



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/396203/2018
EMA/H/C/004582

Nityr (*nitisinone*)

Aperçu de Nityr et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

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

Nityr est un médicament utilisé pour traiter la tyrosinémie héréditaire de type 1 (HT1). Il s'agit d'une maladie rare dans laquelle le corps est incapable de dégrader complètement la tyrosine, un acide aminé entraînant par conséquent la formation de substances nocives à l'origine de graves problèmes de foie et du cancer du foie.

Nityr 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.

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

Comment Nityr est-il utilisé?

Nityr 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'HT1. Le traitement doit débuter dès que possible en ajustant la dose de Nityr en fonction de la réponse et du poids corporel du patient.

Nityr est disponible en gélules de 10 mg à prendre par voie orale. La dose initiale recommandée est de 1 mg par kilogramme de poids corporel une fois par jour.

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

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Nityr, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.



Comment Nityr agit-il?

La tyrosine est dégradée dans le corps par un certain nombre d'enzymes. Les patients atteints d'HT1 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 Nityr, la nitisinone, bloque une enzyme qui convertit la tyrosine en substances nocives. Cependant, étant donné que la tyrosine non convertie reste présente dans l'organisme pendant le traitement par Nityr, les patients doivent observer un régime alimentaire spécial à faible teneur en tyrosine. Le régime alimentaire doit également être limité en phénylalanine, qui se transforme en tyrosine dans l'organisme.

Quelles études ont été menées sur Nityr?

Des études sur les bénéfices et les risques de la substance active dans l'utilisation approuvée ont déjà été réalisées avec le médicament de référence, Orfadin, et il n'est pas nécessaire de les réitérer pour Nityr.

Comme pour tous les médicaments, la société a fourni des études sur la qualité de Nityr. La société a également réalisé une étude qui a montré qu'il est «bioéquivalent» au médicament de référence. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de substance active dans l'organisme, avec le même effet attendu.

Quels sont les bénéfices démontrés par Nityr et quels sont les risques associés à son utilisation?

Étant donné que Nityr 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 Nityr est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a conclu que, conformément aux exigences de l'UE, il a été démontré que Nityr 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 de Nityr est supérieur au risque identifié, et que son utilisation au sein de l'UE peut être autorisée.

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

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

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Nityr sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Nityr sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Nityr:

Des informations sur Nityr sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Des informations relatives au médicament de référence sont également disponibles sur le site web de l'Agence.