



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/474480/2015  
EMA/H/C/000555

## Povzetek EPAR za javnost

---

# Orfadin

nitizinon

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Orfadin. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil to zdravilo, na podlagi česar je oblikoval mnenje za izdajo dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

### Kaj je zdravilo Orfadin?

Orfadin je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino nitizinon. Na voljo je v obliki kapsul (2 mg, 5 mg, 10 mg in 20 mg) in v obliki suspenzije (4 mg/ml), ki se jemlje peroralno.

### Za kaj se zdravilo Orfadin uporablja?

Zdravilo Orfadin se uporablja za zdravljenje dedne tirozinemije tipa 1 (HT-1). To je redka bolezen, pri kateri telo ni sposobno popolnoma razgraditi aminokislina tirozin, zaradi česar nastajajo škodljive snovi, ki povzročajo hude težave z jetri, vključno z rakom. Zdravilo Orfadin se uporablja skupaj z dieto, ki omejuje vnos aminokislina tirozin in fenilalanin. Te aminokislina so običajno prisotne v beljakovinah v hrani in pijači.

Ker je bolnikov z dedno tirozinemijo tipa 1 malo, velja bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Orfadin 29. decembra 2000 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Izdaja zdravila je le na recept.

### Kako se zdravilo Orfadin uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Orfadin mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z dedno tirozinemijo tipa 1. Zdravljenje je treba začeti čim prej, odmerek zdravila pa je treba prilagoditi bolnikovemu odzivu in telesni masi.

Priporočeni začetni dnevni odmerek znaša 1 mg na kilogram telesne mase in se vzame v dveh delih. Kapsule se navadno pogoltnejo cele, vendar se lahko odprejo, da se vsebina tik pred zaužitjem zmeša

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



z manjšo količino vode ali formule. Peroralna raztopina je namenjena otrokom, ki imajo težave pri požiranju kapsul.

Zdravilo Orfadin je namenjeno za dolgotrajno uporabo. Bolnike je treba pregledati vsaj vsakih šest mesecev.

## **Kako zdravilo Orfadin deluje?**

Tirozin v telesu razgrajujejo številni encimi. Bolniki z dedno tirozinemijo tipa 1 nimajo enega od teh encimov, zato se tirozin v njihovem telesu ne razgradi ustrezno, ampak se pretvori v škodljive snovi. Zdravilna učinkovina v zdravilu Orfadin, nitizinon, zavira encim, ki pretvarja tirozin v škodljive snovi. Ker pa tirozin med zdravljenjem z zdravilom Orfadin ostane v telesu, bolniki potrebujejo posebno dieto z nizko vsebnostjo tirozinov. Dieta mora vsebovati tudi čim manj fenilalanina, saj se ta v telesu pretvarja v tirozin.

## **Kako je bilo zdravilo Orfadin raziskano?**

V največji študiji zdravila Orfadin je sodelovalo 257 bolnikov v 87 različnih bolnišnicah v 25 državah kot del programa „sočutne uporabe“. To je program, v okviru katerega lahko zdravniki zahtevajo zdravilo za enega od svojih bolnikov, preden je zdravilo v celoti odobreno. V študiji so proučevali učinek zdravila Orfadin na preživetje in izsledke primerjali s poročili, objavljenimi v medicinskih revijah, o preživetju bolnikov z dedno tirozinemijo tipa 1, ki so se zdravili samo s prilagojeno dieto.

## **Kakšne koristi je zdravilo Orfadin izkazalo med študijami?**

Glavna korist zdravila Orfadin je, da močno podaljša pričakovano življenjsko dobo. Pri dojenčku z dedno tirozinemijo tipa 1, mlajšem od dveh mesecev, je na primer verjetnost, da preživi pet let, če se zdravi zgolj s prilagojeno dieto, običajno samo 28-odstotna. Z dodatnim zdravljenjem z zdravilom Orfadin se stopnja preživetja poveča na 82 %. Prej ko se zdravljenje začne, boljše so možnosti za preživetje.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Orfadin?**

Zdravljenje z zdravilom Orfadin lahko povzroči visoke koncentracije tirozina v krvi (zaradi načina delovanja zdravila); ta neželeni učinek je opažen pri 1 bolniku od 10. Pogosti neželeni učinki (opaženi pri 1 do 10 bolnikih od 100) so tudi trombocitopenija (nizko število trombocitov), levkopenija (nizko število belih krvnih celic), granulocitopenija (nizko število granulocitov, vrste belih krvnih celic), konjunktivitis (vnetje očesne veznice), motnjava roženice (prosojnega prednjega dela očesa, ki pokriva zenico), keratitis (vnetje roženice), fotofobija (povečana občutljivost oči za svetlobo) in bolečine v očeh. Mnogi neželeni učinki so lahko posledica visoke ravni tirozina, ki jih povzroči neustrezno prehranjevanje bolnikov. Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Orfadin glejte navodilo za uporabo.

## **Zakaj je bilo zdravilo Orfadin odobreno?**

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je ugotovil, da se zdravilo Orfadin zdi učinkovito pri zdravljenju dedne tirozinemije tipa 1, zlasti če se začne jemati dovolj zgodaj, preden so bolnikova jetra preveč poškodovana. Pri bolnikih, ki so jemali zdravilo Orfadin, so bili doseženi boljši rezultati kot pri osebah, ki so se zdravile zgolj s prilagojeno dieto, o katerih poroča literatura. Zato je odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), zaključil, da so koristi zdravila Orfadin večje od z njim povezanih tveganj in priporočil, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Zdravilo je pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, saj so bile zaradi redkosti bolezni ob izdaji dovoljenja na voljo le omejene informacije. Ker je družba predložila dodatne zahtevane podatke, so 21. septembra 2009 izjemne okoliščine prenehale veljati.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Orfadin?**

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Orfadin je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

## **Druge informacije o zdravilu Orfadin**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Orfadin, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 21. februarja 2005.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Orfadin je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Orfadin preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Orfadin je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 05-2015.