



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/474488/2015
EMA/H/C/000555

Kokkuvõte üldsusele

Orfadin

nitisiinon

See on ravimi Orfadin Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Orfadin?

Orfadin on ravim, mis sisaldab toimeainena nitisiinoni. Seda turustatakse kapslitena (2 mg, 5 mg, 10 mg ja 20 mg) ja suukaudse suspensioonina (4 mg/ml).

Milleks Orfadini kasutatakse?

Orfadini kasutatakse päriliku I tüüpi türosineemia (HT-1) raviks. See on haruldane haigus, mille korral organism ei suuda täielikult lagundada aminohapet türosiini, mille tulemusena tekivad kahjulikud ained, mis põhjustavad raskeid maksaprobleeme ja maksavähki. Orfadini kasutatakse koos aminohappeid türosiini ja fenüülalaniini vähe sisaldava dieediga. Need aminohapped on tavalistes toiduvalkudes.

Et HT-1-ga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Orfadin 29. detsembril 2000 harvikravimiks.

Orfadin on retseptiravim.

Kuidas Orfadini kasutatakse?

Ravi Orfadiniga tohib alustada üksnes HT-1-ga patsientide ravis kogenud arst ning ravi peab toimuma tema järelevalve all. Ravi tuleb alustada nii vara kui võimalik ning Orfadini annus tuleb kohandada patsiendi ravivastuse ja kehakaalu järgi.

Soovitav lähteannus on 1 mg kehakaalu kg kohta ööpäevas, jagatuna kaheks annuseks. Kapslid neelatakse tavaliselt tervena, kuid kapsli võib avada ja segada selle sisu vahetult enne sissevõtmist



väikese koguse veega või toiteseguga. Suukaudne lahus on ette nähtud lastele, kes ei suuda neelata kapsleid.

Orfadin on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks. Patsiendi seisundit peab kontrollima iga 6 kuu tagant või sagedamini.

Kuidas Orfadin toimib?

Türosiini lagundab organismis mitu ensüümi. HT-1-ga patsientidel puudub neist üks ensüüm, mille tõttu jääb türosiin organismi ja see muutub kahjulikeks aineteks. Orfadini toimeaine nitisiin blokeerib türosiini kahjulikeks aineteks muutva ensüümi. Et türosiin püsib Orfadini-ravi ajal organismis, vajavad patsiendid siiski eridieeti, mis sisaldab türosiini vähe. Dieedis peab ka fenüülalaniini sisalduma vähe, sest see muutub organismis türosiiniks.

Kuidas Orfadini uuriti?

Orfadini suurim uuring, milles osales 25 riigi 87 haigla 257 patsienti, toimus eriloaga kasutamise programmi alusel. See on programm, mille kaudu arstid võivad taotleda ravimi kasutamist mõnel patsiendil teatud haiguse ravimiseks enne ravimi täieliku müügiloo andmist. Uuringus vaadeldi Orfadini mõju patsientide elulemusele. Uuringu tulemusi võrreldi meditsiini teadusajakirjades avaldatud andmetega nende HT-1-ga patsientide kohta, kes kasutasid ainult eridieeti.

Milles seisneb uuringute põhjal Orfadini kasulikkus?

Orfadini peamine kasulikkus on oluliselt suurenenud elulemus. Näiteks üksnes eridieeti kasutades on HT-1-ga alla 2-kuusel imikul tõenäosus elada 5-aastaseks ainult 28%. Orfadini lisamisel raviskeemile suureneb elulemuse tõenäosus 82%-ni. Mida varem ravi alustatakse, seda suurem on elulemus.

Mis riskid Orfadiniga kaasnevad?

Orfadiniga toimuva ravi tagajärjel suureneb türosiinisisaldus veres (ravimi toimemehhanismi tõttu); see kõrvalnäht esineb enam kui 1 patsiendil 10st. Trombotsütopeenia (vereliistakute vähesus), leukopeenia (vere valgeliblede vähesus), granulotsütopeenia (vere teatud valgeliblede granulotsüütide vähesus), konjunktiviit (silma sidekesta põletik), silma sarvkesta hägusus, keratiit (sarvkestapõletik), fotofoobia (valguskartus) ja silmavalu on samuti sagedad (esinevad 1–10 patsiendil 100st). Neist kõrvalnähtudest mitut põhjustab suur türosiinisisaldus, mis tuleneb valesst toitumisest. Orfadini kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Orfadin heaks kiideti?

Inimravimite komitee märkis, et Orfadin näib olevat HT-1 ravis efektiivne, eelkõige kui selle kasutamist alustatakse vara, enne patsiendi maksa liigset kahjustumist. Orfadin mõjub patsiendile ka paremini kui üksnes eridieet, mille kohta on andmed teaduskirjandusest. Seetõttu otsustas inimravimite komitee, et Orfadini kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloo.

Esialgul kiideti Orfadin heaks erandkorras, sest haigus esineb harva ja ravimi heakskiitmise ajal ei olnud piisavalt teavet. Et ettevõtte esitas soovitud lisateabe, tühistati 21. septembril 2009 müügiloo erandkorras väljastatus.

Mis meetmed võetakse, et tagada Orfadini ohutu ja efektiivne kasutamine?

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Orfadini võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Orfadini omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Muu teave Orfadini kohta

Euroopa Komisjon andis Orfadini müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 21. veebruaril 2005.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Orfadini kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Kui vajate Orfadiniga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Orfadini kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Kokkuvõtte viimane uuendus: 05-2015.