



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/474478/2015
EMA/H/C/000555

Rezumat EPAR destinat publicului

Orfadin

nitizinonă

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Orfadin. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Orfadin.

Ce este Orfadin?

Orfadin este un medicament care conține substanța activă nitizinonă. Este disponibil sub formă de capsule (2 mg, 5 mg, 10 mg și 20 mg) și sub formă de suspensie (4 mg/ml) pentru administrare pe cale orală.

Pentru ce se utilizează Orfadin?

Orfadin se utilizează pentru tratarea tirozinemiei ereditare de tip 1 (HT-1). Aceasta este o boală rară în care organismul nu este capabil să descompună integral aminoacidul tirozină, formându-se substanțe nocive care cauzează afecțiuni hepatice severe și cancer la ficat. Orfadin se utilizează împreună cu un regim alimentar care limitează absorbția aminoacizilor tirozină și fenilalanină. Acești aminoacizi se găsesc în mod normal în proteinele din alimente și băuturi.

Dat fiind numărul mic de pacienți cu HT-1, această boală este considerată „rară”, iar Orfadin a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament care se administrează în tratamentul bolilor rare) la 29 decembrie 2000.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Orfadin?

Tratamentul cu Orfadin trebuie inițiat și urmărit de medici cu experiență în tratarea pacienților cu HT-1. Tratamentul trebuie început cât mai devreme și doza de Orfadin ajustată în funcție de răspunsul și greutatea pacientului.

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



Doza inițială recomandată este de 1 mg per kilogram de greutate corporală pe zi, împărțită în două prize. Capsulele se înghit de obicei întregi, dar pot fi și deschise și conținutul lor dizolvat într-o cantitate mică de apă sau de lapte praf, chiar înainte de înghițire. Suspensia orală este pentru copiii care au dificultăți la înghițirea capsulelor.

Orfadin este destinat tratamentului de lungă durată. Pacienții trebuie controlați cel puțin o dată la șase luni.

Cum acționează Orfadin?

Tirozina este descompusă în organism de o serie de enzime. Pacienților cu HT-1 le lipsește una dintre aceste enzime, astfel încât tirozina nu se elimină cum trebuie și se transformă în substanțe nocive. Substanța activă din Orfadin, nitizinona, blochează o enzimă care transformă tirozina în substanțe nocive. Deoarece tirozina rămâne însă în organism pe durata tratamentului cu Orfadin, pacienții trebuie să țină un regim alimentar sărac în tirozină. Regimul trebuie să fie, de asemenea, sărac în fenilalanină, deoarece aceasta se transformă în organism în tirozină.

Cum a fost studiat Orfadin?

Studiul cel mai amplu cu Orfadin a fost efectuat pe 257 de pacienți în 87 de spitale diferite din 25 de țări, în cadrul programelor de uz compasional. Acesta este un program prin care medicii pot solicita un medicament pentru unul dintre pacienții lor, înainte ca medicamentul să fie pe deplin autorizat. Studiul a examinat efectul Orfadin asupra perioadei de supraviețuire prin comparație cu rapoarte publicate în reviste medicale care descriau perioada de supraviețuire a pacienților cu HT-1 care nu țineau decât regim alimentar modificat.

Ce beneficii a prezentat Orfadin pe parcursul studiilor?

Beneficiul principal al Orfadin este de a prelungi considerabil speranța de viață. De exemplu, un sugar cu vârsta sub două luni cu HT-1 ar avea în mod normal o șansă de numai 28% de a supraviețui cinci ani doar cu regim modificat. Adăugând tratamentul cu Orfadin, rata de supraviețuire crește la 82%. Cu cât se începe tratamentul mai devreme, cu atât mai mari sunt șansele de supraviețuire.

Care sunt riscurile asociate cu Orfadin?

Tratamentul cu Orfadin duce la niveluri mari de tirozină în sânge (din cauza modului de acțiune al medicamentului); acest efect secundar se observă la mai mult de 1 pacient din 10. Efecte secundare frecvente (observate la 1 până la 10 pacienți din 100) sunt și trombocitopenie (număr scăzut de trombocite), leucopenie (număr scăzut de globule albe), granulocitopenie (număr scăzut de granulocite, un tip de globule albe), conjunctivită (inflamația membranei care căptușește pleoapa), opacitate corneană (încețoșare a corneei, stratul transparent din fața pupilei), cheratită (inflamație a corneei), fotofobie (sensibilitate mărită a ochilor la lumină) și dureri oculare. Multe dintre aceste efecte secundare pot fi rezultatul valorilor mari de tirozină cauzate de alimentația necorespunzătoare a pacienților. Pentru lista completă a efectelor secundare și a restricțiilor raportate asociate cu Orfadin, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Orfadin?

CHMP a remarcat că Orfadin pare a fi un tratament eficace pentru HT-1, în special dacă este început devreme, înainte ca ficatul pacientului să fie prea afectat. Orfadin dă rezultate mai bune la pacienți decât rezultatele descrise în literatura de specialitate privind pacienții care țineau numai regim

alimentar modificat. CHMP a hotărât că beneficiile Orfadin sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Orfadin a fost autorizat inițial în „circumstanțe excepționale”, deoarece, din cauză că boala este rară, informațiile puse la dispoziție la momentul aprobării erau limitate. Deoarece compania a pus la dispoziție informațiile suplimentare solicitate, „circumstanțele excepționale” au încetat la 21 septembrie 2009.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Orfadin?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Orfadin să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Orfadin au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Orfadin

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Orfadin, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 21 februarie 2005.

EPAR-ul complet pentru Orfadin este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Orfadin, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Orfadin este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 05-2015.