



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/474479/2015
EMA/H/C/000555

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Orfadin

nitizinón

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Orfadin. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Orfadin.

Čo je liek Orfadin?

Orfadin je liek, ktorý obsahuje účinnú látku nitizinón. Je dostupný vo forme kapsúl (2 mg, 5 mg, 10 mg a 20 mg) a ako suspenzia (4 mg/ml) užívaná ústami.

Na čo sa liek Orfadin používa?

Liek Orfadin sa používa na liečbu dedičnej tyrozinémie typu 1 (HT-1). Ide o zriedkavú chorobu, pri ktorej telo nie je schopné úplne rozložiť aminokyselinu tyrozín, pričom vznikajú škodlivé látky, čo spôsobuje vážne problémy s pečeňou a rakovinu pečene. Liek Orfadin sa používa spolu s diétou, ktorá obmedzuje príjem aminokyselín tyrozín a fenylalanín. Tieto aminokyseliny sa normálne nachádzajú v proteínoch v strave a v nápojoch.

Keďže je počet pacientov s ochorením HT-1 nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Orfadin 29. decembra 2000 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Orfadin užíva?

Liečbu liekom Orfadin majú začať a sledovať lekári, ktorí majú skúsenosti s liečbou pacientov s HT-1. Liečba sa má začať čo najskôr a dávka lieku Orfadin sa má upraviť podľa odpovede pacienta a jeho telesnej hmotnosti.

Odporúčaná začiatková dávka je 1 mg na kilogram telesnej hmotnosti na deň, rozdelená na dve dávky. Kapsuly sa zvyčajne prehltávajú v celku, môžu sa však otvoriť a ich obsah sa môže pred prehltnutím



zmiešať s malým množstvom vody alebo dojčenskej výživy. Perorálna suspenzia je určená deťom, ktoré majú ťažkosti s prehĺtaním kapsúl.

Liek Orfadin je určený na dlhodobé používanie. Pacienti majú byť kontrolovaní najmenej každých šesť mesiacov.

Akým spôsobom liek Orfadin účinkuje?

Tyrozín v tele odbúravajú viaceré enzýmy. Pacientom s HT-1 jeden z týchto enzýmov chýba, a preto sa tyrozín poriadne neodstráni, namiesto toho sa zmení na škodlivé látky. Účinná látka lieku Orfadin, nitizinón, blokuje enzým, ktorý mení tyrozín na škodlivé látky. Pacienti však vzhľadom na to, že tyrozín počas liečby liekom Orfadin zostáva v tele, musia dodržiavať osobitnú diétu s nízkym obsahom tyrozínu. Táto diéta sa musí vyznačovať aj nízkym obsahom fenylalanínu, pretože táto látka sa v tele mení na tyrozín.

Ako bol liek Orfadin skúmaný?

Najväčšia štúdia lieku Orfadin sa uskutočnila na 257 pacientoch v 87 nemocniciach v 25 krajinách a bola súčasťou programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch. Ide o program, prostredníctvom ktorého môžu lekári požiadať o použitie lieku pre jedného zo svojich pacientov predtým, než je liek bez obmedzenia uvedený na trh. Predmetom tejto štúdie bol vplyv lieku Orfadin na prežitie, ktorý sa porovnával so správami uverejnenými v lekárskejších časopisoch o prežití pacientov s HT-1, ktorí len dodržiavali upravenú diétu.

Aký prínos preukázal liek Orfadin v týchto štúdiách?

Hlavným prínosom lieku Orfadin je to, že výrazne predlžuje dĺžku života. Napríklad dieťa s HT-1 mladšie ako dva mesiace by bežne malo iba 28 % šancu, že sa dožije 5 rokov, ak bude dodržiavať výlučne upravenú diétu. Dodatočnou liečbou liekom Orfadin sa miera prežitia zvyšuje na 82 %. Čím skôr sa liečba začne, tým väčšie sú šance na prežitie.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Orfadin?

Liečba liekom Orfadin vedie k zvýšeniu hladiny tyrozínu v krvi (čo súvisí so spôsobom, akým liek účinkuje). Tento vedľajší účinok sa pozoroval u viac ako 1 pacienta z 10. Často sa vyskytli (pozorované u 1 až 10 pacientov zo 100) aj trombocytopenia (nízky počet krvných doštičiek), leukopénia (nízky počet bielych krviniek), granulocytopenia (nízke hladiny granulocytov, typu bielych krviniek), konjunktivitída (zápal membrány, ktorá vystiela priestor pod očným viečkom), korneálna opacita (zákal rohovky, priehľadnej prednej časti zrenice), keratitída (zápal rohovky), fotofóbia (zvýšená citlivosť očí na svetlo) a bolesť očí. Mnohé z týchto vedľajších účinkov môžu byť výsledkom vysokých hladín tyrozínu u pacientov, ktorí sa nestravujú správnym spôsobom. Zoznam všetkých obmedzení a vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Orfadin sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Orfadin povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) poznamenal, že liek Orfadin sa zdá byť účinným liekom na liečbu HT-1 najmä vtedy, ak sa liečba začne včas pred prílišným poškodením pečene pacienta. Liek Orfadin takisto priniesol u pacientov lepšie výsledky v porovnaní s výsledkami uvádzanými v odbornej literatúre týkajúcejmi sa pacientov, ktorí len dodržiavali upravenú diétu. Výbor CHMP rozhodol, že

prínosy lieku Orfadin sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Liek Orfadin bol pôvodne povolený za mimoriadnych okolností, pretože ochorenie je zriedkavé a v čase schválenia bolo dostupné len obmedzené množstvo údajov. Keďže spoločnosť predložila ďalšie požadované informácie, mimoriadne okolnosti skončili dňa 21. septembra 2009.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Orfadin?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Orfadin bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Orfadin vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Orfadin

Dňa 21. februára 2005 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Orfadin na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Orfadin sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Orfadin, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Orfadin sa nachádza na webovej stránke agentúry ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 05-2015