



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/474494/2015  
EMA/H/C/000555

## **EPAR santrauka plačiajai visuomenei**

---

# Orfadin

## nitizinonas

Šis dokumentas yra Orfadin Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Orfadin rinkodaros leidimą ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

### **Kas yra Orfadin?**

Orfadin – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos nitizinono. Gaminamos šio vaisto kapsulės ((2 mg, 5 mg, 10 mg ir 20 mg) ir geriamoji suspensija (4 mg/ml).

### **Kam vartojamas Orfadin?**

Orfadin skirtas paveldimai I tipo (HT-1) tirozinemijai gydyti. Tai reta liga, kuria sergančio paciento organizmas negali iki galo suskaidyti aminorūgšties tirozino ir dėl to organizme susidaro kenksmingos medžiagos, kurios sukelia sunkių kepenų veiklos sutrikimų ir kepenų vėžį. Orfadin vartojamas kartu su dieta, kuria ribojamas aminorūgščių tirozino ir fenilalanino įsisavinimas. Šių amino rūgščių paprastai būna maiste ir gėrimuose esančiuose baltymuose.

Kadangi HT–1 sergančių pacientų yra nedaug, liga laikoma reta ir 2000 m. gruodžio 29 d. Orfadin buvo priskirtas retiesiems (retoms ligoms gydyti skirtiems) vaistams.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

### **Kaip vartoti Orfadin?**

Gydymą Orfadin turi pradėti ir stebėti gydytojai, turintys HT-1 sergančių pacientų gydymo patirties. Gydymą reikia pradėti kuo anksčiau, o Orfadin dozę nustatyti atsižvelgiant į gydymo poveikį pacientui ir jo kūno svorį.



Rekomenduojama pradinė dozė yra 1 mg/kg kūno svorio kartą per parą, dozę padalijus į dvi dalis. Kapsulės paprastai nuryjamos nekramtytos, bet jas galima atidaryti ir jų turinį sumaišyti su trupučiu vandens ar dietinio maisto, o tada nuryti. Geriamoji suspensija skirta vaikams, kuriems sunku ryti.

Orfadin skirtas ilgalaikiam vartojimui. Pacientų būklę reikia įvertinti bent kas šešis mėnesius.

## **Kaip veikia Orfadin?**

Tiroziną organizme skaido įvairūs fermentai. HT-1 sergančių pacientų organizme vieno šių fermentų trūksta, todėl tirozinas nėra iki galo pašalinamas ir virsta kenksmingomis medžiagomis. Orfadin veikloji medžiaga nitizinas slopina fermento, kuris paverčia tiroziną kenksmingomis medžiagomis, veiklą. Tačiau kadangi tirozinas išlieka organizme, Orfadin gydomi pacientai turi laikytis specialios dietos (valgyti maistą, kuriame yra mažai tirozino). Jų vartojamame maiste taip pat turi būti mažai fenilalanino, nes jis organizme virsta tirozinu.

## **Kaip buvo tiriamas Orfadin?**

Didžiausias Orfadin tyrimas atliktas su 257 pacientais iš 87 skirtingų ligoninių 25 šalyse įgyvendinant „labdaringo naudojimo“ programą. Tai programa, suteikianti gydytojams galimybę skirti vaistą pacientams, kol vaisto registravimo procedūra dar nebaigta. Buvo tiriamas Orfadin poveikis pacientų išgyvenamumui ir lyginamas su medicininiuose žurnaluose paskelbtomis ataskaitomis, kuriose aprašytas HT-1 sergančių pacientų išgyvenamumas taikant tik modifikuotą dietą.

## **Kokia Orfadin nauda nustatyta tyrimuose?**

Pagrindinis Orfadin privalumas – ženklus gyvenimo trukmės pailgėjimas. Pavyzdžiui, jaunesnis negu dviejų mėnesių kūdikis, sergantis HT-1, paprastai turi tik 28 proc. tikimybę išgyventi iki penkerių metų taikant vien modifikuotą dietą. Papildomai skiriant gydymą Orfadin, jo išgyvenamumo tikimybė padidėja iki 82 proc. Kuo greičiau pradedamas gydymas, tuo geresnės galimybės išgyventi.

## **Kokia rizika siejama su Orfadin vartojimu?**

Vartojant Orfadin kraujyje susidaro didelė tirozino koncentracija (dėl vaisto veikimo būdo). Šis šalutinis poveikis nustatytas daugiau kaip 1 pacientui iš 10. Kiti dažni šalutiniai reiškiniai (pastebėti 1–10 pacientų iš 100) yra trombocitopenija (sumažėjusi trombocitų koncentracija kraujyje), leukopenija (sumažėjusi baltųjų kraujo kūnelių koncentracija kraujyje), granulocitopenija (sumažėjusi baltųjų kraujo kūnelių granulocitų koncentracija), konjunktyvitas (akies voką dengiančios membranos uždegimas), ragenos susidrumstimas (ragenos skaidraus vyzdžio dangalo susidrumstimas), keratitas (ragenos uždegimas), fotofobija (pernelyg didelis akių jautrumas šviesai) ir akių skausmas. Daugelį šių šalutinių reiškinų gali sukelti dideli tirozino kiekiai, kai pacientai netaisyklingai maitinasi. Išsamų visų Orfadin šalutinių reiškinų ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

## **Kodėl Orfadin buvo patvirtintas?**

Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) pažymėjo, kad Orfadin yra veiksmingas vaistas HT-1 gydyti, ypač jei gydymas pradedamas anksti, iki to laiko, kol paciento kepenys yra ne pernelyg pažeistos. Orfadin taip pat turi didesnę poveikį už literatūroje minimą gydymo poveikį pacientams, kuriems taikoma tik modifikuota dieta. Komitetas nusprendė, kad Orfadin nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros leidimą.

Iš pradžių Orfadin rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, kadangi dėl ligos retumo registravimo metu neturėta išsamios informacijos. Bendrovei pateikus reikalaujamą papildomą informaciją, išimtinės sąlygos panaikintos 2009 m. rugsėjo 21 d.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Orfadin vartojimą?**

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Orfadin vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Orfadin preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

## **Kita informacija apie Orfadin:**

Europos Komisija 2005 m. vasario 21 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Orfadin rinkodaros leidimą.

Išsamų Orfadin EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Orfadin rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Orfadin santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2015-05.