



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/658315/2017
EMA/H/C/004281

Julkinen EPAR-yhteenveto

Nitisinone MDK¹

nitisinoni

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Nitisinone MDK -lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päättynyt suosituksiin myyntiluvan myöntämisestä sille EU:ssa ja sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Nitisinone MDK -valmisteen käytöstä.

Potilas saa Nitisinone MDK -valmisteen käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Nitisinone MDK on ja mihin sitä käytetään?

Nitisinone MDK -valmistetta käytetään tyypin 1 perinnöllisen tyrosinemian (HT-1) hoitoon. Se on harvinainen sairaus, jossa keho ei pysty täysin pilkkomaan aminohappo tyrosiinia, mikä johtaa haitallisten aineiden muodostumiseen ja aiheuttaa vakavia maksaongelmia ja maksasyöpää.

Nitisinone MDK -valmistetta käytetään yhdistettynä ruokavalioon, joka rajoittaa aminohappojen tyrosiini ja fenyyylalaniini saantia. Näitä aminohappoja on yleensä ruokien ja juomien proteiineissa.

Nitisinone MDK on ns. geneerinen lääkevalmiste. Tämä tarkoittaa sitä, että Nitisinone MDK sisältää samaa vaikuttavaa ainetta ja toimii samalla tavoin kuin Euroopan unionin (EU) alueella jo myyntiluvan saanut alkuperäisvalmiste Orfadin. Lisätietoja geneerisistä lääkkeistä on [kysymyksiä ja vastauksia](#) sisältävässä asiakirjassa.

Nitisinone MDK -valmisteen vaikuttava aine on nitisinoni.

¹ Tunnettu aikaisemmin Nitisinone MendeliKABS-nimisenä



Miten Nitisinone MDK -valmistetta käytetään?

Nitisinone MDK -valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta HT-1:n hoitamisesta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Hoito on aloitettava mahdollisimman varhain, ja Nitisinone MDK -valmisteen annosta on mukautettava potilaan hoitovasteen ja kehon painon mukaan.

Nitisinone MDK -valmistetta on saatavana kapseleina (2 mg, 5 mg ja 10 mg). Suositeltava aloitusannos on 1 mg potilaan painokiloa kohti vuorokaudessa. Kapselit niellään yleensä kokonaisina, mutta ne voidaan myös avata ja niiden sisältö voidaan sekoittaa pieneen vesimäärään tai ravintovalmisteseen juuri ennen nielemistä.

Nitisinone MDK on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön. Potilaita on seurattava vähintään kuuden kuukauden välein.

Miten Nitisinone MDK vaikuttaa?

Erilaiset entsyymit pilkkovat tyrosiinia kehossa. HT1-potilailta puuttuu jokin näistä entsyymeistä, joten tyrosiini ei poistu kehosta täysin, vaan muuntuu haitalliseksi aineiksi. Nitisinone MDK -valmisteen vaikuttava aine nitisinoni salpaa entsyymin, joka muuntaa tyrosiinia haitalliseksi aineiksi. Koska tyrosiini kuitenkin säilyy kehossa Nitisinone MDK -hoidon ajan, potilaiden on oltava erityisruokavaliolla, jonka sisältämä tyrosiinimäärä on vähäinen. Ruokavalio ei saa myöskään sisältää paljon fenyylialaniinia, koska se muuntuu tyrosiiniksi kehossa.

Miten Nitisinone MDK -valmistetta on tutkittu?

Myyntiluvan jo saaneen alkuperäislääke Orfadinin vaikuttavan aineen hyötyä ja riskejä hyväksytyissä käyttöaiheissa on jo tutkittu, joten uudet tutkimukset eivät ole tarpeen Nitisinone MDK -valmisteen osalta.

Kuten muidenkin lääkkeiden osalta tehdään, yhtiö toimitti Nitisinone MDK -valmisteen laatua koskevia tutkimuksia. Yhtiö teki myös tutkimuksen osoittaakseen, että lääke on biologisesti samanarvoinen alkuperäislääkkeen kanssa. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne tuottavat saman määrän vaikuttavaa ainetta kehossa, ja siksi niillä odotetaan olevan sama vaikutus.

Mitkä ovat Nitisinone MDK -valmisteen hyödyt ja riskit?

Koska Nitisinone MDK on geneerinen lääkevalmiste ja biologisesti samanarvoinen alkuperäislääkkeen kanssa, sen hyödyn ja riskien katsotaan olevan samat kuin alkuperäislääkkeen.

Miksi Nitisinone MDK on hyväksytty?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Nitisinone MDK -valmisteen on osoitettu vastaavan laadullisesti Orfadinia ja olevan biologisesti samanarvoinen sen kanssa Euroopan unionin vaatimusten mukaisesti. Näin ollen lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Orfadinin tavoin tämän lääkevalmisteen hyöty on suurempi kuin sen havaitut haitat. Komitea suosittelee, että Nitisinone MDK -valmiste hyväksytään käyttöön EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Nitisinone MDK -valmisteen turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksia ja varotoimia, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Nitisinone MDK -valmisteen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Nitisinone MDK -valmisteesta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Nitisinone MendeliKABS varten 24. elokuuta 2017. Lääkevalmisteen nimi muutettiin Nitisinone MDK 3. lokakuuta 2017.

Nitisinone MDK -valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lisätietoja Nitisinone MDK -valmisteella annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Myös alkuperäisvalmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla.

Tätä yhteenvedoa on päivitetty viimeksi 10-2017.