



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/602143/2020
EMA/H/C/000555

Orfadin (*nitisinoni*)

Yleisiä tietoja Orfadinista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Orfadin on ja mihin sitä käytetään?

Orfadin on lääke, jota käytetään

- tyyppin 1 perinnöllisen tyrosinemian (HT-1) hoitoon kaikenikäisillä potilailla, jotka noudattavat lisäksi tiukkoja ruokavaliorajoituksia
- alkaptonurian hoitoon aikuisilla.

Nämä sairaudet syntyvät, kun elimistö ei pysty täysin pilkkomaan tiettyjä aminohappoja, mukaan lukien tyrosiinia. Tämän seurauksena elimistöön kertyy haitallisia aineita, mikä voi johtaa vakaviin maksaongelmiin ja maksasyöpään HT-1-potilailla ja nivelongelmiin alkaptonuriaa sairastavilla.

Orfadinin vaikuttava aine on nitisinoni.

Miten Orfadinia käytetään?

Orfadinia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoidon aloittavan ja hoitoa valvovan lääkärin tulee olla perehtynyt Orfadinilla hoidettavien sairauksien hoitoon. Orfadinia saa kapseleina ja suun kautta otettavana oraalisuspensionona.

HT-1-potilaille suositeltu aloitusannos on 1 mg painokiloa kohti vuorokaudessa. Annosta tarkistetaan potilaan hoitovasteen ja painon mukaan.

Alkaptonuriaa sairastaville aikuisille suositeltu annos on 10 mg vuorokaudessa.

Lisätietoja Orfadinin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Orfadin vaikuttaa?

HT-1- ja alkaptonuriapotilailla ei ole entsyymejä, jotka pilkkovat tyrosiini-nimistä aminohappoa asianmukaisesti. Tämän seurauksena se muuntuu haitalliseksi aineiksi. Orfadinin vaikuttava aine nitisinoni salpaa entsyymit, joka muuntavat tyrosiinia haitalliseksi aineiksi. Ruokavaliorajoitukset estävät liiallisia aminohappojen, kuten tyrosiinin ja fenyylialaniinin pitoisuuksia. Ne muuntuvat elimistössä tyrosiiniksi.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Mitä hyötyä Orfadinista on havaittu tutkimuksissa?

Perinnöllinen tyrosinemia tyyppi 1

Suurimpaan Orfadin-tutkimukseen osallistui 257 HT-1-potilasta. Tutkimuksessa tarkasteltiin Orfadinin vaikutusta potilaiden elinajan pituuteen sekä verrattiin tätä lääketieteellisissä aikakauskirjoissa julkaistuihin raportteihin, joissa käsitellään pelkkää muunnettua erityisruokavaliota noudattaneiden HT1 -potilaiden eloonjäämistä. Orfadin pidensi odotettavissa olevaa elinaikaa merkittävästi. Esimerkiksi alle kahden kuukauden ikäisen HT1 -tautia sairastavan vauvan mahdollisuudet pysyä elossa viisi vuotta ovat yleensä 28 prosenttia silloin, kun hoitona käytetään pelkkää ruokavaliota. Orfadin-lisähoidolla eloonjäämisprosentti kasvoi 82 prosenttiin. Mitä aikaisemmin hoito aloitettiin, sitä paremmat olivat eloonjäämismahdollisuudet.

Alkaptonuria

Orfadin vähensi tehokkaasti tyrosiinin haitallista hajoamistuotetta nimeltä homogentisiinihappo (HGA). Päättökäytöksessä, johon osallistui 138 alkaptonuriaa sairastavaa aikuista, tehon pääasiallisena mittana oli virtsaan 24 tunnin aikana muodostuvan HGA:n määrä, joka kuvastaa HGA:n määrää elimistössä. Vuoden ajan Orfadinia saaneilla HGA-pitoisuus virtsassa 24 tunnin aikana oli 86 mikromoolia/litra, kun taas vastaava pitoisuus potilailla, jotka eivät saaneet lääkettä, oli 26 000 mikromoolia/litra. Lisäksi Orfadinia saaneilla potilailla oli vähemmän taudin oireita kuin potilailla, jotka eivät saaneet sitä.

Mitä riskejä Orfadiniin liittyy?

Orfadinin yleisin haittavaikutus (joka voi aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) on veren suuri tyrosiinipitoisuus (joka johtuu lääkkeen toimintatavasta). Muita yleisiä haittavaikutuksia (joita voi aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat trombosytopenia (verihitulehtien niukkuus), leukopenia (valkosolujen niukkuus), granulositytopenia (granulosyyttien, erään valkosolutyyppin, niukkuus), sidekalvotulehdus (punoitus ja epämiellyttävä tunne silmässä), sarveiskalvosamentuma (sarveiskalvon eli pupillia peittävän läpinäkyvän kalvon sameneneminen), sarveiskalvotulehdus, valonarkuus (silmien epänormaali herkkyys valolle) ja silmäkipu. Monet näistä haittavaikutuksista johtuvat suuresta tyrosiinipitoisuudesta.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Orfadinin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Orfadin on hyväksytty EU:ssa?

Orfadin oli tehokas HT-1:n hoidossa etenkin, jos hoito aloitettiin ennen kuin maksa oli vaurioitunut liikaa. Orfadinilla saadaan potilailla aikaan parempia tuloksia verrattuna niihin raportoituihin tapauksiin, joissa potilaat käyttävät hoitona yksinomaan muunnettua ruokavaliota. Alkaptonuriapotilailla Orfadin vähensi tehokkaasti HGA-pitoisuutta virtsassa ja vähensi lisäksi oireita erityisesti nivelissä, luustossa ja silmissä. Euroopan lääkevirasto katsoi, että Orfadinin haittavaikutusten ilmenemistavat tunnetaan hyvin, mutta totesi, että silmään kohdistuvia haittavaikutuksia esiintyi useammin alkaptonuriapotilailla ja että näillä oli myös uudenlaisia haittavaikutuksia, kuten infektioita. Kaiken kaikkiaan Orfadinin haittavaikutusten katsottiin kuitenkin olevan hallittavissa.

Näin ollen virasto katsoi, että Orfadinin hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Orfadinin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Orfadinin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Orfadinin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Orfadinista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Orfadinista

Orfadin sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 21. helmikuuta 2005.

Lisää tietoa Orfadinista saa viraston verkkosivustolta osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/orfadin.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 11-2020.