

EMA/658316/2017
EMA/H/C/004281

Résumé EPAR à l'intention du public

Nitisinone MDK¹

nitisinone

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Nitisinone MDK. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Nitisinone MDK.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Nitisinone MDK, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Nitisinone MDK et dans quel cas est-il utilisé?

Nitisinone MDK est un médicament utilisé dans le traitement de la tyrosinémie héréditaire de type 1 (HT 1). Il s'agit d'une maladie rare dans laquelle le corps est incapable de dégrader complètement la tyrosine, un acide aminé, et des substances nocives se forment, provoquant de graves problèmes de foie et le cancer du foie.

Nitisinone MDK est utilisé dans le cadre d'un régime alimentaire qui restreint l'ingestion des acides aminés tyrosine et phénylalanine. Ces acides aminés se trouvent habituellement dans les protéines présentes dans les aliments et les boissons.

Nitisinone MDK est un «médicament générique». Cela signifie qu'il contient le même principe actif et fonctionne de la même manière qu'un «médicament de référence» déjà autorisé dans l'Union européenne (UE), à savoir Orfadin. Pour de plus amples informations sur les médicaments génériques, voir le document sous forme de questions/réponses disponible [ici](#).

Nitisinone MDK contient le principe actif nitisinone.

¹ Précédemment connu sous l'appellation Nitisinone MendeliKABS

Comment Nitisinone MDK est-il utilisé?

Nitisinone MDK n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par des médecins expérimentés dans la prise en charge des patients atteints d'HT 1. Le traitement doit débuter dès que possible en ajustant la dose de Nitisinone MDK en fonction de la réponse et du poids corporel du patient.

Nitisinone MDK est disponible sous la forme de gélules (2 mg, 5 mg et 10 mg). La dose initiale recommandée est de 1 mg par kilogramme de poids corporel une fois par jour. Les gélules sont généralement avalées en entier, mais on peut les ouvrir et mélanger leur contenu dans une petite quantité d'eau ou d'aliment juste avant de l'avalier.

Nitisinone MDK est destiné à une utilisation à long terme. Les patients doivent faire l'objet d'une surveillance tous les six mois au moins.

Comment Nitisinone MDK agit-il?

La tyrosine est dégradée dans le corps par un certain nombre d'enzymes. Les patients atteints de HT 1 sont dépourvus de l'une de ces enzymes. De ce fait, la tyrosine n'est pas éliminée correctement mais se transforme en substances nocives. Le principe actif de Nitisinone MDK, la nitisinone, bloque une enzyme qui convertit la tyrosine en substances nocives. Cependant, étant donné que la tyrosine reste présente dans l'organisme pendant le traitement par Nitisinone MDK, les patients doivent observer un régime alimentaire spécial à faible teneur en tyrosine. Le régime alimentaire doit également être restreint en phénylalanine, qui se transforme en tyrosine dans l'organisme.

Quelles études ont été menées sur Nitisinone MDK?

Les études sur les bénéfices et les risques du principe actif dans les utilisations approuvées ont déjà été réalisées avec le médicament de référence, Orfadin, et il n'est pas nécessaire de les réitérer pour Nitisinone MDK.

Comme pour chaque médicament, la société a fourni des études sur la qualité de Nitisinone MDK. La société a également mené une étude qui a démontré qu'il est «bioéquivalent» au médicament de référence. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de principe actif dans le corps. Ils sont donc censés avoir le même effet.

Quels sont les bénéfices et risques démontrés par Nitisinone MDK?

Étant donné que Nitisinone MDK est un médicament générique et qu'il est bioéquivalent au médicament de référence, ses bénéfices et risques sont considérés comme étant les mêmes que ceux du médicament de référence.

Pourquoi Nitisinone MDK est-il approuvé?

L'Agence européenne des médicaments a conclu que, conformément aux exigences de l'UE, il a été démontré que Nitisinone MDK est de qualité comparable à celle d'Orfadin et bioéquivalent à ce dernier. Dès lors, l'Agence a estimé que, comme pour Orfadin, le bénéfice est supérieur au risque identifié. L'Agence a recommandé que l'utilisation de Nitisinone MDK au sein de l'UE soit approuvée.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nitisinone MDK?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Nitisinone MDK ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Nitisinone MDK:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Nitisinone MendeliKABS, le 24 août 2017. Le médicament a changé de nom le 3 octobre 2017 et s'appelle désormais Nitisinone MDK.

L'EPAR complet relatif à Nitisinone MDK est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Nitisinone MDK, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

L'EPAR complet relatif au médicament de référence est également disponible sur le site web de l'Agence.

Dernière mise à jour du présent résumé: 10-2017.