidad de la córnea (nublamiento de la córnea, la membrana transparente que hay delante de la pupila), queratitis (inflamación de la córnea), fotofobia (hipersensibilidad de los ojos a la luz) y dolor de ojos. Muchos de estos efectos adversos pueden estar causados por los niveles altos de tirosina si el paciente no toma los alimentos adecuados. Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Orfadin, ver el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Orfadin?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) observó que Orfadin parece ser un tratamiento eficaz de la HT-1, especialmente si se inicia en fases tempranas de la enfermedad, antes de que el hígado del paciente esté demasiado dañado. Orfadin también proporciona a los pacientes un mejor resultado que el descrito en la literatura médica cuando se somete a los pacientes a una dieta modificada. Por lo tanto, el Comité decidió que los beneficios de Orfadin son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

En un principio, Orfadin fue autorizado en «circunstancias excepcionales» ya que, debido a la rareza de la enfermedad, se disponía de información limitada sobre el medicamento en el momento de su autorización. Dichas «circunstancias excepcionales» dejaron de tener validez el 21 de septiembre de 2009, una vez presentada por la empresa la información complementaria que se le había solicitado.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Orfadin?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Orfadin se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, la información sobre seguridad se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Orfadin, incluidas las precauciones pertinentes que deberán seguir los profesionales sanitarios y los pacientes.

Otras informaciones sobre Orfadin

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Orfadin el 21 de febrero de 2005.

El texto completo del EPAR de Orfadin puede encontrarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para más información sobre el tratamiento con Orfadin, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Orfadin puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 05-2015.